

1

Kielce, dn. 20.10.2014r.

Pan Bartosz Arłukowicz

Minister Zdrowia

Warszawa

Działając na podstawie Uchwały nr 1/ 2014 Zarządu Stowarzyszenia Chorych na chorobę Niemann- Picka typ C, zwracam się do Pana o niezwłoczne utworzenie programu lekowego „leczenie choroby Niemann- Picka typ C z zastosowaniem produktu leczniczego Zavesca (Miglustat).

Argumenty przemawiające za natychmiastowym powstaniem takiego programu lekowego , to:

- lek Zavesca jest zarejestrowany w leczeniu choroby NPC w U E , a tym samym i w Polsce
- w ponad 45 krajach świata istnieją już programy lekowe z zastosowaniem leku Zavesca , 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 ewidentnie skuteczność leku Zavesca (prace M.Patterson, A. Rolfs, J. Wraith i inni.)
- opinie polskich specjalistów z dziedziny neurologii dziecięcej (B. Steinborn, M. Kaciński, J. Wendorff)
- stanowisko Sejmowej Komisji ds. Chorób Rzadkich o utworzeniu takiego programu
- zaświadczenia Polskich neurologów prowadzących troje dzieci z choroba NPC ,które otrzymują Zavescę o jej skuteczności
- Konstytucyjne Prawo Ochrony Zdrowia

W 2011 r. złożony został pierwszy wniosek przez Krajowego Konsultanta do Spraw Neurologii o leczeniu dzieci z chorobą NPC lekiem Zavescą, który przeszedł procedury i otrzymał pozytywną opinię Prezesa AOTM. Program ten nie doczekał się realizacji z powodu zmian w przepisach (wchodziła Ustawa Refundacyjna). Drugi wniosek o utworzenie tego programu został złożony w 2012r. przez podmiot odpowiedzialny. Procedura postępowania przy tym wniosku była tylko fasadą

za którą kryła się ewidentna niechęć Ministerstwa Zdrowia do utworzenia takiego programu. Na potwierdzenie wymienić ,tu należy, takie przykłady jak:

- nie uwzględnianie i nie wzięcie pod uwagę, opinii Polskich i światowych uczonych specjalistów w tej dziedzinie
- nie uwzględnienie propozycji cenowej podmiotu odpowiedzialnego w tzw. negocjacjach cenowych
- nie poddano klasyfikacji chorych dzieci z/w na ich stan zdrowia, (brak współpracy z ośrodkami specjalistycznymi, takimi jak: Oddział Chorób Metabolicznych i Poradnia Chorób Metabolicznych w CZD Warszawa, czy Instytut Psychiatrii , Neurologii i Genetyki w Warszawie ul. Sobieskiego)
- brak wiedzy na temat stanu ilościowego chorych na NPC (nie zwrócono się do naszego stowarzyszenia o takie informacje)
- nie zlecono i nie prowadzono żadnych badań nad naszymi dziećmi chorymi na NPC (AOTM w swojej odmowie powołuje się na jakieś badania?)

Brak rzetelności i profesjonalnego podejścia ze strony Ministerstwa Zdrowia w trakcie realizacji tzw. procedur, były ewidentnie widoczne. Szczególnie boli nas przedstawiony w odmowie Ministerstwa argument , że „ koszty leczenia są nie współmiernie wysokie w stosunku do efektów leczenia”. Jest to argument tragiczny i absolutnie nie do przyjęcia. Jako minister Zdrowia ma Pan odpowiednie instrumenty władzy, które pozwalają Panu taki program w Polsce utworzyć.

Na koniec prosimy o udzielenie odpowiedzi na następujące pytania:

1. Dlaczego w większości krajów UE lek Zavesca uznano za skuteczny i w efekcie programy lekowe ratujące życie utworzono , a w Polsce nie?
2. Prosimy o informację na jakiej podstawie prawnej nasze dzieci z chorobą Niemann- Picka typ C nie mogą być skierowane na leczenie do Krajów UE , gdzie lek jest refundowany?
3. Jak odmowna decyzja MZ wobec powyższych argumentów ma się do Konstytucyjnej Zasady Ochrony Zdrowia?

**Czas jest nieubłagalnym wrogiem choroby naszych dzieci, w tym roku ,
czyli do końca września zmarło nam już czworo dzieci !!!**

Na co czeka Minister Zdrowia ,a zarazem lekarz pediatra i na co liczy?

Do wiadomości :

1. Sejmowa Komisja Zdrowia
2. Krajowy Konsultant do spraw Neurologii Dziecięcej
3. Rzecznik Praw Pacjenta
4. Rzecznik Praw Obywatelskich

