

Oświadczenie złożone przez senatora Krzysztofa Kwiatkowskiego w dniu 9 kwietnia 2024 r.

Oświadczenie skierowane do minister zdrowia Izabeli Leszczyny

Szanowna Pani Minister!

Do mojego biura senatorskiego zgłaszają się osoby chore na chorobę Niemann-Picka (NPC) i osoby, które je reprezentują. Jest to rzadka choroba genetyczna, potocznie nazywana dziecięcym Alzheimerem. Choroba dotyka osoby w różnym wieku, ma charakter spichrzeniowy i jest nieuleczalna.

Jak wynika z przedstawionych mi relacji, krajowy system opieki zdrowotnej nie ma jednolitego schematu postępowania w przypadku wykrycia tej choroby. Opieka nad takimi pacjentami nie jest wystarczająco skoordynowana pomiędzy ośrodkami leczenia, lekarzami oraz środowiskiem naukowym. Moi rozmówcy wskazywali m.in. na potrzebę stworzenia ogólnodostępnych rejestrów i źródeł wiedzy, gdzie szukać pomocy, tak aby ułatwić chorym poszukiwanie lekarzy, ośrodków i organizacji zajmujących się chorobą Niemann-Picka. Jak podkreślali moi goście, największą trudnością, z jaką zmagają się chorzy i ich rodziny, są bardzo wysokie ceny leków. Miesięczna kuracja lekiem oryginalnym to koszt ponad 40 tysięcy zł, a generykiem – ponad 16 tysięcy zł. Jedynym lekiem spowalniającym postęp choroby jest preparat zawierający substancję aktywną miglustat, co, zgodnie z przedstawionymi mi informacjami, zostało udowodnione badaniami naukowymi. Lek ten jest refundowany w zdecydowanej większości krajów Unii Europejskiej, a także w USA, Kanadzie, Brazylii i Australii. Pacjenci w Polsce, w ramach wyspecjalizowanych organizacji pozarządowych, organizują różnego rodzaju zbiórki społeczne i licytacje, jednak skuteczność tych działań z uwagi na konieczność ciągłego przyjmowania preparatu jest ograniczona.

Z przekazanych mi informacji wynika, że w 2019 r. Ministerstwo Zdrowia zleciło Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Zavesca (miglustat), kapsułki 100 mg, we wskazaniu: choroba Niemann-Picka typu C (ICD-10: E75.2), w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych (program RDTL). W tym dokumencie przedstawiono opinię eksperta, konsultanta krajowego w dziedzinie pediatrii metabolicznej, dr hab. n. med. Jolanty Sykut-Cegielskiej, która jednoznacznie wskazała na zasadność objęcia chorych refundowanym leczeniem.

W ramach programu ratunkowego dostępu do technologii lekowych, który funkcjonuje w naszym kraju, wprawdzie jest możliwość dostępu do opisanego powyżej leku, jednak zdaniem moich rozmówców w rzeczywistości program jest rzadko wykorzystywany ze względu na trudną i złożoną procedurę. Ponadto decyzja o przystąpieniu do programu należy do dyrekcji konkretnego szpitala, która ma możliwość zablokowania pacjentowi dostępu do terapii. Praktyka pacjentów, z którymi rozmawiałem, pokazuje, że program stosowany jest rzadko i wybiórczo, np. są przypadki dwóch rodzin, w których z dwójki chorego rodzeństwa tylko jedno otrzymuje lek w ramach RDTL.

Przyłączam się do postulatu, że konieczne jest unormowanie sytuacji pacjentów chorych na chorobę Niemann-Picka oraz umożliwienie leczenia wszystkim potrzebującym.

Z uwagi na przedstawione przeze mnie informacje proszę o odpowiedzi na następujące pytania.

1. Jakie są obecnie powszechnie dostępne źródła wiedzy dla chorych na NPC zawierające informacje, gdzie szukać fachowej pomocy medycznej?

2. Czy Ministerstwo Zdrowia dysponuje informacjami o liczbie prowadzonych terapii lekiem zawierającym substancję aktywną miglustat w ramach programu RDTL od stycznia do grudnia 2023 r.? Czy terapie te mają charakter stały, czy też leki są podawane tymczasowo?

3. Czy Ministerstwo Zdrowia przeprowadziło analizę sytuacji i posiada informacje, jakiej liczbie pacjentów i na jakiej podstawie odmówiono ewentualnego finansowania terapii lekiem zawierającym substancję aktywną miglustat w ramach programu RDTL od stycznia do grudnia 2023 r.?

4. Czy była przeprowadzona, a jeśli nie, to czy jest planowana, analiza efektywności obecnej ścieżki leczenia choroby?

5. Czy Ministerstwo Zdrowia może przeprowadzić analizę faktycznej refundacji leku zawierającego substancję aktywną miglustat we wszystkich krajach członkowskich Unii Europejskiej?

6. Jakie w ocenie Ministerstwa Zdrowia są przesłanki uniemożliwiające wprowadzenie leku zawierającego substancję aktywną miglustat na listę leków refundowanych?

7. Czy Ministerstwo Zdrowia ma plany dotyczące zwiększenia dostępności leczenia chorych w ramach programów oferujących bezpłatne leki w terapii choroby NPC?

Z wyrazami szacunku
Krzysztof Kwiatkowski