

Informacja prasowa

**18 lat czekają na lek ratujący życie!**

**Panie Premierze, Panie Ministrze Zdrowia
każdy kolejny miesiąc bez leczenia jest jak wyrok śmierci!**

**Pacjenci z chorobą Fabry’ego umierają przedwcześnie w wyniku powikłań kardiologicznych, nefrologicznych i neurologicznych – apeluje prezes Stowarzyszenia Rodzin z Chorobą Fabry’ego Anna Moskal. Każdy kolejny miesiąc, rok bez refundacji to dla nas wyrok śmierci. 18 lat oczekiwania to stanowczo zbyt długo, to pogwałcenie praw pacjenta, człowieka i obywatela – dodaje Moskal i w odpowiedzi na niepokojące dla pacjentów doniesienia, dotyczące przebiegu procesu refundacyjnego składa na ręce Ministra Zdrowia Apel w sprawie leczenia pacjentów z chorobą Fabry’ego, pod którym podpisali się specjaliści pediatrii metabolicznej, kardiolodzy, nefrolodzy
i neurolodzy oraz zwykli obywatele. Łącznie blisko 2,5 tysiąca osób, dla których zdrowie i życie pacjentów z Fabrym nie jest obojętne.
Aby po raz kolejny prośby o refundację leczenia nie spotkały się z urzędniczą bezwzględnością, stowarzyszenie przygotowało również apel do premiera Mateusza Morawieckiego, który razem z podpisami pacjentów złożyli
w kancelarii premiera.**

Choroba Fabry’ego jest jedną z niewielu chorób rzadkich, którą można skutecznie leczyć poprzez dostarczenie do organizmu chorego brakującego enzymu. Leczenie dostępne jest od wielu lat we wszystkich krajach UE – z wyjątkiem Polski. W Polsce pacjenci z Fabrym nadal umierają w wyniku powikłań tej choroby, mimo iż właściwe leczenie mogłoby zatrzymać jej postęp. Gdyby tylko było refundowane.

*- Nie przypominam sobie by jakaś inna grupa pacjentów musiała tak długo czekać na ratującą zdrowie i życie terapię! Tym bardziej, że pacjentów z Fabrym w Polsce jest ok 100. Każda kolejna lista refundacyjna bez enzymatycznej terapii zastępczej w leczeniu choroby Fabry’ego, to dla nas wyrok śmierci* *–* podkreśla Anna Moskal prezes Stowarzyszenia Rodzin
z Chorobą Fabry’ego*.* - *Minęło ponad 15 lat od momentu, kiedy jako stowarzyszenie rozpoczęliśmy starania o ułatwienie dostępu do skutecznego leczenia polskich pacjentów
z chorobą Fabry’ego oraz 18 lat od momentu, kiedy enzymatyczna terapia zastępcza została zarejestrowana w UE. W tym czasie mieliśmy 10 rządów, 8 Premierów i 10 Ministrów Zdrowia i żaden z tych ostatnich nie pochylił się nad ogromem cierpienia pacjentów
z chorobą Fabry’ego. Jako pacjenci z chorobą rzadką jesteśmy cały czas pomijani i spychani na margines życia społecznego w Polsce* - dodaje Moskal.

*- Mamy ogromną nadzieję i nadal głęboko wierzymy, że tym razem będzie inaczej. Niestety
z informacji, które do nas docierają wynika, że Ministerstwo Zdrowia, za nic mając zdrowie
i życie pacjentów, w toczącym się obecnie procesie negocjacyjnym, odrzuciło propozycję jednego z producentów, który zadeklarował chęć znalezienia części środków na pokrycie kosztów terapii choroby Fabry’ego ze swojego portfolio. W ramach niezwiększonego budżetu na refundację programu leczenia choroby Gauchera, Ministerstwo mogłoby utworzyć nowy program leczenia choroby Fabry'ego. Takie rozwiązanie stanowiłoby ogromną oszczędność dla płatnika i byłoby korzystne dla wszystkich stron, w tym szczególnie pacjentów, których zdrowie i życie powinno być na pierwszym miejscu. Wierzę, że ta decyzja nie jest ostateczna
i Ministerstwo mając na uwadze życie i zdrowie pacjentów pochyli się nad nią ponownie* - apeluje Anna Moskal.

