

Przybliżyć Choroby Rzadkie – Międzynarodowa Konferencja Lekarzy

6 lipca w Kielcach rozpoczęła się jubileuszowa, międzynarodowa X Europejska Konferencja Chorób Rzadkich „Przybliżyć Choroby Rzadkie”, podczas której odbywały się wykłady lekarzy oraz konsultacje medyczne dla chorych.

Rzadka śmiertelna choroba genetyczna, taka jak mukopolisacharydoza, występuje najwyżej u pięciu na dziesięć tysięcy osób. W Polsce gen śmierci to fatalny pech, który trafia się rzadko jak milion w totka. Tyle mniej więcej pieniędzy każdego roku potrzeba na terapię chorego dziecka. Chorują dzieci i młodzi ludzie. W USA przyjmuje się średni limit życia dla chorych – 35 lat.

W Polsce problem chorób rzadkich jest jeszcze mało znany, podobnie jak liczba osób chorych w naszym kraju. Co pewien czas kwestię podejmują środowiska eksperckie zaangażowane w dramatyczną walkę o godne warunki życia i prawo do leczenia. Jedną z interwencji mogących zmienić świadomość społeczną w zakresie chorób rzadkich oraz stać się impulsem dla systemowych zmian w strategii leczenia tych chorób jest organizowana przez Stowarzyszenie Chorych na Mukopolisacharydozę (MPS) i Choroby Rzadkie z siedzibą w Głogowie naukowa X Europejska Konferencja Chorób Rzadkich „Przybliżyć Choroby Rzadkie”.

Odbędzie się ona od 6 do 8 lipca 2012 roku w Cedzynie koło Kielc (adres konferencji: Ośrodek Rehabilitacyjno-Wypoczynkowy „ECHO” w Cedzynie, 25-900 Kielce, <http://chorobyrazdkie.pl/>, tel. (0 22) 757 81 29, tmatulka@wp.pl).

Choroba sieroca dla państwa

W Unii Europejskiej klasyfikowanych jest od 5 do 8 tys. różnych chorób rzadkich, które bywają nazywane chorobami sierocymi ze względu na wysokie koszty i dostęp do leczenia. Wymienia się wśród nich choroby metaboliczne, lecz także m.in. onkologiczne, neurologiczne oraz gastroenterologiczne. W terapii tych chorób stosuje się leki, które w Unii Europejskiej mają specjalną nazwę – to tzw. leki sieroce. Według rozporządzenia UE 141/2000 status leku sierociego pojawia się w terapii chorób bardzo rzadko występujących, poważnych, przewlekłych, zagrażających życiu. Kryterium choroby rzadkiej to zachorowalność. Zgodnie z przepisami UE lek może być uznany za sierocy, jeśli spełnia następujący warunek: jest stosowany w przypadku leczenia schorzeń występujących rzadziej niż u 5 na 10 tys. mieszkańców Unii.

Szacuje się, że we wszystkich krajach członkowskich Unii na choroby rzadkie zapada do 36 milionów ludzi, a więc to prawie cała Polska. Nie ma jednak dokładnych danych statystycznych na temat liczby zachorowań w naszym kraju.

Listę leków sierocych dostępnych w Europie, która jest aktualizowana co miesiąc, zamieszcza portal Orphanet (referencyjny portal na temat rzadkich chorób i leków sierocych, przeznaczony dla każdej grupy odbiorców).

Wykrywalność tych chorób jest u nas niska. Pomimo mecenatu rządowego realizowanego poprzez sprzyjanie refundacji leczenia pacjentów problem sierocych chorób i leków nie znajduje oparcia w polskim prawie. Brakuje silnego lobby na rzecz chorych, a także legislacyjnego podejścia czy marketingowych działań. Tych chorób „nie opłaca się” leczyć. Zaledwie okolicznościowe merytoryczne kampanie informacyjne sprawiają, że chorobami rzadkimi interesują się głównie regularnie działające stowarzyszenia i organizacje wolontariackie.

