Oświadczenie złożone
przez senatora Waldemara Kraskę
na 44. posiedzeniu Senatu
w dniu 29 czerwca 2017 r.

Oświadczenie skierowane do ministra zdrowia Konstantego Radziwiłła

Szanowny Panie Ministrze!

Zwróciła się do mnie mama dziecka chorego na dystrofię mięśniową Duchenne'a z prośbą o pomoc w uzyskaniu terapii ratującej życie. Obecnie dostępne leczenie, które opóźnia rozwój choroby, jest nieosiągalne dla rodziców ze względu na jego ogromne koszty – roczna terapia kosztuje ok. 1,5 miliona zł.

Dystrofia mięśniowa Duchenne'a jest rzadką, postępującą chorobą uwarunkowaną genetycznie, na którą przeważnie chorują chłopcy (co roku rodzi się 1 na 6 tysięcy). W wyniku mutacji w genie kodującym białko o nazwie dystrofina dochodzi stopniowo do osłabienia i zaniku mięśni. Z upływem czasu coraz więcej grup mięśni ulega osłabieniu, tak że w wieku 10–13 lat chłopcy przestają chodzić i zmuszeni są do korzystania z wózka inwalidzkiego. Pacjenci nieleczeni umierają najczęściej w wieku 20–25 lat z powodu niewydolności oddechowej lub kardiomiopatii. W naszym kraju co roku diagnozuje się ok. 30–40 przypadków tej choroby.

W 2014 r. zarejestrowano w Unii Europejskiej lek o międzynarodowej nazwie Ataluren, który przeznaczony jest dla ok. 10% małych pacjentów, którzy mają punktową, tzw. nonsensowną mutację w genie dystrofiny. Badania kliniczne, w których brali udział również polscy pacjenci, wykazały, że terapia nowym lekiem opóźnia rozwój choroby nawet o 12 lat (prognozy mówią o 7–12 latach).

Zwracam się do Pana Ministra z zapytaniem, czy ministerstwo przewiduje refundację leczenia. Kiedy chorzy na tę rzadką chorobę będą mogli skorzystać z nowoczesnej terapii?

Z poważaniem
Waldemar Kraska