Pacjentów z chorobą Fabry’ego nie widać, gdyż ich choroba nie objawia się w cechach wyglądu. Wbrew powszechnej opinii nie wiąże się ona również z niepełnosprawnością umysłową. Pacjenci z Fabrym, wyglądają jak każdy człowiek, jednak wewnątrz ich organy są każdego dnia wyniszczane przez gromadzące się w ciele szkodliwe produkty metabolizmu.

Wszystko przez brak jednego z 40 enzymów występujących w ciele człowieka -
alfa-galaktozydazy (alfa-GAL), który rozkłada substancje tłuszczowe. Osoby z chorobą Fabry’ego dziedziczą nieprawidłową budowę genu odpowiedzialnego za produkcję tego enzymu. Jego niedobór sprawia, że lipidy odkładają się w wielu tkankach i naczyniach krwionośnych, uszkadzając m.in. nerki, serce czy mózg. Z powodu upośledzenia nerwów obwodowych ci pacjenci żyją z nieustającym bólem, którego nie sposób uśmierzyć żadnymi środkami przeciwbólowymi.

*- U pacjentów, którzy nie są leczeni, dochodzi do poważnych powikłań narządowych: niewydolności nerek (co w konsekwencji skutkuje koniecznością rozpoczęcia dializ
i przeszczepów nerek); poważnych powikłań sercowo-naczyniowych takich jak zawał serca, niedomykalność zastawek, przerost lewej komory serca; czy do udaru mózgu – zaznacza dr hab. n. med. Jolanta Sykut –* Cegielska, Prof. IMiD, Konsultant Krajowy w dziedzinie Pediatrii Metabolicznej, Przewodnicząca Zarządu Polskiego Towarzystwa Wrodzonych Wad Metabolizmu, Kierownik Kliniki Wrodzonych Wad Metabolizmu i Pediatrii, Instytut Matki
i Dziecka*. - Ci pacjenci, u których odpowiednio wcześnie leczenie zostało włączone, a mamy
w Polsce takie przypadki dzięki programowi leczenia charytatywnego prowadzonego jako kontynuacja badań klinicznych, mogą normalnie żyć, uczyć się, pracować i funkcjonować w społeczeństwie* - dodaje profesor*.*

- *To paradoks i wstyd dla Polski, że w XXI wieku od tylu lat odmawia się pacjentom prawa do opieki medycznej, a choroba, która dzięki skutecznemu leczeniu mogłaby być nazywana chorobą przewlekłą, jest dla nich wyrokiem śmierci* - komentuje neurolog, uczestniczka
VI konferencji Naukowo Szkoleniowej Polskiego Towarzystwa Neurologicznego, podczas której Stowarzyszenie Rodzin z Chorobą Fabry’ego zbierało podpisy pod Apelem do Ministra Zdrowia z prośbą o refundację enzymatycznej terapii zastępczej.

Pod apelem podpisało blisko 2,5 tysiąca osób, w tym największe autorytety medyczne, profesorowie i prezesi towarzystw naukowych: Polskiego Towarzystwa Kardiologicznego, Polskiego Towarzystwa Neurologicznego, Polskiego Towarzystwa Nefrologicznego, Polskiego Towarzystwa Wrodzonych Wad Metabolizmu, lekarze specjaliści pediatrii metabolicznej, kardiolodzy, nefrolodzy, neurolodzy, jak również zwykli obywatele.

