

## **Rodzice dzieci chorych na rzadki zespół Pompego napisali list do premiera z prośbą o pomoc w znalezieniu pieniędzy na leki. Brakuje środków na leczenie cierpiących na choroby metaboliczne.**

W Polsce chorobę Pompego zdiagnozowano u 15 osób. Organizm dotkniętej nią osoby nie produkuje enzymu, który rozkłada glikogen.

- Ten zatrzymywany w komórkach uszkadza je i z czasem powoduje paraliż. Chory ma także problemy z oddychaniem, dlatego musi korzystać z respiratora - tłumaczy Teresa Matulka, prezes Stowarzyszenia Chorych na Mukopolisacharyozę i Choroby Pokrewne.

### **Przerwana terapia**

Karolina Królik w tym roku zaczęła podstawówkę. Cztery lata temu lekarze zdiagnozowali u niej chorobę Pompego.

- Córka ma częściowo sztywną jedną nóżkę i problemy z chodzeniem, bardzo szybko się męczy - mówi pani Katarzyna, mama dziewczynki.

Na początku tego roku Karolina zaczęła przyjmować myozym - sztuczny enzym, którego brakuje w jej organizmie. To bardzo drogi lek, jego jednorazowa dawka kosztuje ok. 50 tys. zł (trzeba go przyjmować co dwa tygodnie).

- Już po przyjęciu dwóch dawek była zauważalna poprawa jej zdrowia. Karolinka mogła przejść dłuższy dystans niż przed rozpoczęciem terapii - wspomina pani Katarzyna Królik.

Karolina przyjmowała enzym przez cztery miesiące. Pod koniec kwietnia rodzice dziewczynki dowiedzieli się, że ich dziecko nie otrzyma więcej preparatu. Powód? Brak pieniędzy. W takiej samej sytuacji jak państwo Królikowie jest jeszcze pięć innych rodzin.

Dzieci ze schorzeniem Pompego leczone są w Klinice Chorób Metabolicznych w Centrum Zdrowia Dziecka, które jako jedyne na Mazowszu zajmuje się osobami ze schorzeniami metabolicznymi. Od kwietnia CZD nie otrzymało pieniędzy na leczenie pacjentów (przez miesiąc terapię dzieci sponsorował producent leku). Szpital nie może z własnych środków finansować leku, bo zabraknie mu pieniędzy dla innych chorych.

- Leczenie pacjentów z chorobami metabolicznymi należy do najbardziej kosztownych - wyjaśnia rzeczniczka prasowa CZD Ewelina Nazarko. - Preparat tylko dla trójki pacjentów z chorobą Pompego kosztowałby szpital ponad 2,4 mln zł. To prawie tyle, ile mamy na terapię pozostałych kilkuset pacjentów tego oddziału.

### **Poskarżą się w Brukseli**

Rodzice oraz wspierające ich stowarzyszenia wielokrotnie interweniowali w resorcie zdrowia oraz Narodowym Funduszu Zdrowia. Kilka dni temu prośbę o dodatkowe pieniądze na terapię wysłało też do funduszu CZD. Na razie nie ma żadnej odpowiedzi.

- Szpitale mają problem ze sfinansowaniem leczenia osób cierpiących także na inne schorzenia metaboliczne, np. chorobę Fabre'go czy mukopolisacharyozę typu VI - mówi Teresa Matulka.

Drogie preparaty nie są wpisane na specjalną ministerialną listę programów lekowych, więc o pieniądze na nie trzeba się specjalnie starać. A Ministerstwo Zdrowia niechętnie się godzi na drogie leki dla garstki osób i, zdaniem chorych, szuka wytłumaczenia, by nie finansować leczenia. Rzecznik prasowy resortu Paweł Trzeciński twierdzi, że resort wielokrotnie i bezskutecznie zwracał się do producenta leku na chorobę Pompego z prośbą o informacje dotyczące jego skuteczności.

- Bez nich będzie nam bardzo trudno uzasadnić przeznaczenie na terapię trójki dzieci ponad 2 mln złotych rocznie - przekonuje rzecznik.

Niedawno rodziny chorych dzieci wysłały list do premiera. Piszą w nim, że jeśli nic się nie zmieni w postępowaniu władz, to poskarżą się w Brukseli. - Jesteśmy zrozpaczeni, bo nikt nie chce nam pomóc - mówi Teresa Matulka.

Agnieszka Sijka - Rzeczpospolita