

„Są jak dzieci bez rodziców. Dla ich rozwoju należy podjąć specjalne wysiłki” - powiedział o nich w roku 1983 autor określenia „leki sieroce”, amerykański kongresman Henry Waxman. Od tego czasu podjęto na świecie wiele działań, by zapewnić terapię ofiarom rzadkich chorób.

O ile w latach 1973 - 1983 zarejestrowano w USA 10 takich leków, to od 1983 do 1999 dzięki lobbingowi organizacji pacjentów - aż 196. W wielu krajach przyjęto ustawy promujące badania w tym kierunku, bo im rzadsza choroba, tym mniej opłacalne dla wielkich firm jest opracowanie i produkcja leków. Niewielka liczba potencjalnych nabywców nie zapewnia zwrotu poniesionych nakładów.

Bo przecież koncerny farmaceutyczne mają (muszą?) przynosić zysk.

Sierocych leków dostarczają małe, wyspecjalizowane firmy zatrudniające kilkadziesiąt osób - co zmniejsza koszty własne. Leki nie są produkowane w fabrykach, lecz na skale laboratoryjna. Nawet opakowania sprawiają problemy - produkty trzeba pakować ręcznie, a najmniejsza partia pudełek, jaką można zamówić u ich wytwórcy, starcza na kilkadziesiąt lat.

- Konieczne do zarejestrowania leku badania kliniczne obejmują nie setki osób, ale dziesiątki, a czasem tylko kilkunastu pacjentów, bo nie ma ich więcej w całej Europie - mówi reprezentująca Orphan Europe, firmę zajmującą się sierocymi lekami, lekarz medycyny Małgorzata Rogaszewska.

Aby zachęcić do badań i wytwarzania leków na rzadkie choroby, Unia Europejska zapewnia wyłączność na ich wytwarzanie przez 10 lat oraz redukcje opłat związanych z rejestracją. Jednak i tak koszt miesięcznej terapii jednego dziecka - zależnie od rodzaju choroby sieroczej - waha się od kilkuset do kilku tysięcy euro.

Najdroższym lekiem świata media okrzyknęły lek sierocy na chorobę Gauchera wytwarzany przez firmę Genzyme. Roczna terapia nim może kosztować nawet 150 tysięcy euro. Trzeba go brać do końca życia. To enzym, którego z powodu uszkodzonego genu nie wytwarza organizm chorego. Odpowiada za rozkładanie naturalnie występującej w organizmie substancji tłuszczowej. Gdy enzymu brak, w różnych organach następuje odkładanie się substancji, które powinny być usuwane. Nie leczona choroba Gauchera prowadzi do ciężkiego kalectwa z powodu uszkodzenia różnych organów ciała: mózgu, wątroby, śledziony, kości i krwi, a w konsekwencji do śmierci. Leczenie jest często stuprocentowo skuteczne. W Polsce z tą chorobą żyją 63 osoby. 7 osób ma zdiagnozowaną chorobę Pompego, 43 cierpią na chorobę Fabry'ego. Ich sytuacja jest podobna do chorych na inne choroby sieroce. Nielezione są śmiertelne, a terapia kosztuje blisko sto tysięcy euro miesięcznie. Do tego wiele leków sierocych nie podlega refundacji. Wysoka cenę tych specyfików tłumaczy koszty produkcji - leków sierocych nie wytwarza się w fabryce. Najczęściej to skomplikowany proces biotechnologiczny - w laboratorium hoduje się tkanki, czasem bakterie, które produkują ten lek. Do tego firmy muszą odzyskać koszty poniesione na badania i mieć pieniądze na dalszy naukowy rozwój.

- W Narodowym Funduszu Zdrowia są tak zwane programy zdrowotne. Zapewniają refundację leków w szczególnych przypadkach. Drugą drogą są programy zdrowotne ministra zdrowia, które obejmują również leki stosowane w rzadkich chorobach - mówi doktor Błaszczuk.

W niektórych przypadkach firmy dają chorym lek za darmo.

Olga Woźniak - Przekrój