

Organizatorzy V Konferencji Konferencji Naukowej poświęconej chorobie Niemann-Picka typ C



Katedra i Klinika Chorób Metabolicznych
Uniwersytetu Jagiellońskiego



European
Reference
Network

MetabERN

European Reference Network
for Hereditary Metabolic Disorders

STOWARZYSZENIE CHORYCH NA
NIEMANNA - PICKA
I CHOROBY POKREWNE

Kraków, 26 listopada 2018r.

Szanowny Pan
Prof. dr hab. Łukasz Szumowski
Minister Zdrowia

Szanowny Panie Ministrze,

Uczestnicy V Konferencji Naukowej poświęconej chorobie Niemann-Picka typ C zwracają się do Pana z apelem o utworzenie w Polsce Programu Lekowego „**Leczenie choroby Niemann-Picka typ C**” z zastosowaniem produktu leczniczego **Zavesca 100 mg (Miglustat)**.

Choroba Niemann-Picka należy do grupy dziedzicznych chorób metabolicznych, znana jest jako leukodystrofia albo choroba spichrzania lipidów (tłuszczów), w której szkodliwe produkty (lipidy) gromadzą się w wielu narządach jak śledziona, wątroba, płuca, szpik kostny czy mózg. Często zresztą niesłusznie, nazywana jest „dziecięcym Alzheimem”. Ze względu na częstotliwość występowania zaliczana jest do tzw. chorób rzadkich.

W chorobie **Niemanna-Picka typ C** (istnieje jeszcze typ: A, B i D) postępujące uszkodzenie układu nerwowego powoduje postępujące znikanie nabytych umiejętności przez pacjenta, zmniejszanie jego zdolności poznawczych oraz postępowanie objawów neurologicznych takich jak: zaburzenia ruchów gałek ocznych (głównie w kierunku pionowym), ataksja, dysartria, zaburzenia przełykania oraz utratę wzroku i słuchu. Stopniowo choroba prowadzi do śmierci.

Do niedawna nie była znana żadna skuteczna metoda leczenia, a nawet spowolnienia progresji choroby Niemann-Picka. Obecnie jest w wielu krajach, w tym w krajach UE, w chorobie Niemann-Picka typ C z powodzeniem stosowany preparat o nazwie **Zavesca (Miglustat)**. U większości chorych obserwuje się istotne spowolnienie postępu choroby. Niektóre objawy, jak zaburzenia przełykania, zaburzenia równowagi, wywołane chorobą podstawową, powoli ustępują.

Od 18.10.2000r. preparat Zavesca jest oznaczony jako tzw. „lek sierocy” (stosowany w leczeniu rzadkich chorób). Panie Ministrze! w **marcu 2011r. Agencja Oceny Technologii Medycznych zarekomendowała finansowanie ze środków publicznych świadczenia opieki zdrowotnej** leczenie choroby Niemann-Picka typu C z zastosowaniem substancji czynnej miglustat (Zavesca) w ramach programu zdrowotnego”.

Od tego czasu Ministerstwo Zdrowia odroczyło podjęcie decyzji o zatwierdzeniu w/w programu lekowego, równocześnie informując członków Stowarzyszenia Chorych na Niemanną Picka i pokrewne choroby że „decyzja zostanie podjęta wkrótce”. Tymczasem po upływie 2 lat od pozytywnej rekomendacji AOTM tj. w **dniu 17.06.2013r. zakończono postępowanie dotyczące statusu refundacyjnego leku Zavesca (Miglustat)**decyzją w której Minister Zdrowia odmówił objęcia refundacji tego leku. Tak więc, pomimo pomyślnych i potwierdzonych rezultatów terapii tym lekiem w wielu krajach, zarówno w Unii Europejskiej jak i w USA czy Kanadzie, osobom cierpiącym na chorobę Niemanną–Picka typu C w Polsce, około 50 pacjentom i ich zrozpaczonym rodzicom, nie dano żadnej szansy skazując ich tym samym na leczenie paliatywne. Każdego roku przedwcześnie umiera 3-4 chorych z tą chorobą.

Postawa Ministerstwa Zdrowia na przełomie ostatnich lat, to jest od 2012r,gdy nie wdrożono projektu programu lekowego dla pacjentów z chorobą Niemanną-Picka typ C przygotowanego w oparciu o pozytywną opinię prezesa AOTM z marca 2011r.i ponowne skierowanie sprawy do AOTM przez MZ w 2013r, wskazuje na celowe przedłużenie postępowania, co w efekcie jest działaniem na szkodę chorych. Wykorzystywanie w ocenie wniosków refundacyjnych, dotyczących leczenia chorób rzadkich instytucji AOTM, działającej w myśl wytycznych HTA, jest niezgodne z zaleceniami UE.

