

Do końca października br., zgodnie z zapowiedziami Ministerstwa Zdrowia, ogłoszona zostanie nowa lista leków refundowanych. Zmiany mają uwzględniać wnioski i rekomendacje będące rezultatem prac działającego od lipca resortowego zespołu ds. chorób rzadkich.

Na nowych listach refundacyjnych mają się znaleźć leki umożliwiające leczenie pacjentów chorych na mukopolisacharydozę oraz na chorobę Pompego.

Chodzi o trzy preparaty, które wcześniej uzyskały negatywną rekomendację Agencji Oceny Technologii Medycznych: galsufazę (Naglazyme) w leczeniu mukopolisacharydozy (MPS) typu II, iduronian (Elaprase) w leczeniu MPS typu VI i algukozydazę alfa (Myozyme) w leczeniu choroby Pompego. Ten ostatni lek uzyskał 5 maja 2008 roku pozytywną rekomendację AOTM i został wpisany do programu terapeutycznego. Agencja przypomina, że inny typ mukopolisacharydozy czyli choroba Hurlera jest finansowany od 2005 roku, podobnie jak terapia choroby Gauchera, finansowana od 13 lat.

Obecnie AOTM analizuje kolejny przypadek - chorobę Fabry'ego, wkrótce analiza trafi do zespołu ds. chorób rzadkich.

- Choroby rzadkie powinny być finansowane ze środków publicznych, ale powinna być pełna kontrola nad ordynowanymi lekami - uważa Wojciech Matusiewicz, dyrektor AOTM i członek zespołu.

Za wpisaniem leków na listy silnie opowiadają się stowarzyszenia chorych na choroby rzadkie. 15 maja br., w Światowy Dzień Chorych na Mukopolisacharydozę i Choroby Rzadkie rodziny chorych dzieci pikietowały przed kancelarią premiera. W petycji do szefa rządu i ministra zdrowia, domagano się rozpoczęcia terapii choroby Pompego i Mukopolisacharydozy typu II i VI.

- Dzieci cierpiące na mukopolisacharydozę typu VI (choroba Maroteaux-Lamy) czekają na zarejestrowany w 2006 roku lek Naglazyme, osoby dotknięte chorobą Pompego na zarejestrowany także w 2006 roku Myozyme, a chorujący na mukopolisacharydozę typu II (choroba Huntera) na Elaprase (rejestracja w roku 2007) – czytamy w petycji.

W innych krajach specjalne zespoły indywidualnie ustalają sposób finansowania dla każdej terapii, często w oparciu o współfinansowanie przez producenta leku. We Francji np. kwestia finansowania terapii opiera się na negocjacjach, w których bierze udział pacjent, producent leku oraz strona rządowa – resort zdrowia i ubezpieczyciel.

Ostatnia zmiana list refundacyjnych umożliwiła finansowanie leczenia trzech innych chorób przewlekłych. Dwie z nich dotyczą dzieci i są to tzw. choroby rzadkie (pęcherzowe odwarstwianie naskórka i pierwotna dyskineza rzęsek) oraz stan po resekcji trzustki. Problem dotyczy około 2,5 tys. pacjentów.

Jednocześnie NFZ uruchomił nowy terapeutyczny program zdrowotny - zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B. Zostały nim objęte dzieci chore na hemofilię A i B do 18. roku życia. Dotyczy to ok. 450 pacjentów. Na refundację leków w 2009 roku NFZ zamierza przeznaczyć 7,2 mld zł.

Gazeta Prawna/AOTM/[www.rzadkiechoroby.pl/LJ/Rynek Zdrowia](http://www.rzadkiechoroby.pl/LJ/Rynek_Zdrowia)

Źródło: <http://www.rynekzdrowia.pl/>