- *Zdrowie pacjentów z chorobą Fabry’ego w Polsce wystarczająco długo jest traktowane
w kategoriach obciążenia budżetowego, planów finansowych i mnożących się
w nieskończoność ograniczeń. Patrząc na koszty, decydenci w naszym kraju zapominają
o kosztach pośrednich w postaci leczenia licznych następstw zasadniczej choroby, kosztów procedur medycznych z nimi związanych np. dializoterapii, przeszczepień niewydolnych narządów, operacji serca czy kosztów rehabilitacji poudarowej, pozawałowej lub opieki społecznej* -  *apeluje Prof. dr hab. med. Michał Nowicki, Post-Prezes Polskiego Towarzystwa Nefrologicznego Kierownik Kliniki Nefrologii Hipertensjologii i Transplantologii Nerek Uniwersytetu Medycznego w Łodzi.*

- *Skuteczne leczenie pacjentów z chorobą Fabry’ego powinno być traktowane przez rządzących nie tylko, jako koszt dla publicznego płatnika, ale jako inwestycja w zdrowie. Inwestycja ta musi uwzględniać oszczędność związane z ograniczeniem kosztów licznych procedur medycznych związanych z typowymi powikłaniami choroby, których poniesienia pacjenci z tą chorobą, jeśli nie wdrożymy skutecznego leczenia przyczynowego, będą wymagali* - dodaje profesor Nowicki.

*- Wspólnie z innymi towarzystwami, kardiologicznym i neurologicznym, Polskie Towarzystwo Nefrologiczne pracuje nad przygotowaniem stanowiska dotyczącego diagnostyki i leczenia choroby Fabry’ego, które po akceptacji wszystkich partnerów opublikujemy jeszcze w tym roku – podkreśla profesor Nowicki*

- *Pamiętajmy, że wśród nowo zdiagnozowanych chorych są również dzieci, które z dnia na dzień tracą szansę na ograniczenie niszczących zdrowie skutków choroby. Każdy dzień oczekiwania na decyzję dot. refundacji wiąże się dla chorych oraz ich rodzin
z niewyobrażalnym cierpieniem, a niekiedy też ze śmiercią* -  *podkreśla Anna Moskal Prezes Stowarzyszenia. - Pacjenci z chorobą Fabry’ego już nie mają czasu, wystarczająco długo czekali, umierając w ciszy i cierpieniu. Głęboko wierzymy, ze 1 lipca 2019 na liście refundacyjnej wreszcie pojawi się enzymatyczna terapia zastępcza* - dodaje. *Gdyby tak się jednak nie stało, to skorzystamy z naszego prawa do udziału w procesie refundacyjnym jako strona. 11 kwietnia 2019 Wojewódzki Sąd Administracyjny w Warszawie orzekł na naszą korzyść i uchylił postanowienia Ministra Zdrowia, odmawiające udziału naszego stowarzyszenia na prawach strony w postępowaniu refundacyjnym. Po uprawomocnieniu się tej decyzji, będziemy mogli być jeszcze bliżej tego procesu, reprezentując interesy pacjentów
z chorobą Fabry’ego patrzeć na ręce decydentów* - puentuje Moskal.

W Unii Europejskiej średni czas od momentu rejestracji leku stosowanego w chorobach rzadkich do momentu refundacji wynosi 30 miesięcy. W Polsce jedynie w skrajnych przypadkach czas oczekiwania wynosił 10 lat. 18 lat oczekiwania w przypadku choroby Fabry’ego to jedyny taki przypadek w Polsce i najdłuższy jak do tej pory!

**O stowarzyszeniu**

Stowarzyszenie Rodzin z Chorobą Fabry’ego powstało we Wrocławiu w 2002 roku
z inicjatywy lekarzy zajmujących się tą chorobą i pacjentów nią dotkniętych. Obecnie liczy ok. 70 członków.

Podstawowym celem działalności Stowarzyszenia jest popularyzowanie wiedzy o chorobie Fabry’ego, poprawa sytuacji pacjentów dotkniętych tą chorobą poprzez zapewnienie dostępu do leczenia zgodnego z aktualną wiedzą medyczną oraz wszelka pomoc chorym i ich rodzinom.

**Dodatkowych informacji udziela:**

|  |  |
| --- | --- |
| Karolina WaligóraCompass PRTel. 500 088 365k.waligora@compasspr.pl |  |