

## Kto się zajmie chorymi na choroby rzadkie?

2016-07-07 10:29

Podczas XIV Międzynarodowej Konferencji „Choroby Rzadkie - Nasze Zadanie” przybliżono specyfikę chorób oraz najważniejsze potrzeby pacjentów: właściwą diagnostykę, kompleksową opiekę medyczną, specjalistyczną rehabilitację oraz sprzęt medyczny niezbędny do normalnego funkcjonowania osoby chorej w warunkach domowych.



[Choroby rzadkie](#)

„Kto się nami zajmie?” na to pytanie, zadane przez chorych na choroby rzadkie, starali się odpowiedzieć eksperci i przedstawiciele systemu. Organizatorem debaty, jak i XIV Międzynarodowej Konferencji Chorób Rzadkich pt. „Choroby rzadkie - Nasze zadanie” byli sami pacjenci, zrzeszeni w Stowarzyszeniu Chorych na Mukopolisacharydozę (MPS) i Choroby Rzadkie, którego prezesem jest Teresa Matulka.

W czasie spotkania dużo uwagi poświęcono tworzonemu Narodowemu Planowi Chorób Rzadkich, w ramach którego powstanie sieć ośrodków referencyjnych. Założenie jest takie: pacjent i jego rodzina byli kierowani do punktu, w którym znajdzie się specjalista, który wie coś na temat rzadkich chorób.

"Podstawowymi problemami jest dotarcie pacjenta do właściwego ośrodka. Tworzenie mapy ośrodków referencyjnych powinno być oparte na rzeczywistej wiedzy ludzi, którzy się tym zajmują, a nie na teoretycznym założeniu, że ma być na przykład pełna kompleksowość, bo ma być np. neurochirurgia. My nie mamy neurochirurgii w naszym szpitalu, ale wszyscy nasi pacjenci są konsultowani przez neurochirurgów. Nie jesteśmy w stanie stworzyć 70 ośrodków, które będą mieć wszystkie specjalizacje" - mówił dr Zbigniew Żuber z Wojewódzkiego Szpitala Dziecięcego św. Ludwika w Krakowie.

"Narodowy Plan Chorób Rzadkich jest rzeczą niezwykle istotną, obecnie trwają intensywne prace nad dokumentem. Mamy czas do końca roku na opracowanie planu, tak aby jego realizacja rozpoczęła się w 2017. Ogólna koncepcja została już opracowana, obecnie pracujemy nad poszczególnymi zagadnieniami - zapewniał Krzysztof Łanda, podsekretarz stanu w Ministerstwie Zdrowia. "Narodowy Plan Chorób Rzadkich będzie zajmować się kilkoma obszarami. Obecnie powstały tzw. grupy robocze: diagnostyka, edukacja, opieka społeczna, rejestry i standardy postępowania, świadczenie nie lekowe. W planach jest otworzenie jeszcze jednego podzespołu, który będzie sprawdzał ile środków zostało przeznaczonych na leczenie osób z chorobami rzadkimi i ultra rzadkimi.

### Poruszono też temat leków sierocych.

"Najważniejszym czynnikiem, który pobudzi przemysł farmaceutyczny jest polityka refundacyjna. Dzisiaj leki sieroce mają marne szanse na uzyskanie refundacji w Polsce, bo mamy podejście utylitarne - wymagana jest analiza ekonomiczna. W ustawie refundacyjnej pojawi się podejście egalitarne, zamiast analizy ekonomicznej będzie uzasadnienie ceny i nie będzie żadnego odnoszenia do progu opłacalności. Jednak i tak producent będzie musiał wykazać, dlaczego żąda takiej kwoty" - mówił Krzysztof Łanda. "Powinniśmy mieć w Europie jedną wspólną listę refundowanych leków sierocych. Wszystkie państwa powinny zrzucić się na ich refundację i powinien być jeden równomierny dostęp do technologii sierocych".

Prezes Fundacji Razem w Chorobie w sytuacji chorych dostrzega dwa problemy. "Jeden to socjalny, zabezpieczenie domu opieki. Drugi to dostępność do leków, które mogą łagodzić, zwalniać rozwój choroby. Lekiem jest białko, które nasz organizm wytwarza w zbyt małej ilości albo nie wytwarza go wcale. W naszych organizmach w następstwie złej mutacji genu nie są wytwarzane te właściwe białka - enzymy, które wchodzi w tzw. szlaki metaboliczne. I właśnie taki enzym trzeba wyprodukować, a dzisiaj technologia wytwarzania takich leków jest kulawa i niezwykle kosztowna. W związku z tym trzeba stworzyć oddzielny fundusz na leki sieroce - mówi dr Leszek Borkowski, prezes Fundacji Razem w Chorobie.

Na zdjęciu: dr Leszek Borkowski, prezes Fundacji Razem w Chorobie, Krzysztof Łanda, wiceminister zdrowia, Kamila Malinowska, wicedyrektor DPLiF w Ministerstwie Zdrowia i Marek Woch, pełnomocnik prezesa NFZ.

Materiał chroniony prawem autorskim - wszelkie prawa zastrzeżone. Wszelkie prawa w tym Autora, Wydawcy i Producenta bazy danych zastrzeżone. Jakiegokolwiek dalsze rozpowszechnianie artykułów zabronione.

Czytaj więcej na [http://pulsmedycyny.pl/4580084,9583,kto-sie-zajmie-chorymi-na-choroby-rzadkie?utm\\_source=copyPaste&utm\\_medium=referral&utm\\_campaign=Firefox](http://pulsmedycyny.pl/4580084,9583,kto-sie-zajmie-chorymi-na-choroby-rzadkie?utm_source=copyPaste&utm_medium=referral&utm_campaign=Firefox)

Czytaj więcej na [http://pulsmedycyny.pl/4580084,9583,kto-sie-zajmie-chorymi-na-choroby-rzadkie?utm\\_source=copyPaste&utm\\_medium=referral&utm\\_campaign=Firefox](http://pulsmedycyny.pl/4580084,9583,kto-sie-zajmie-chorymi-na-choroby-rzadkie?utm_source=copyPaste&utm_medium=referral&utm_campaign=Firefox)