



Iwona Schymalla, 2016-05-25 11:19

Jest nadzieja dla chorych na mukopolisacharydozę

W wielu krajach świata, w tym Europy enzymatyczna terapia zastępcza jest już z sukcesem stosowana u pacjentów z mukopolisacharydozą typu czwartego. Jakie efekty można obserwować i jak wygląda dostęp pacjentów do tego leku w Polsce?

W tej chwili lek jest wprowadzony do obrotu w Europie. Już są w poszczególnych krajach doświadczenia z leczeniem, gdzie lek został zarejestrowany. W tej chwili w Polsce lek czeka na rozpoczęcie terapii programem terapeutycznym. Niestety, chwilowo opóźnia się ten proces. Mam nadzieję, że wkrótce ruszy. Mamy kilkudziesięciu chorych w Polsce, więc liczymy, że program zostanie wprowadzony.

Jaki jest sposób działania tego leku? Jak on wpływa na pacjenta z tym typem mukopolisacharydozy?

Choroba jest uwarunkowana genetycznie i jest postępująca. Nie ma możliwości wyleczenia takiej choroby. Jedynie można uzyskać spowolnienie jej przebiegu. Pacjentów jest niewiele, a dolegliwości związane z układem kostnym są ogromne. Tu pomoc ze strony leku jest bardzo duża. Daje on znakomitą poprawę kliniczną w tych zakresach, w których lek jest zarejestrowany.

Czyli pacjenci w Polsce z typem czwartym choroby nie są w ogóle leczeni?

Tak. Nie są. Dla choroby Marquio nie ma jeszcze programu terapeutycznego.

Czyli choroba postępuje i najczęściej kończy się na wózku inwalidzkim z dużymi defektami ciała bo, jak wiadomo, jest to choroba wieloukładowa.

Choroba jest wieloukładowa, dająca ogromne deformacje kostne, duże cierpienie i narastanie objawów. Leczenie pomaga, a brak leczenia pogarsza stan choroby. Tu nie ma wielkiej filozofii, więc czekamy na leczenie.