Lek Zavesca jest zarejestrowany w leczeniu choroby NPC w UE od lutego 2009r.,a tym samym i w Polsce, sam fakt rejestracji leku świadczy o jego skuteczności w zakwalifikowanych przypadkach klinicznych. Lek ten jest wymieniany jako terapia podstawowa w przypadku pacjentów wytypowanych zgodnie z **wytycznymi i rekomendacjami leczenia pacjentów z chorobą Niemanną Picka typ C**; zarówno w Kanadzie jak i w Unii Europejskiej (*vide załączone rekomendacje*). Należy równocześnie przytoczyć znane ministerstwu argumenty, że:

- W ponad 45 krajach świata lek Zavesca jest refundowany, w tym w większości Państw Unii,
- choroba NPC jest jedną z nielicznych już rzadkich chorób lizosomalnych, w przypadku której w Polsce pomimo rejestracji leku Zavesca nie zagwarantowano dostępności do leczenia dla pacjentów,
- nie ma alternatywnego leczenia, ponieważ Zavesca jest jedyną zarejestrowaną terapią specyficzną,
- literatura światowa potwierdza skuteczność leku Zavesca(*prace M. Patterson,A.Rolfs, J.Wraith, Ginocchio, Stein i inni*), a także już literatura polska m. in. B. Steinborn, M. Żarowski,
- opinie polskich specjalistów z dziedziny neurologii dziecięcej potwierdzają skuteczność tego leku (B.Steinborn,M.Kaciński,J. Wendorff). w tym zaświadczenia polskich neurologów prowadzących troje dzieci z Chorobą NPC, które otrzymują Zavescę o jej skuteczności,
- pozytywne stanowisko Sejmowej Komisji ds. Chorób Rzadkich o utworzeniu takiego programu dla chorych z chorobą Niemanną Picka typ C,
- stanowisko Polskiego Towarzystwa Neurologów dziecięcych z 19 marca 2013 r.,
- apel do ministra zdrowia prof. Arndt Rolfsa z 2 kwietnia 2014 r.,
- konstytucyjne prawo ochrony zdrowia.

Pacjenci dotknięci rzadkimi chorobami, są równoprawnymi obywatelami Rzeczypospolitej Polskiej, nie mogą zostać wykluczeni jeżeli chodzi o postęp dokonujący się w nauce i lecznictwie. Mają takie same prawa do leczenia jak każdy inny pacjent. w polityce zarówno światowej jak i europejskiej jest szczególny wymiar stosowania „leków sierocych”: w USA jest akt o lekach sierocych (Orphan Drug Act), w latach 90-tych przyjęły go Japonia i Australia, a w 1999r.Europa, rozporządzeniem (WE numer 141/2000 o sierocych produktach

lecniczych), chociaż każdy kraj indywidualnie przechodzi odpowiednie procedury w celu uzyskania warunków refundacji i zwykle ustalenia ceny leku.

Ze względu na specyfikę leków i ich przeznaczenie koszt „leków sierocy” jest wysoki. Jednakże biorąc pod uwagę ograniczoną ilość chorych sumaryczny budżet przeznaczony na ich leczenie nie obciąża drastycznie całkowitego budżetu przeznaczonego na ochronę zdrowia. Należy pamiętać że bez leczenia u tych pacjentów dochodzi do rozwoju powikłań neurologicznych wymagających specjalistycznej opieki, hospitalizacji użycia specjalistycznych procedur wspomagających, co generuje dodatkowe, niepotrzebne koszty. Szybkie rozpoczęcie leczenia u tych chorych jest tym istotniejsze, że choroba Niemann-Picka jest schorzeniem postępującym i każde odroczenie rozpoczęcia terapii powoduje rozwój powikłań

Powstaje zatem pytanie: czy Ministerstwo Zdrowia nie popełnia w tej kwestii grzechu zaniechania świadomie wykluczając lek dla pacjentów z chorobą Niemann-Picka typ C z listy refundacyjnej, nie dając tym chorym żadnej szansy na dłuższe życie i zmniejszenie cierpienia, a nawet na zahamowanie choroby?

Załączniki:

1. rekomendacje i wytyczne leczenia pacjentów z chorobą NPC w Kanadzie i UE.

Miroslaw Bik-Mulczynowski

Dr hab. n. med. prof. UJ
Miroslaw Bik-Mulczynowski
Specjalista pediatrii, genetyki klinicznej,
pediatrii metabolicznej
i laboratoryjnej genetyki molekularnej
1194771; 900602228; 09422; tel. 602559131

Marcel Kuciński

Krzysztof Kucharski

Anna Kucińska

Beata Kucińska-Wilk

Wielki, zapoznawca się,
popieccca opet,

Janusz Wendorff

5625861

Prof. dr hab. n. med. Janusz Wendorff
specjalista neurologii
i neurologii dziecięcej
Łódź, ul. Koszarników Gdyńskich 25 m. 7
tel. 042 678 39 54

Prof. dr hab. n. med. Maciej Malecki
SPECJALISTA CHOROBY WEWNĘTRZNEJ
DIABETOLOG, ENDOKRINOLOG
31-457 Kraków, ul. Prądnicka 101
tel. 12-417-2000