

W Polsce jest czwórka dzieci chorych na bardzo rzadką chorobę - mukopolisacharydozę. Jeśli nie poda się im nowego leku, umrą. Problemem jest cena leku.

W Polsce jest czwórka dzieci chorych na bardzo rzadką chorobę - mukopolisacharydozę. Jeśli nie poda się im nowego leku, umrą.

Problemem jest cena leku. Według krajowego konsultanta ds. pediatrii doc. Dobrzańskiej roczna kuracja dla całej czwórki kosztowałaby około 2 mln zł. Narodowy Fundusz Zdrowia szacuje, że koszt tej terapii wynosiłby blisko 3,2 mln zł. "To roczne utrzymanie oddziału pediatrycznego. Fundusz nie ma takich pieniędzy zarezerwowanych w planie" - powiedziała rzeczniczka NFZ Renata Furman.

"To są jedyne w Polsce dzieci, które chorują na tę chorobę. Inne umarły. Te też umrą, jeśli nie poda się im tego leku. Jeśli podamy - przywrócimy im normalność. To dla nich jedyny ratunek" - podkreśliła Dobrzańska.

Lek jest nowy, zarejestrowano go najpierw w USA w kwietniu, a następnie w Unii Europejskiej. Jak wyjaśniła docent, lek to enzym, którego brakuje chorym dzieciom. Dzieci chore na mukopolisacharydozę umierają w drugiej dekadzie życia. "Ten lek pozwoli im nie tylko żyć, ale i cofną się objawy tej choroby" - powiedziała doc. Dobrzańska. W sytuacji, w której lek nie jest zarejestrowany w Polsce, a jest potrzebny choremu, można go sprowadzić w ramach tzw. importu docelowego. "Wniosek został już dawno wypisany" - powiedziała Dobrzańska.

Rzeczniczka Ministerstwa Zdrowia Agnieszka Gołąbek powiedziała, że minister podpisał wniosek na sprowadzenie tego leku. Wciąż nie ma decyzji, kto ma za lek zapłacić. "Z przepisów wynika, że Fundusz" - powiedziała Gołąbek. Zazaczyła jednak, że sprawa nie jest jeszcze zakończona i w przyszłym tygodniu dojdzie do spotkania ministra z gronem ekspertów, m.in. doc. Dobrzańską. Fundusz uważa, że lek powinien być sfinansowany z budżetu ministra zdrowia w ramach procedur wysokospecjalistycznych.

Według Dobrzańskiej, producent leku jest skłonny obniżyć jego cenę. "Ponadto w miarę upływu czasu od rejestracji cena leku maleje" - dodała.

Mukopolisacharydoza to rzadka choroba metaboliczna, związana z wrodzonym błędem metabolicznym, powodującym odkładanie się w komórkach niezmetabolizowanych substancji. W wyniku tego uszkodzają one komórki i narządy. W miarę upływu czasu choroba postępuje, prowadząc nieuchronnie do śmierci."

Dar Życia