

Portal Województwa Lubuskiego



Nadal walczymy o Anię i dzieci z SMA



Kategoria - Zdrowie

Data publikacji -26 lutego 2021 godz. 13:03

28 lutego jest Światowy Dzień Chorób Rzadkich. - W Lubuskiem tak „świętujemy”, że nadal walczymy o finansowanie leczenia m.in. dzieci z SMA. Po raz kolejny piszemy do Ministerstwa Zdrowia. Chodzi o życie bezbronnych pacjentów - mówi marszałek Elżbieta Anna Polak

Światowy Dzień Chorób Rzadkich został ustanowiony 13 lat temu przez Europejską Organizację Chorób Rzadkich. Szacuje się, że w całej Europie żyje 30 mln osób z chorobami rzadkimi, w Polsce – ok. 2 mln. Choroba rzadka to taka, która

występuje u mniej niż jednej osoby na 2000 osób. Dotychczas opisano ich około 5 tysięcy. Zdecydowana większość ma podłoże genetyczne. Leki istnieją tylko na ok. 400 rzadkich jednostek chorobowych.

SMA i najdroższy lek świata

SMA, czyli rdzeniowy zanik mięśni, jest chorobą rzadką. Dochodzi w niej do obumierania w rdzeniu kręgowym neuronów odpowiadających za pracę mięśni. Brak impulsów nerwowych powoduje postępujące osłabienie i zanik mięśni szkieletowych, a w końcowym efekcie częściowy lub całkowity paraliż. W około 90 proc. przypadków pierwsze objawy choroby występują w niemowlęctwie lub wczesnym dzieciństwie, chociaż choroba ta może pojawiać się u osób w różnym wieku. Rdzeniowy zanik mięśni jest spowodowany wadą genetyczną – mutacją w genie SMN1. Mutację tę osoba chora otrzymuje po obojgu rodzicach, zazwyczaj nieświadomych faktu jej posiadania.

W Polsce od maja 2020 roku – warunkowo na okres jednego roku – jest dostępna, ale nie jest refundowana terapia genowa lekiem o nazwie Onasemnogen abeparwovek (nazwa handlowa – Zolgensma). Działanie lecznicze Zolgensma polega na podniesieniu w motoneuronach poziomu białka SMN, którego deficyt jest odpowiedzialny za rdzeniowy zanik mięśni. Przy terapii genowej degeneracja motoneuronów zatrzymuje się, a choroba przestaje postępować. W przypadku pacjentów, u których mięśnie nie uległy jeszcze znacznemu zanikowi, właściwa fizjoterapia i opieka medyczna pozwalają przynieść znaczną poprawę.

Obecnie w Polsce finansowane ze środków publicznych jest leczenie **Spinrazą**, jednak zasadne byłoby objęcie refundacją NFZ również leku **Zolgensma**, tak aby chorzy i lekarze mieli możliwość wyboru optymalnej metody leczenia, zwłaszcza u najmłodszych dzieci, u których leczenie genowe wiąże się z wyjątkową skutecznością. Takie rozwiązanie jest postulowane także przez Fundację SMA.

Terapia genowa jest bardzo droga – kosztuje ok. 9-10 mln zł. Rodziny dzieci, które chorują na rdzeniowy zanik mięśni – chcąc uzyskać dostęp do leku – zmuszone są do organizowania zbiórek pieniędzy i pozyskiwania środków na leczenie ze źródeł pozarządowych. Prowadzenie zbiórek pieniędzy nie tylko wydłuża okres oczekiwania na **terapię genową**, ale również naraża pacjentów na ryzyko nieotrzymania leku w odpowiednim czasie (według źródeł naukowych **Zolgensma** należy podać dzieciom, które nie przekroczyły wagi **13,5 kg**).

NFZ odmawia, piszemy do Ministerstwa

W listopadzie 2020 r. Konwent Marszałków, któremu wówczas przewodziło Województwo Lubuskie, przyjął jednogłośnie stanowisko będące apelem do Rządu i Ministra Zdrowia o finansowanie leczenia dzieci z SMA drogim lekiem. W styczniu apel ponowiła Lubuska Wojewódzka Rada Kobiet. **Kilka dni temu do Urzędu Marszałkowskiego przyszła odpowiedź z Narodowego Funduszu Zdrowia.** W piśmie czytamy: „(...) Zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia na dzień 1 stycznia 2021 r. preparat Zolgensma nie został objęty refundacją w leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni, w związku z czym Narodowy Fundusz Zdrowia jako

płatnik publiczny nie ma podstaw do sfinansowania wnioskowanej terapii”.

W związku z tym stanowiskiem NFZ, Samorząd Województwa Lubuskiego po raz kolejny skieruje wniosek do Ministerstwa Zdrowia o dokonanie zmian w koszyku świadczeń gwarantowanych. – W Polsce jest kilkudziesięcioro dzieci z SMA. Każde z nich walczy z barierą finansowania. W Lubuskiem jest 8-miesięczna Ania, której stan się dramatycznie pogarsza. Na koncie zbiórki jest niewiele ponad 3 mln zł. Leczenie Ani mogłoby być sfinansowane natychmiast, gdyby resort zdrowia zechciał wpisać lek na listę do refundacji. Walczymy o to! – komentuje marszałek **Elżbieta Anna Polak**.

Przypominamy link do zbiórki na rzecz Ani: www.siepomaga.pl/ania