

## Choroby rzadkie: zagrożona refundacja leku na zespół Huntera

[Share on facebook](#) [Share on twitter](#) [Share on email](#) [Share on print](#) [More Sharing Services](#) [3](#)

[wydrukuj artykuł](#) [prześlij dalej](#) [0 komentarzy](#)

W Ministerstwie Zdrowia waży się los 21 dzieci cierpiących na zespół Huntera. Nie można ich uleczyć, ale można spowolnić przebieg choroby - za 900 tys. zł rocznie. Eksperci radzą ministrowi zdrowia, by zrezygnował z finansowania nieskutecznego i niezwykle drogiego leku - opisuje Gazeta Wyborcza.



W Polsce jest przynajmniej 21 chłopców ze zdiagnozowanym zespołem Huntera. O tylu wiadomo, bo przechodzą leczenie. Dziewczynki zwykle nie dziedziczą tej wady genetycznej. Organizmy chorych nie wytwarzają enzymu rozkładającego cukry złożone (mukopolisacharydy), które gromadzą się w organizmie, doprowadzając do wyniszczenia komórek i organów.

Przez ostatnie pięć lat NFZ refundował Elapraxe - nowy lek, zawierający brakujący enzym. W Polsce za roczną terapię trzeba zapłacić 800-900 tys. zł w zależności od wagi pacjenta.

Teraz ma się to zmienić. "Skuteczność leczenia jest niezadowolająca. Nowe obserwacje pochodzące z badań nie zmieniły dowodów dotyczących skuteczności" - oświadczyła ostatnio powołana przez ministra zdrowia Rada Przejrzystości. To komisja złożona z 20 ekspertów, działa przy państwowej Agencji Oceny Technologii Medycznych (AOTM).

Rada ocenia listę leków refundowanych i formułuje rekomendacje. Tu zostawiła małą furtkę: "Konieczne jest zabezpieczenie praw nabytych dotychczas leczonych pacjentów" - napisała. Ale - jeśli minister posłucha opinii ekspertów - ci, którzy dopiero zachorują, leku nie dostaną.

Treść rekomendacji potwierdza ministerstwo. - Zdaniem ekspertów skuteczność leku jest wątpliwa - mówi Krzysztof Bąk, rzecznik Ministerstwa Zdrowia. Zaznacza, że minister nie musi postąpić zgodnie z opinią Rady. Opinia Rady nie jest dla ministra wiążąca, choć bardzo ważna. Drugim kryterium będzie dobro pacjentów.

Na początku listopada zostanie opublikowana nowa lista leków refundowanych. Rodzice chorych dzieci z lękiem czekają na decyzję ministra.

Dr Dariusz Rokicki z Kliniki Chorób Metabolicznych, Endokrynologii i Diabetologii Centrum Zdrowia Dziecka mówił portalowi rynekzdrowia.pl, iż terapie stosowane w chorobach rzadkich powinny być finansowane z oddzielnego budżetu.

Już w marcu br. członkowie Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrazadkich działającego w Centrum Zdrowia Dziecka, z uwagi na brak dowodów skuteczności zastosowanego leczenia, zdecydowali o zaprzestaniu terapii pacjenta z zespołem Huntera (mukopolisacharydoza typu II). - Zespół decyduje na podstawie danych, które przysyła lekarz prowadzący danego pacjenta. Każdy lekarz dokonuje oceny chorego i w ciągu kilku lat wyłania się obraz - czy choroba postępuje, czy nie - mówił dr Rokicki.

Przypomina, że warunkiem włączenia do terapii jest ocena jej działania po określonym czasie. Jeśli okaże się, że lek nie przynosi oczekiwanego efektu, terapia nie jest kontynuowana.

- Terapii nie zaniechano z powodu jej wysokich kosztów. Przesłanką jej stosowania jest skuteczność - prezentuje medyczny punkt widzenia dr Rokicki, chociaż zdaje sobie sprawę, że inaczej na ten problem patrzą chorzy i ich rodziny. - Będą walczyć o dostęp do leku. Pacjenci mówią, że odbieramy im nadzieję. Tylko, że my - jako przedstawiciele Zespołu - nie leczymy nadziei.

Źródło: <http://www.rynekzdrowia.pl/Finanse-i-zarzadzanie/Choroby-rzadkie-zagrozona-refundacja-leku-na-zespol-Huntera,134451,1.html>