

Urzednicy NFZ zdecydują dzis, czy znajdą się srodki na lekarstwo dla dzieci z nieuleczalnà chorobà metabolicznà. Tomek, Bartek i Kinga to dzieci Marii Widalskiej. Wszyscy troje cierpià na chorobê Pompego, bardzo rzadkie schorzenie genetyczne.

- Ich organizmy produkujà zbyt małą iloœç enzymu odpowiedzialnego za rozklad glikogenu. Na skutek tego nie jest wydalany z organizmu, lecz odklada siê w miêśniach. Z czasem coraz bardziej je uszkadza - wyjaœnia pani Maria.

- Glikogen z czasem powoduje parali¿. Najczêœciej chory ma tak¿e problemy z oddychaniem. Glikogen nie uszkadza mózgu, pacjenci sà wiêc œwiadomi swej sytuacji - mówi Mirosław Zieliñski, prezes Krajowego Forum na rzecz Terapii Chorób Rzadkich.

Rzadka choroba garstki osób

W caiej Polsce jest tylko 15 osób z chorobà Pompego. Nie majà szansy na wyleczenie. Chorobê mo¿na jedynie zatrzymaç, przyjmujàc Myozyme, lek zawierajàcy brakujàcy enzym. W całym kraju preparat jest podawany siedmiu najbardziej chorym. Jednym z nich jest Tomek Widalski, u którego pierwsze objawy wystàpiły ju¿ kilka lat temu. Nastolatek przyjmuje lek od poczàtku roku.

- Od razu zauwa¿yłam u syna poprawê. Wczêœniej bolały go miêœnie, problem sprawiàło mu nawet przelykanie jedzenia - opowiada mama chłopca.

W kwietniu miało siê rozpoczàc leczenie kolejnej dwójki dzieci. Tymczasem w marcu pani Maria dowiedziàła siê, ¿e nawet dalsza terapia Tomka stoi pod znakiem zapytania. Powód? Pieniądze.

Lek dro¿szy od ¿ycia

Leczenie pacjentów z chorobami metabolicznymi nale¿y do najbardziej kosztownych. Jednorazowa dawka leku kosztuje ok. 50 tys. zł. A trzeba go przyjmowaç co dwa tygodnie.

Tomek przez trzy miesiàce otrzymywał lek w Centrum Zdrowia Dziecka, które jako jedyne na Mazowszu zajmuje siê dziećmi ze schorzeniami metabolicznymi.

- NFZ wydał nam zgodê na leczenie tych dzieci w ramach farmakologii niestandardowej - mówi dyrektor ds.

klinicznych CZD Robert Zawadzki. - Nie dostaliœmy jednak na to srodków. Za ka¿dym razem urzednicy jako Źródło finansowania wskazujà nasz kontrakt na całą placówkê. Dotychczas tak robiliœmy, ale dłu¿ej nie mo¿emy.

Terapia czworga dzieci kosztowała od stycznia ponad 640 tys. zł (pozostałych troje dostaje lek charytatywnie od producenta). Ich leczenie przez nastêpne miesiàce zmniejszyłoby bud¿et placówki o nawet 3 mln zł. - To wiêcej ni¿ cały kontrakt Kliniki Chorób Metabolicznych - twierdzi Zawadzki.

Skąd wziàc pieniàdze

Dzisiaj w mazowieckim NFZ rozstrzygnie siê sprawa dalszego leczenia dzieci. Urzednicy zapowiadajà jednak, ¿e nie zwiêkszà wartoœci kontraktu dla CZD. Skąd wiêc lekarze majà wziàc pieniàdze?

- Z niedowyoonań w leczeniu chorób Gauchera i Hurlera (tak¿e schorzeń metabolicznych) - wyjaœnia rzecznik mazowieckiego NFZ Jerzy Serafin. Oficjalnie ta propozycja nie wpłynêła jednak do szpitala. Pierwszà dawkê myozyme na kwiecieñ nieodpłatnie przekazał producent preparatu. Zbli¿a siê termin podania kolejnej. Co teraz?

CZD zło¿yło wniosek o wpisanie leków na chorobê Pompego na listê programów lekowych. Wtedy NFZ musiałby znaleźç pieniàdze na ten cel. Na razie dyrekcja nie otrzymała odpowiedzi na swoje pismo.

Agnieszka Sijka - Rzeczpospolita

Źródło: <http://www.rp.pl/>