

**Adaś z każdym miesiącem czuje się coraz gorzej. Wynaleziono lek, który mógłby mu pomóc, ale od miesiący urzędnicy nie mogą się zdecydować, czy za niego zapłacić. - Nasze dziecko umrze, jeśli nie dostanie tego leku - błagają o decyzję rodzice.**

Adam Grulich z Bierów koło Bielska-Białej choruje na mukopolisacharydozę typu II, nazywaną chorobą Huntera. Organizm chłopca nie produkuje enzymów rozkładających niektóre rodzaje cukrów; odkładają się one w komórkach, niszcząc je. To bardzo rzadka, dziedziczna choroba. W całej Polsce cierpi na nią garstka dzieci.

Choroba Huntera nieuchronnie prowadzi do śmierci - część małych pacjentów nie dożywa nawet kilkunastu lat. Adaś ma już osiem lat. Z każdym miesiącem czuje się coraz gorzej. Cierpi z powodu potwornego bólu stawów, budzi się z krzykiem w środku nocy. Ma coraz większe problemy z oddychaniem, rodzice muszą czuwać przez całą noc, bo miewa bezdechy.

- Jeszcze chodzi i biega, ale jest już dużo słabszy niż w ubiegłym roku. Po pokonaniu zaledwie paru schodów dostaje zadyszki, jakby przebiegł kilometr. Nie potrafi już zapiąć guzików, zawiązać butów, jego serce jest coraz bardziej osłabione - mówi Czesława Grulich, mama Adasia.

Mukopolisacharydoza niszczy wzrok, słuch, w przypadku Adasia także komórki nerwowe w mózgu. Do niedawna chorobę można było powstrzymać tylko poprzez rehabilitację. W styczniu tego roku pojawiła się nadzieja. Na terenie Unii Europejskiej został dopuszczony do obrotu lek Elapraxe. Substancja ta zastępuje brakujący enzym, pozwala na łagodzenie przebiegu choroby. - Zmiany, które choroba zrobiła w organizmie Adasia, już się być może nie cofną, jednak dzięki stosowaniu tego leku choroba nie będzie postępować - tłumaczy matka chłopczyka. Lek można dostać tylko na receptę, a kuracja jest bardzo droga.

- Ludzie pytają nas, dlaczego nie próbujemy zorganizować zbiórki na zakup leku dla wszystkich naszych dzieci. Tymczasem to koszt nawet 1,5 miliona złotych rocznie dla jednego dziecka, a lek trzeba przyjmować do końca życia! Żadna zbiórka nie pomoże, potrzebna jest decyzja urzędników o finansowaniu kuracji - wyjaśnia Teresa Matulka, szefowa Stowarzyszenia Chorych na Mukopolisacharydozę i Choroby Pokrewne, matka dwójki chorych dzieci.

Rodzice na taką decyzję od miesiący. - Węgry już ratują chore dzieci, robi to wiele innych krajów. A nasze dzieci? Umierają, czekając na decyzję urzędników - rozkłada ręce pan Stanisław, ojciec Adasia.

Podobna sytuacja dotyczy dzieci z innymi rzadkimi chorobami, m.in. mukopolisacharydozą typu VI czy chorobą Pompego. Stowarzyszenie wraz z innymi organizacjami zajmującymi się rzadkimi chorobami - Stowarzyszeniem Rodzin z Chorobą Fabry'ego oraz Krajowym Forum ORPHAN na rzecz Leczenia Chorób Rzadkich - wysłało na początku sierpnia list otwarty do m.in. Ministerstwa Zdrowia, Narodowego Funduszu Zdrowia, premiera, prezydenta i wszystkich parlamentarzystów. Błagają o szybkie podjęcie decyzji. Na razie nie doczekali się żadnej odpowiedzi. Jednak urzędnicy z Ministerstwa Zdrowia dobrze znają ich sytuację. Paweł Trzciński, rzecznik ministerstwa, mówi, że były prowadzone już na ten temat rozmowy z NFZ-em. Na razie nie ma jednak żadnych ustaleń. Urzędnicy tłumaczą, że to nowy lek, nie ma jeszcze np. żadnych danych dotyczących efektów jego wieloletniego stosowania.

- Kuracja jest niewyobrażalnie droga, a lek łagodzi skutki, ale nie leczy samej choroby - mówi Trzciński. I zapowiada, że sprawa jest skomplikowana i szybkiej decyzji nie można się spodziewać.

Rodzice chorych dzieci są załamani. Kilka lat temu stowarzyszenie walczyło o finansowanie leku stosowanego przy leczeniu mukopolisacharydozy typu I. Udało się, od 2003 roku lek jest finansowany. - Chłopiec, który niemal nie chodził teraz tańczy, dostał się na studia do Wrocławia - opowiada Matulka.

Są przekonani, że dla ich dzieci też jest nadzieja na lepsze życie. Rodzice przypominają, że w preambule rozporządzenia Unii Europejskiej z 2000 roku jest mowa o tym, że wszystkie państwa członkowskie mają dążyć do sytuacji, gdy chorzy na rzadkie choroby bez względu na sytuację ekonomiczną kraju mają zapewniony dostęp do terapii. - Dlatego poprosimy o pomoc instytucje unijne. 12 września będę w Brukseli na posiedzeniu komisji europejskiej ds. chorób rzadkich - zapowiada Matulka. - Jeśli przestaniemy walczyć, nasze dzieci umrą. W niewyobrażalnych cierpieniach, bo tak się umiera na tę straszną chorobę - dodaje.

Ewa Furtak - Gazeta Wyborcza Katowice