

**Oświadczenie złożone
przez senatora Wojciecha Koniecznego
na 26. posiedzeniu Senatu
w dniu 18 czerwca 2021 r.**

Oświadczenie skierowane do ministra zdrowia Adama Niedzielskiego

Szanowny Panie Ministrze!

Mukowiscydoza jest przewlekłą chorobą genetyczną, która w Polsce dotyka około 2000 osób, z czego 1/3 chorych stanowią osoby dorosłe. Spowodowana jest mutacją genu CFTR i polega na nieprawidłowej funkcji bądź braku produkcji białka niezbędnego dla prawidłowego funkcjonowania organizmu, w wyniku czego organizm produkuje nadmiernie lepki i gęsty śluz, który blokuje płuca oraz układ trawienny. W klasycznej (pełnoobjawowej) postaci mukowiscydoza objawia się przewlekłą chorobą oskrzelowo-płucną, zewnątrzwydzielniczą niewydolnością trzustki oraz podwyższonym stężeniem chlorków w pocie. Z biegiem czasu choroba wyniszcza organizm chorego, przede wszystkim płuca. W układzie pokarmowym, oprócz wspomnianej zewnątrzwydzielniczej niewydolności trzustki, prowadzącej do niedożywienia chorego, pojawiają się także problemy z wątrobą, które często prowadzą do konieczności transplantacji. W przebiegu choroby pojawiają się także: cukrzyca zależna od mukowiscydozy, zapalenie stawów, osteoporoza i inne komplikacje.

Mukowiscydoza ma podłoże genetyczne, stąd do niedawna leczenie opierało się jedynie na łagodzeniu jej objawów. Nastąpił jednak ogromny postęp, jakim jest wynalezienie leków przyczynowych. Obecnie na rynku dostępne są 4 leki przyczynowe: Kalydeco, Orkambi, Symkevi oraz Kaftrio. Od listopada 2020 roku w Polsce w ramach programu lekowego rozpoczęto refundację Kalydeco. Dotyczy to jednak bardzo rzadkich mutacji, które występują zaledwie u kilku, kilkunastu osób w Polsce. Organizacje pacjentów poinformowały, że w styczniu 2021 roku w Ministerstwie Zdrowia został złożony wniosek o objęcie refundacją kolejnych leków, Symkevi i Kaftrio. Skierowane są one do pacjentów z najczęściej występującą mutacją DelF508. Występuje ona u około 80% chorych, dlatego jeszcze większa liczba pacjentów mogłaby skorzystać z szansy leczenia przyczynowego. Lek Kaftrio jest najskuteczniejszy w grupie leków przyczynowych, jednak bardzo drogi – roczny koszt leczenia szacuje się na ponad milion złotych (cena jednego opakowania to koszt 87 500 zł). Rodziny chorych, mimo trudu i wysiłku w pozyskiwaniu środków na zakup leku, nie są w stanie zapewnić leczenia bliskich lekiem Kaftrio.

W związku z powyższym pragnę zadać następujące pytania.

1. Czy Ministerstwo Zdrowia podejmuje aktualnie działania zmierzające do refundacji leków Kaftrio i Symkevi?

2. Czy obecnie są możliwości wczesnego udostępnienia leku Kaftrio pacjentom z mukowiscydozą będącym w najcięższych stanach klinicznych i wymagającym pilnego leczenia bądź czy Ministerstwo Zdrowia przewiduje takie możliwości?

Uprzejmie proszę o odpowiedź.

Wojciech Konieczny