

Trójce dzieci z bardzo ciężką chorobą genetyczną grozi śmierć, jeśli nie będą leczone drogim, ale jedynym skutecznym lekiem. Ani Narodowy Fundusz Zdrowia, ani Ministerstwo Zdrowia nie przewidziały środków na kurację chorych dzieci.

Paweł miał sześć lat, gdy zdiagnozowano u niego mukopolisacharydozę typu VI. Ta bardzo rzadka, ale też niezwykle poważna choroba powoduje zanik i przykurcze mięśni, padaczkę, zanik słuchu, mowy, wzroku, upośledzenie wzrostu i zniekształcenie kręgosłupa. Większość tych schorzeń występuje jednocześnie, powodując niewydolność krążenia i układu oddechowego, a to prowadzi do śmierci, kiedy chorzy mają najwyżej kilkanaście lat. Paweł jest świadom tego, że każdy dzień może być dla niego ostatni, nie poddaje się jednak chorobie.

- Mimo ograniczeń fizycznych, chodzi do szkoły – mówi Beata Kubica, nauczycielka Pawła. – Powłóczy nogami, mama niesie za nim tornister, ale nie zostaje w domu, zmusza się do pracy, do wysiłku. Chce żyć.

Starsza siostra Pawła także cierpiała na tę samą chorobę. Zmarła w wieku 16 lat. Nie było wówczas lekarstwa na mukopolisacharydozę typu VI.

- Izunia odeszła, bo nie było lekarstwa. A teraz jest – mówi Romualda Jachimczyk, matka Pawła.

Rok temu pojawił się nowy lek, który może zahamować rozwój choroby. Nazywa się Naglazyme. W Polsce jest trójka dzieci chorych na mukopolisacharydozę typu VI. Jedynym szpitalem, gdzie leczy się tę chorobę jest Centrum Zdrowia Dziecka w Warszawie.

- Jesteśmy gotowi leczyć tym lekiem – mówi Ewelina Nazarko – Ludwiczak, rzecznik Centrum Zdrowia Dziecka. – Problemem jest finansowanie. Leczenie trójki dzieci kosztuje szpital pięć i pół miliona złotych rocznie.

Mazowiecki Narodowy Fundusz Zdrowia nie ma pieniędzy na finansowanie tak drogiej terapii. Jego rzecznik Jerzy Serafin rozwiązanie problemu widzi w działalności fundacji, które zbierałyby środki na drogie leki. Wiceminister zdrowia jest natomiast sceptyczny, co do skuteczności nowego leku.

- Na dziś, dane dotyczące tego leku są szczątkowe – trudno jednoznacznie stwierdzić, że to jedyny i skuteczny lek – mówi Bolesław Piecha, wiceminister zdrowia. – Ten lek jest bardzo drogi, choć substancja czynna kosztuje parę złotych. Reszta idzie na finansowanie badań naukowych. Czy mamy finansować firmę X i jej badania naukowe? Proponowałbym nie rozbudzać nadziei, gdy chodzi o skuteczność tej terapii.

Jednak specjalista genetyk, prezes Polskiego Towarzystwa Genetycznego, mówi, że próby kliniczne Naglazyme wypadły na tyle dobrze, że lek został zarejestrowany i w Unii Europejskiej, i w Stanach Zjednoczonych. Jego zdaniem, w tej chwili nie ma żadnego innego leku, który nie tylko łagodziłby objawy choroby, ale hamował jej rozwój.

- Efekty jego działania na pewno są – pytanie, jak duże – mówi prof. Grzegorz Węgrzyn. – Ale tu chodzi o ratowanie życia. W przypadku braku leczenia, po prostu nie uratujemy życia.

To, jak skuteczne jest leczenie, pokazuje przykład Piotra Greli. Chłopak choruje na mukopolisacharydozę typu I. Cztery lata temu był on jednym z dzieci, na których leczenie UWAGA! zbierała pieniądze. Dziś Piotr i inne dzieci, które podjęły terapię, czują się zdecydowanie lepiej.

- Z dnia na dzień obserwuję poprawę, tak fizycznie, jak psychicznie – mówi Piotr Grela. – Poprawa sprawności jest niewyobrażalna. Narządy, które zaatakowała choroba, jak wątroba, śledziona, wróciły do normalnych rozmiarów. Życie stanęło przede mną otworem. Moim marzeniem jest teraz zrobić maturę, zdać na studia. Ale największym jest, by kontynuować leczenie. Przerwanie leczenia to nawrót choroby. Wszystko zostanie zmarnowane.

Na mukopolisacharydozę pierwszego typu w budżecie państwa w końcu znalazły się pieniądze. Czy stanie się tak samo w przypadku choroby, która może przedwcześnie zakończyć życie Pawła i innych dotkniętych nią dzieci?

Pieniądze na potrzeby leczenia chorych dzieci można wpłacać na konto Stowarzyszenia Chorych na Mukopolisacharydozę i Choroby Pokrewne
05-503 Głusków, ul. Radnych 9A

Tel. kom. 0 605 36-88-40, tel. (0-22) 715-33-19, fax (0-22) 715-33-11

Konto Bankowe: BPH PBK S.A. Oddział w W-wie NR: 28 1060 0076 0000 4010 2017 9655

Program „Uwaga” TVN