



W Polsce na choroby rzadkie i ultraradkie może cierpieć nawet kilkadziesiąt tysięcy osób

FOT. JAKUB ORZECHOWSKI/SE/EAST NEWS

PRZEKLEŃSTWO RZADKIEJ CHOROBY

W POLSCE JEST ICH ZALEDWIE GARSTKA. **PAŃSTWO NIE WIDZI SENSU W ICH LECZENIU**, LEKARZE SĄ BEZSILNI, A ZDESPEROWANI RODZICE PRÓBUJĄ SPRZEDAWAĆ LALKI NA AUKCJACH, ŻEBY KUPIĆ DLA NICH LEKI. CZY DZIECI Z CHOROBIAMI RZADKIMI SĄ W POLSCE SKAZANE NA ŚMIERĆ?



**SZYMON KRAWIEC
TOMASZ MOLGA**

Choroba pierwszy raz zaatakowała Filipa w przedszkolu. Bawił się z innymi maluchami i nagle upadł. Potem upadki zdarzały się coraz częściej. Chłopcy w jego wieku pedałowali już na rowerach, ale Filip był daleko z nimi. Miewał zachwiania równowagi. To zaniepokoiło rodziców chłopca. Diagnoza była jak wyrok – ośmioletni Filip cierpi

na rzadką chorobę Niemann-Picka typu C – w jej wyniku uszkodzeniu ulegają śledziona i wątroba, a przede wszystkim mózg, który po kolei wyłącza procesy życiowe – chodzenie, mówienie, wreszcie oddychanie. Nadzieja pojawiła się, gdy wyprodukowano innowacyjny lek. Rodzicom udało się przekonać NFZ, by zaczął go refundować, jednak po półtora roku decyzja została cofnięta. To właśnie tragiczna historia Filipa Kozłowskiego i dramatyczny apel jego rodziców o pomoc był jedną z przyczyn podjęcia na łamach tematu rzadkich chorób.

Dlaczego mamy wydawać miliony złotych rocznie na jedno dziecko, u którego nie widać znaczącej poprawy w kuracji? – pyta prokurator dr Krzysztof Łanda z fundacji Watch Health Care monitorującej polską służbę zdrowia. – Jak pan może tak mówić!? Sama mam ultraradką chorobę, a moje dzieci cierpią na jeszcze cięższe postaci. Kiedyś lekarze mówili tak jak pan, że leczenie nie ma sensu. Teraz moje dzieci mają po 30 lat, normalny wygląd i wyższe wykształcenie. Gdybym się wtedy poddała, co teraz bym miała? – mówi łamiącym



się głosem Teresa Matulka, szefowa Stowarzyszenia Chorych na MPS i Choroby Rzadkie.

W takiej temperaturze przebiegała debata tygodnika „Wprost”, w której lekarze i farmakoekonomiści dyskutowali z pacjentami, czy leczenie dzieci z chorobami rzadkimi ma sens. Są to często nieuleczalne schorzenia o mało znanych przyczynach i pochodzeniu. Terapie w takich przypadkach trwają latami, pochłaniają miliony złotych rocznie i są często tylko odsuwaniem wyroku śmierci. Mimo wszystko zdaniem rodziców utrzymują dziecko dłużej przy życiu, pozwalają na jego lepszy rozwój i zmniejszają cierpienie.

Rodzice chorych dzieci skarżą się, że polska służba zdrowia jest głucha na takie argumenty i od początku postawiła na nich krzyżyk. Z kolei lekarze winę zrzucają na obowiązujący w Polsce system refundacji leków i państwo, które nadobro pacjentów z rzadkimi schorzeniami przedkłada chłodną kalkulację ekonomiczną. Wynika z niej, że leczenie chorób rzadkich po prostu się nie opłaca. Kto ma w tym sporze rację?

Kto daje i odbiera...

– Dla mnie to jeden wielki absurd! – mówi rozgoryczona Teresa Matulka. Jej zdaniem to oczywiste, że niektórych rzadkich chorób wyleczyć się po prostu nie da, ale przecież można spowolnić ich rozwój. Kiedy Filip został bez leczenia, jego stan z dnia na dzień znacznie się pogorszył. Chłopiec przestał chodzić do szkoły, mówić i samodzielnie się poruszać. Zdesperowani rodzice starali się szukać ludzi dobrej woli, którzy pomagiliby zdobywać

Uczestnicy debaty: dr Krzysztof Łanda z fundacji Watch Health Care, dr Dariusz Rokicki z Centrum Zdrowia Dziecka i Teresa Matulka ze Stowarzyszenia Chorych na MPS i Choroby Rzadkie

FOT. RAFAŁ SIDERSKI

40 tys. zł miesięcznie na zakup niezbędnego leku.