Stowarzyszenie Przedstawicieli Producentów Leków Sierocych zaleca informowanie o specyfice badań i produkcji leków sierocych, jak również o dostępności leczenia na terenie naszego kraju, a także postuluje, by powstał Narodowy Program na rzecz Chorób Rzadkich, do czego zobowiązuje Polskę uczestnictwo w Unii. W Unii Europejskiej leczenie chorób rzadkich jest bowiem problemem priorytetowym. W Polsce zgodę na leczenie pacjenta musi wydać Minister Zdrowia. Rodziny chorych same muszą borykać się z

finansowym obciążeniem i ponosić koszty opieki paliatywnej, gdyż pomoc socjalna jest nikła. Niejednokrotnie pozostawione samym sobie rodziny czekają na decyzje urzędników w sprawie możliwości podjęcia czy kontynuowania refundowanego leczenia chorych dzieci i młodych ludzi.

Za finansowanie specjalnego programu terapeutycznego przeznaczonego dla pacjenta, badania naukowe i produkcję leków sierocych trzeba słono zapłacić. Była minister resortu zdrowia Ewa Kopacz po interwencjach rodziców chorych dzieci rozpoczęła w 2008 roku batalię o finansowanie chorób rzadkich. Rok później państwo wydało 46 mln zł na ten cel, w 2010 roku było to 137 mln. O przystąpieniu do programu leczenia w każdym indywidualnym przypadku decyduje Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrarzadkich.

Rok temu w Polsce cena leczenia wzrosła dramatycznie. Stało się nią życie chorych dzieci. Dwoje z nich otrzymało wyrok wymierzony przez polską komisję lekarską: odebranie prawa do leczenia. Decyzję uzasadniały bezsprzeczne opinie lekarskie, co do których istnieją poważne zastrzeżenia m.in. rodziców chorych dzieci. O tym fakcie pisały w lutym tego roku Gazeta Olsztyńska i Dziennik Elbląski.

Dobro nie jest w Polsce bezkarne. Dziecko z bardzo rzadką i śmiertelną chorobą genetyczną, taką jak np. mukopolisacharydoza, ma teoretycznie szansę na leczenie finansowane ze środków NFZ. Jak długo? Trzeba zapłacić około półtora miliona złotych rocznie za ratowanie malca, któremu ta podstępna i trudno wykrywalna choroba odbierze wszystko. To kwestia czasu, paragrafów, orzeczeń państwowej komisji lekarskiej.

Uwaga: Chorzy!

W tegorocznej międzynarodowej konferencji udział wezmą lekarze z wielu krajów centralnej i wschodniej Europy (Polska, Białoruś, Ukraina, Rosja, Litwa, Łotwa, Estonia, Bośnia, Czechy, Słowacja, Słowenia). Uczestniczyć w niej będą specjaliści z kraju i zagranicy zajmujący się problematyką MPS i chorób rzadkich, lekarze prowadzący enzymatyczne terapie zastępcze, liderzy organizacji pacjentów z kraju i zagranicy, przedstawiciele administracji państwowej. Prowadzone będą wykłady i seminaria dla lekarzy oraz co ważne – konsultacje medyczne.

Jak pisać na stronie Stowarzyszenia Organizatorzy: "Wszyscy członkowie nieuczestniczący w turnusie rehabilitacyjno-wypoczynkowym, którzy chcą wziąć udział w konferencji proszeni są o pilny kontakt z organizatorami mailowo: biuro@chorobyrazadkie.pl lub telefonicznie: (22) 757-81-29, kom.: 601 30-04-52 w celu uzgodnienia szczegółów.

Ze względu na bardzo dużą ilość zgłoszeń osoby, które przyjadą bez zapowiedzi i wcześniejszych uzgodnień, nie będą mogły wejść i uczestniczyć w Konferencji oraz skorzystać z konsultacji medycznych.

Wstęp na Konferencję wyłącznie z identyfikatorem i za potwierdzeniem udziału".

Konferencja organizowana jest przy współpracy Komitetu Naukowego składającego się z wybitnych naukowców w dziedzinie chorób rzadkich oraz organizacji pacjentów: Federacji Pacjentów Chorób Rzadkich w Europie Centralnej Wschodniej, Stowarzyszenia Chorych na Mukopolisacharydozę (MPS) i Choroby Rzadkie, Stowarzyszenia Debra Polska Kruchy Dotyk, Polskiego Stowarzyszenia Pomocy Chorym z Obrzękiem Naczynioruchowym, Ogólnopolskiego Stowarzyszenia Pomocy Osobom z Zespołem Retta, Stowarzyszenia na Rzecz Osób z Zespołem Smitha, Lemlego i Opitza "SLOmisie", Fundacji Watch Health Care im. Prof. Jacka Ruszkowskiego, Central & East European Genetic Network, EURORDIS, Rare Diseases Europe.