

**Oświadczenie złożone
przez senator Alicję Chybicką
na 34. posiedzeniu Senatu
w dniu 6 czerwca 2013 r.**

Oświadczenie skierowane do ministra zdrowia Bartosza Arłukowicza oraz do prezes Narodowego Funduszu Zdrowia Agnieszki Pachciarz

Szanowny Panie Ministrze! Szanowna Pani Prezes!

Do mojego biura wpłynęło pismo Polskiego Towarzystwa Neurologów Dziecięcych z prośbą o wsparcie ich działań mających na celu objęcie refundacją programu lekowego „Leczenie choroby Niemann-Picka typu C (NP-C) z wykorzystaniem substancji czynnej miglustat”.

Według danych Polskiego Towarzystwa Neurologów Dziecięcych szacuje się, że w Polsce na NP-C choruje od trzydziestu do pięćdziesięciu pięciu pacjentów, głównie dzieci. Międzynarodowe wytyczne dotyczące diagnozowania i leczenia pacjentów z chorobą NP-C rekomendują leczenie miglustatem jako metodę leczenia postępujących objawów neurologicznych w przebiegu NP-C.

Wskazany program lekowy w 2011 r. otrzymał pozytywną rekomendację prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych (AOTM), rekomendacja nr 20/2011 z dnia 29 marca 2011 r. Niestety w kolejnej rekomendacji, w rekomendacji nr 120/2012, prezes AOTM, powołując się na trudne do jednoznacznej interpretacji dane o efektywności klinicznej miglustatu oraz ze względu na bardzo wysoki koszt leczenia, nie zaleca finansowania terapii ze środków publicznych.

Koszty leczenia nie powinny wpływać na dostępność procedur medycznych, a zakwestionowane przez prezesa AOTM punkty końcowe w jedynym przeprowadzonym i opublikowanym badaniu klinicznym dotyczącym skuteczności miglustatu w NP-C według Polskiego Towarzystwa Neurologów Dziecięcych z punktu widzenia klinicznego dobrane są prawidłowo, nie można kwestionować faktu, że poprawa w zakresie sakkadowych ruchów gałek ocznych i połykania w sposób istotny wpływa na jakość życia pacjentów z NP-C. Zaburzenia połykania są niezwykle ważnym objawem klinicznym w przebiegu NP-C ze względu na możliwość występowania potencjalnie śmiertelnych powikłań, takich jak zachłystowe zapalenie płuc.

Zwracam się do Państwa z gorącą prośbą o przeanalizowanie przedstawionej sytuacji i objęcie wyżej wymienionej metody leczenia refundacją, a tym samym umożliwienie dzieciom chorym na NP-C leczenia najnowocześniejszymi metodami.

Z wyrazami szacunku
Alicja Chybicka