Jak tłumaczy Teresa Matulka, w rodzinach chorych dzieci rozgrywa się im leczenie i miejsca w ośrodkach wychowawczych, gdzie dzieci mogą się rehabilitować, pozostając pod ścisłą opieką terapeutów. W zamian nie zapewnia się im żadnej innej pomocy.

Według dr. Dariusza Rokickiego z Centrum Zdrowia Dziecka problemem jest cała ustawa refundacyjna, która traktuje choroby rzadkie i ultraradkie na równi ze wszystkimi innymi. – Teraz NFZ refunduje leki, biorąc pod uwagę efektywność kosztową jako główne kryterium. To nie ma sensu w przypadku leków sierocych, gdyż ich cena jest bardziej pochodną liczby leczonych pacjentów niż oceny skuteczności. Zresztą jak mamy precyzyjnie ocenić skuteczność danej terapii dla schorzenia, na które cierpi zaledwie kilka osób w Europie? – pyta dr Łanda.

Jego zdaniem należałoby zmienić podejście w refundacji leków na choroby rzadkie, oddzielając je grupą kreską od chorób tak powszechnych jak nadciśnienie, otyłość czy cukrzyca, na które istnieje skuteczna terapia. Jednak jak mówi dr Łanda, dzisiaj przez urzędników bardziej przemawia chłodna kalkulacja matematyczna, bo po co wydawać kilka milionów złotych na drogą terapię, które i tak nie gwarantują, że pacjent wyzdrowieje.

Zrefundowani inaczej

Dlaczego leki na choroby rzadkie są tak drogie? Wszystko przez małą liczbę pacjentów i wysoki koszt produkcji samego leku. Kiedy mówimy o nowych terapiach na nadciśnienie,

wiadomo, że nawet astronomiczna kwota opracowania innowacyjnego leku rozłoży się tylko w przypadku Polski na ponad 10 mln pacjentów. – Jeżeli producent zainwestował miliard euro w opracowanie skutecznego leku w chorobie ultraradkiej, to lek nie może kosztować kilkadziesiąt złotych, ale setki tysięcy złotych – mówi dr Łanda.

W Polsce jak na razie refunduje się leczenie chorób rzadkich wtedy, gdy zostanie osiągnięty tzw. próg opłacalności – wysoki koszt leku przełożył się na poprawę stanu zdrowia chorego. Tylko w pierwszej połowie ubiegłego roku na 122 pacjentów, którym przyznano refundację, wydano 67,5 mln zł, co daje średnio ponad 92 tys. zł miesięcznie na każdego chorego. A co z tysiącami innych, dla których leczenia nie ma? – Ci w akcie desperacji szyją pluszowe aniołki, wystawiają na aukcję lałki albo zbierają pieniądze na koncertach – mówi Matulka.

Według prof. Alicji Chybickiej, prezes Polskiego Towarzystwa Pediatrycznego i członka Parlamentarnego Zespołu ds. Chorób Rzadkich, przekleństwem małych pacjentów jest to, że jest ich mało, a koszty ich leczenia są wysokie. – Jednak dla tych dzieci leczenie to być albo nie być, żyć albo nie żyć. Nawet w najgłębszym kryzysie trzeba oszczędzać na wszystkim, ale ostatnią rzeczą, na której można oszczędzać, jest życie i zdrowie dzieci. Pieniądze na leczenie tej grupy pacjentów muszą się znaleźć i każdy lek stosowany w chorobach rzadkich powinien być refundowany – mówi prof. Chybicka.

Co można zrobić, żeby dzieci z chorobami rzadkimi nie były skazane na niemoc państwa i życie wyłącznie dzięki wysiłkowi zdesperowanych rodziców? Zdaniem dr. Rokickiego należy wprowadzić nowe zasady refundowania leków na choroby rzadkie. – Stosując do nich takie same kryteria jak do chorób powszechnych, krzywdzi się pacjentów podwójnie. Nie dość, że zachorowali na taką chorobę, to na dodatek nie mają szansy na refundowany lek, bo prościej jest zapewnić leczenie milionom Polaków niż tej małej grupie. Pomogłyby również rejestry leków, dzięki którym można określić skuteczność danej terapii. – Nie może być tak jak teraz, że chorzy nagle odbiera się leczenie, bo urzędnik stwierdził, że nie widzi poprawy – mówi Teresa Matulka. ■

Tylko 122 pacjentów z chorobami rzadkimi miało w pierwszej połowie zeszłego roku dostęp do darmowego leczenia. A co z tymi, którym refundacji nie przyznano?