



# Stowarzyszenie Chorych na (MPS) Mukopolisacharydozę i Choroby Rzadkie

Głusków dnia 05.01.2012 r.

**Marszałek Sejmu Ewa Kopacz**  
ul. Wiejska 4/6/8,  
00-902 Warszawa

## Prośba

Zarząd Stowarzyszenia Chorych na Mukopolisacharydozę i Choroby Rzadkie zwraca się z prośbą o wprowadzenie odpowiednich przepisów prawnych umożliwiających prowadzenie terapii domowej dla pacjentów chorych na Mukopolisacharydozę typ I Hurler, MPS typ II Hunter, MPS typ VI Maroteaux-Lamy, choroby Pompego oraz inne choroby lizosomalne.

Ponad dwuletnie doświadczenia w leczeniu enzymatycznym pacjentów z MPS typ II-Hunter, VI-Maroteaux-Lamy i choroby Pompego oraz znacznie dłuższe doświadczenia w leczeniu pacjentów innymi chorobami lizosomalnymi skłaniają nas do zwrócenia się z prośbą o rozważenie możliwości podawania dożylnego preparatów enzymatycznych w ramach enzymatycznej terapii zastępczej poza placówkami lecznictwa zamkniętego w domu.

Konieczność cotygodniowego w przypadku mukopolisacharydoz i co dwutygodniowego w przypadku pozostałych chorób lizosomalnych wymaga każdorazowo przyjęcia do oddziału szpitalnego.

W przypadku dzieci ciężiej chorych jest to niezwykle uciążliwe związane najpierw z dojazdem, niekiedy z odległej miejscowości, oczekiwaniem na przyjęcie na oddział i wreszcie po podaniu leku powrotem do domu. Jest to sytuacja dezorganizująca życie rodziny i narażającą ją na poważne koszty.

Leczenie enzymatyczne w warunkach domowych jest od lat realizowane w wielu krajach Unii Europejskiej. Wykazano, że podawanie leku enzymatycznego jest bezpieczne i nie ma większego ryzyka powikłań.

Najdłużej terapia domowa jest prowadzona w Wielkiej Brytanii, nie tylko ze względu na korzyść dla pacjentów i ich rodzin, ale również dlatego, że jest znacznie tańsza niż leczenie szpitalne. Wprowadzenie odpowiednich przepisów prawnych umożliwiających prowadzenie terapii domowej byłoby dla naszych pacjentów ogromnym udogodnieniem i ulgą w ich i tak ciężkim życiu.

Stowarzyszenie MPS i Choroby Rzadkie od kilku lat nieśmiało sygnalizuje o konieczności wprowadzenia terapii domowej. Lecz ze względu na ogromną radość pacjentów i ich rodzin, którzy uzyskali dostęp do leczenia tak drogimi preparatami, że o uciążliwościach związanych z dojazdami i pobytami w szpitalu nie odważyli się wypowiadać.

To spowodowało, że oficjalnie nie mieliśmy odwagi wystąpić z prośbą, aby kontynuacja leczenia ERT odbywała się w warunkach domowych.

Po kilku latach prowadzenia bez powikłań enzymatycznych terapii, bardzo prosimy o rozważenie wprowadzenia terapii domowych, aby ciężkie życie pacjentów z chorobami stało się mniej uciążliwe.



# Stowarzyszenie Chorych na (MPS) Mukopolisacharydozę i Choroby Rzadkie

---

Z wyrazami wielkiego szacunku,

Prezes Stowarzyszenia MPS i Choroby Rzadkie

*T. Matulka*

Teresa Matulka

[www.chorobyrazadkie.pl](http://www.chorobyrazadkie.pl),

Do:

1. Marszałka Sejmu **Ewy Kopacz**, *ul. Wiejska 4/6/8, 00-902 Warszawa*
2. Ministra Zdrowia, **Bartosza Arłukowicza**, *ul. Miodowa 15, 00-952 Warszawa*
3. Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia, **Jacka Paszkiewicza**, *02-390 Warszawa, ul. Grójecka 186*
4. Przewodniczącego Sejmowej Komisji Zdrowia, **Bolesława Piechy**, *ul. Wiejska 4/6/8, 00-902 Warszawa*
5. Rzecznika Praw Pacjenta, **Krystyny Kozłowskiej**, *al. Zjednoczenia 25 01-829 Warszawa*
6. Przewodniczącego Zespołu ds. Chorób Rzadkich, **Jacka Gralińskiego** Ministerstwo Zdrowia Zespół do spraw Chorób Rzadkich, *ul. Miodowa 15, 00-952 Warszawa*