

Oświadczenie złożone przez senatora Andrzeja Pająka na 47. posiedzeniu Senatu w dniu 4 sierpnia 2022 r.

Oświadczenie skierowane do podsekretarza stanu w Ministerstwie Zdrowia Macieja Miłkowskiego

Szanowny Panie Ministrze!

Zwracam się do Pana w związku z interwencją w moim biurze senatorskim, dotyczącą kwestii pomocy polegającej na wsparciu środkami finansowymi leczenia czteromiesięcznej Zosi (...), zamieszkałej w S. w powiecie (...), na terenie mojego okręgu wyborczego.

Dziewczynka urodziła się w dniu 4 maja 2022 r. Była duża, silna i nic nie wskazywało na to, że w jej organizmie czai się śmiertelna choroba, jednakże w niedługim czasie po powrocie do domu rodzice otrzymali informację ze szpitala o zdiagnozowaniu u dziecka SMA. Jest to choroba genetyczna, która powoduje śmierć neuronów odpowiedzialnych za pracę mięśni związanych nie tylko z ruchem, ale również z przełykaniem i oddychaniem – życiem. Dzięki badaniom przesiewowym, które bardzo szybko wykryły chorobę, Zosia natychmiast rozpoczęła leczenie refundowanym lekiem spowalniającym postęp SMA, który wstrzykiwany jest bezpośrednio do rdzenia. Zosia będzie musiała go przyjmować do końca życia, co wiąże się z pobytami w szpitalu i wkłuciami do kręgosłupa. Nie ma żadnej gwarancji, że bolesna terapia spowalniająca SMA, którą zaproponowano, będzie refundowana w przyszłości.

Istnieje jednak terapia genowa, której zastosowanie pozwoli na całkowite zatrzymanie SMA. Terapia ta opiera się na zastosowaniu leku Zolgensma, podnoszącym w motoneuronach poziom białka SMN, którego niedobór leży u podłoża rdzeniowego zaniku mięśni. Dużą zaletą tego leku jest szybkie działanie – już w ciągu kilkudziesięciu godzin od podania poziom tego białka jest porównywalny z poziomem występującym u osoby zdrowej. To powoduje, że lek ten jest wyjątkowo przydatny w leczeniu niemowląt i małych dzieci, u których objawy SMA jeszcze się nie pojawiły albo pojawiły się bardzo niedawno, czyli dzieci, w przypadku których utrata neuronów postępuje błyskawicznie, z dnia na dzień, a zapotrzebowanie na białko SMN jest najwyższe. Inną zaletą tego leku jest to, że stosuje się go jednorazowo, w odróżnieniu od pozostałych leków, które należy przyjmować stale.

Niestety Zolgensma jest najdroższym lekiem świata. W ramach kontrowersyjnej decyzji producent ustalił cenę detaliczną leku na 2,125 miliona dolarów amerykańskich, tj. 1,945 miliona euro, za opakowanie, czyli 1 dawkę. Cena, za jaką lek zakupują władze państwowe i ubezpieczyciele, jest zwykle znacząco niższa. W Polsce lek Zolgensma nie jest refundowany przez NFZ. Leczenie SMA w Polsce odbywa się przy użyciu preparatu nusinersen (Spinraza).

Oczywistą rzeczą jest, że rodzice dziecka i środowisko skupione wokół Zosi nie są w stanie uzbierać tak kolosalnej sumy. Dziewczynka jest obecnie podopieczną 2 fundacji, a oprócz tego podejmowane są liczne działania, których jestem naocznym świadkiem, takie jak kiermasze, zbiórki, koncerty charytatywne w celu zebrania potrzebnej sumy. Czas nie jest sprzymierzeńcem, a zebrać tak wysoką kwotę nie jest łatwo, aby nie rzec: jest to niewykonalne. Na tę chwilę, mimo że w ciągu zaledwie 2 miesięcy zebrano już ok. 700 tysięcy zł, brakuje sporo ponad 9 milionów.

Leczenie z wykorzystaniem wspomnianej terapii genowej nie jest refundowane przez Narodowy Fundusz Zdrowia, co jest dla mnie kompletnie niezrozumiałe w kontekście, kolokwialnie mówiąc, kosmicznych kosztów. Dlatego w obliczu tak wielkiej tragedii zwracam się do Pana Ministra o pomoc w pokryciu kosztów niezbędnych do ratowania tego bezbronnego dziecka poprzez wpisanie przedmiotowej terapii na listę zabiegów refundowanych bądź wskazanie lub uruchomienie innych mechanizmów dostępnych Ministrowi Zdrowia. Pragnę podkreślić w tym miejscu, że w przypadku natychmiastowego zastosowania leku Zolgensma szanse na szybkie wyzdrowienie Zosi lekarze szacują na poziomie zbliżonym do 100%.

Jest niezwykle bolesne, gdy dziecko umiera, a rodzice czują bezradność wynikającą z braku zasobnego portfela. Wstawiam się za nimi i proszę o wspomnianą pomoc nie tylko jako senator RP, ale również jako ojciec ośmiorga dzieci i licznej gromadki wnuków. W sposób niezwykle osobisty proszę Pana o możliwie najszybsze wskazanie sposobu pokrycia kosztów leczenia małej Zosi z wykorzystaniem terapii genowej lekiem Zolgensma.

Z poważaniem
Andrzej Pająk