



Stowarzyszenie Chorych na (MPS) Mukopolisacharydozę i Choroby Rzadkie

Głusków, dn. 02.06.2011 r.

Minister Zdrowia,

Ewa Kopacz,

ul. Miodowa 15, 00-952 Warszawa

Prośba

Szanowni Pani Minister

Zarząd Stowarzyszenia Chorych na Mukopolisacharydozę (MPS) i Choroby Rzadkie na prośbę rodziców dzieci chorych na MPS II Hunter, zwraca się z prośbą o wyjaśnienie powodu decyzji, która została podjęta na posiedzeniu Zespołu w dniu 16.05.2011 r. w Instytucie „Pomnik- Centrum Zdrowia Dziecka” w Warszawie o wyłączeniu z programu terapeutycznego pt.: Leczenie Mukopolisacharydozy typu II (zespół Huntera) pacjentów chorych na Mukopolisacharydozę typ II:

1. Mateusza Dąbrowskiego.
2. Michała Łukaszuka.
3. Kamila Skarżyńskiego
4. Piotra Sosińskiego
5. Pawła Sosińskiego
6. Sławomira Tatary

Zespół podjął decyzję pozbawiającą pacjentów **jedynego** leku łagodzącego objawy choroby i ratującego życie pacjenta bez:

- Oceny stanu chorego;
- konsultacji z lekarzem prowadzącym leczenie;
- konsultacji z rodzicami?

1. Takie działania są podstawą ewentualnego zaprzestania leczenia stosowane na całym świecie. Nigdzie **decyzją administracyjną** nie odbiera się pacjentowi leczenia.

2. Czy można cofnąć leczenie pacjentowi, odbierając jedyny lek, mimo pozytywnej opinii lekarza prowadzącego i bez porozumienia z rodzicami dziecka, opiekuna prawnego lub osoby chorej?

3. Taka decyzja jest nieludzka i nie etyczna, lekarz zawsze powinien bronić i chronić pacjenta, a nie bawić się farmakoekonomią. Farmakoekonomia nie na zastosowania w przypadku chorób rzadkich.

Zgodnie z preambułą Rozporządzenia Unii Europejskiej 141/2000 państwa członkowskie winny dążyć do sytuacji, w której pacjenci dotknięci chorobami rzadkimi mają równy dostęp do terapii, niezależnie od rzadkości danego schorzenia i niezależnie od warunków ekonomiczno-społecznych występujących w danym kraju członkowskim. U podstaw tej regulacji leżą wartości społeczne i etyczne wskazujące na potrzebę tworzenia równego dostępu do terapii dla pacjentów z chorobami rzadkimi w całej Unii Europejskiej. Niestety wobec rzadkich chorób w Polsce wartości te nie są uwzględniane.

Zgodnie z prawem i procedurą rejestracyjną w Unii Europejskiej leki stosowane w terapii chorób rzadkich, zaliczane są do grupy leków sierocych, ponieważ dotyczą bardzo wąskiej grupy pacjentów dotkniętych przewlekłymi i rzadko występującymi schorzeniami. W świetle rozporządzenia UE 141/2000 leki, aby we Wspólnocie uzyskać status leku sierocego muszą być przeznaczone do leczenia stanów chorobowych poważnych, przewlekłych i zagrażających życiu.

W imieniu pacjentów Zarząd Stowarzyszenia Chorych na Mukopolisacharydozę (MPS) i Choroby Rzadkie bardzo prosi o pomoc w wyjaśnieniu w/w decyzji. Nie godzimy się z takim sposobem wyłączenia z programu terapeutycznego i nie zaakceptujemy tego nigdy.

W tej sprawie konsultowaliśmy się z dwoma wybitnymi specjalistami w dziedzinie leczenia mukopolisacharydoz prof. Edmondem Wraithem z Manchesteru i prof. Michaeliem Beckiem z Moguncji (Niemcy). Załączamy ich odpowiedzi.



Stowarzyszenie Chorych na (MPS) Mukopolisacharydozę i Choroby Rzadkie

Głusków, dn. 02.06.2011 r.

W załączeniu:

1. Odpowiedz: Prof. Dr. M. Becka, Universitätsmedizin Mainz Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin Langenbeckstrasse 1 55131 Mainz Phone: +49 6131 17 5754 Fax: +49 6131 17 5672
2. Odpowiedz: **Prof Ed Wraitha**, www.cmft.nhs.uk Central Manchester University Hospitals NHS Foundation Trust includes: Manchester Royal Infirmary, Manchester Royal Eye Hospital, Royal Manchester Children's Hospital, Saint Mary's Hospital, University Dental Hospital of Manchester.
3. Wytyczne dotyczące leczenia Mukopolisacharydozy typu II, (Guidelines for the investigation and management of Mucopolysaccharidosis type II)

Z poważaniem,

Teresa Matulka

Teresa Matulka, Prezes Zarządu Stowarzyszenia MPS i choroby Rzadkie.

Pismo w sprawie dzieci chorych na MPS II Hunter zostaną wysłane z prośbą o interwencję do:

1. **Minister Zdrowia, Ewa Kopacz**, ul. Miodowa 15, 00-952 Warszawa,
2. **Podsekretarz Stanu Adam Fronczak**, ul. Miodowa 15, 00-952 Warszawa,
3. **Prezes Narodowego Funduszu Zdrowia, Jacek Paszkiewicz**, 02-390 Warszawa,
4. ul. Grójecka 186
5. **Biuro Rzecznika Praw Pacjenta, Krystyna Kozłowska**, Aleja Zjednoczenia 25, Warszawa 01-829,
6. **Rzecznik Praw Dziecka, Pan Marek Michalak**, ul. Śniadeckich 10, 00-656 Warszawa,
7. **Bartosz Arłukowicz**, sekretarz stanu w Kancelarii Prezesa Rady Ministrów i Pełnomocnik Premiera ds. osób wykluczonych, Al. Ujazdowskie 1/3, 00-583 Warszawa
8. **Przedstawiciel Polski przy Unijnym Komitecie ds. Sierocych Produktów Med.**
9. **Pani B. Dembowska-Bagińska IPCZD** Al. Dzieci Polskich 20, 04-730 Warszawa,