

Oświadczenie złożone przez senatora Andrzeja Pajaka na 49. posiedzeniu Senatu w dniu 27 września 2022 r.

Oświadczenie skierowane do ministra zdrowia Adama Niedzielskiego

Szanowny Panie Ministrze!

W oświadczeniu senatorskim złożonym podczas czterdziestego siódmego posiedzenia Senatu RP w dniu 4 sierpnia br., adresowanym do podsekretarza stanu w Ministerstwie Zdrowia, pana Macieja Miłkowskiego, jak również w piśmie interwencyjnym z dnia 31 sierpnia br., adresowanym bezpośrednio do Pana, zwróciłem uwagę na naglący problem refundacji terapii genowej przeznaczonej dla dzieci cierpiących na rdzeniowy zanik mięśni (SMA). Wiązałem z tą korespondencją duże oczekiwania, podobnie jak interweniujący w moim biurze senatorskim rodzice i bliscy kilku-, kilkunastomiesięcznych bezbronnych dzieci. Niestety ani odpowiedź pana ministra Miłkowskiego z dnia 29 sierpnia br. na moje oświadczenie senatorskie, ani Pana odpowiedź z dnia 17 września br. na moją pisemną interwencję, stanowiąca właściwie kserokopię odpowiedzi na oświadczenie, nie tylko nie zawierały żadnych optymistycznych informacji w przedmiocie moich zapytań, ale ku mojemu ogromnemu zdziwieniu i rozczarowaniu stanowiły zlepek różnego rodzaju suchych zestawień, w moim przekonaniu służących raczej celom biznesowym czy ekonomicznym. Nie dostrzegłem realnej chęci zrozumienia ogromu ludzkich tragedii, dziecięcego cierpienia. Z tej urzędniczej nowomowy i cytatów rozpiętych na niemal 10 stron, pomimo kilkunastokrotnej lektury, nie jestem w stanie wysnuć żadnych sensownych – a przede wszystkim odnoszących się do moich zapytań – stwierdzeń lub uzasadnień. Niniejsze oświadczenie zostało przeze mnie wystosowane w nadziei, że być może do trzech razy sztuka.

Tak, w dniu 22 sierpnia br. ogłosił Pan na konferencji prasowej historyczną refundację najdroższego leku na świecie – Zolgensmy, której zastosowanie daje niemal 100-procentowe szanse na wyleczenie kilku-, kilkunastomiesięcznych maleństw z tak strasznej choroby, jaką jest SMA. Niestety w przeciągu kilkunastu minut doprecyzowano tę kwestię i doprowadzono do rozpaczy najbardziej zainteresowanych. Były to te same informacje, które następnie na wielu stronach przedłożono mi we wspomnianych odpowiedziach.

Według aktualnych kryteriów zawartych w tak szumnie ogłaszanym programie lekowym stosowanie terapii genowej możliwe jest tylko u dzieci do szóstego miesiąca życia. Brakuje możliwości podania terapii genowej dzieciom, które przyjęły jakikolwiek inny lek na SMA (zatwierdzony albo eksperymentalny), co jest również niezgodne z aktualną wiedzą medyczną oraz ChPL, czyli charakterystyką produktu leczniczego. Wydaje się to niezrozumiałe z uwagi na fakt, że jakakolwiek terapia, jeśli ma być skuteczna, powinna zostać rozpoczęta jak najszybciej, najlepiej przed pojawieniem się objawów choroby. Podanie leku, który może być dostępny szybciej od pozostałych, jest tym samym kluczowe dla zatrzymania postępu choroby. Na miejscu rodziców ciężko byłoby mi z tym zwlekać w oczekiwaniu na inny lek. Ponadto terapia genowa dostępna jest tylko dla dzieci badanych w ramach rządowego programu badań przesiewowych noworodków lub badań prenatalnych, co jest ogromnie krzywdzące, zważywszy że stanowi to jawne ograniczenie prawa do leczenia dzieci, które i tak są bardzo obciążone przez fakt, że badania przesiewowe ich nie dotyczyły, a diagnostyka choroby i dostęp do leczenia były najczęściej opóźnione z powodów systemowych.

Tymczasem tak mocno podkreślane dane i ustalenia dokonywane przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nijak się mają do danych pochodzących z zagranicznych źródeł, dotyczących bezpieczeństwa i skuteczności terapii genowej Zolgensma u dzieci starszych niż 6 miesięcy i leczonych wcześniej innymi terapiami. Dane te jednoznacznie wskazują, że terapia genowa jest skuteczna i bezpieczna u pacjentów do 15 kg, a nawet do 21 kg, niezależnie od wcześniejszego przyjmowania Spinrazy lub braku wcześniejszego leczenia. Doświadczenia i obserwacje rodzin polskich dzieci, które w ciągu 2 ostatnich lat przeszły nierefundowaną terapię genową w wieku powyżej 6 miesięcy, także wskazują na znaczną poprawę funkcjonowania po leczeniu genowym.

Rozporządzenie ministra zdrowia nie objęło dokładnie 27 dzieci, które nie ważą jeszcze 13,5 kg, nie mają jeszcze 2 lat. Ponadto ogranicza ono wiek dzieci do 6 miesięcy i stanowi, że jeśli wcześniej były podejmowane jakiegokolwiek inne terapie, to uniemożliwia to terapię Zolgensma. W tym momencie uświadomiono mi, że kiedy rodzice z biorą te 9,5 miliona zł, to pomimo że dzieci były leczone innymi metodami, ten lek jak najbardziej będzie mógł zostać im podany. Biznes to biznes. Czy te 27 dzieci to tak wielki problem? Przecież doskonale wiadomo, że w Funduszu Medycznym są pieniądze na ten cel. Niestety odnoszę wrażenie, studiu-

jąc po raz wtóry resortową korespondencję, że jest problem ze zrozumieniem tego tematu, będącego dla tych dzieci i ich rodzin tematem życia i śmierci. Horrendalne kwoty, jakie już udało im się zebrać, stanowią dla nich tylko dramatyczny obowiązek, który może – ale wcale nie musi – pozwolić im przeżyć.

Podchodząc do tematu równie mechanicznie, jak twórcy przesłanych mi zestawień i tabel, po raz kolejny podkreślę, że w dłuższej perspektywie możliwość przejścia z leczenia Spinrazą na terapię genową Zolgensma jest dla budżetu państwa dużo efektywniejsze kosztowo, dlatego że koszt jednorazowego podania terapii genowej jest niższy niż koszty podawania Spinrazy przez całe życie, powiększone jeszcze o koszty częstych hospitalizacji i leczenia powikłań.

Podsumowując, raz jeszcze proszę o analizę moich 2 poprzednich wystąpień w przedmiocie refundacji rzezonej terapii genowej, ze szczególnym uwzględnieniem empatii i wrażliwości na zagadnienie cierpienia tych najbardziej bezbronnych. Takie podejście w moim przekonaniu pozwoli wygenerować odpowiedź pełną pod względem zasadności poruszanej tematyki. Tego życzę Panu, ale przede wszystkim sobie i rodzinom maluchów, których życie niestety zależy obecnie od twardych zestawień i analiz.

Z poważaniem
Andrzej Pająk