

Apel dotyczący wsparcia dzieci chorujących na SMA!

Kategoria: Polityka Zdrowotna

Opublikowano: środa, 16, listopad 2022 09:19

Katarzyna Sekuła

Odsłony: 419

SMA (ang. spinal muscular atrophy), czyli rdzeniowy zanik mięśni, to ciężka choroba rzadka, w której z powodu wady genetycznej stopniowo obumierają neurony w rdzeniu kręgowym odpowiadające za skurcze i rozkurcze mięśni. Brak impulsów nerwowych sprawia, że mięśnie szkieletowe nie są pobudzane, słabną i stopniowo zanikają, co może prowadzić do częściowego albo całkowitego paraliżu.

Od września na liście refundacyjnej leków znalazł się najdroższy lek w leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni - lek Zolgensma, jednak będą mogły skorzystać z niego tylko dzieci do 6 miesiąca życia.

Szczególną uwagę na zapis dotyczący wieku zwróciła Rada Powiatu w Sępólnie Krajeńskim, która wystosowała apel do Prezesa Rady Ministrów o wsparcie ze strony państwa polskiego w ratowaniu zdrowia i życia dzieci walczących z SMA (rdzeniowym zanikiem mięśni), które w skutek podjętych decyzji zostały pozbawione możliwości tej terapii genowej. Rada wyraziła swoją solidarność ze wszystkimi rodzicami walczącymi o refundację genową oraz pozostałymi dziećmi i ich rodzinami w Polsce, których refundacja leku nie objęła. W apelu zwrócono się z prośbą o wprowadzenie rozwiązań systemowych umożliwiających wszystkim dzieciom chorującym na SMA podanie w ramach terapii genowej refundowanego leku Zolgensma.

Od kwietnia 2021 do lipca 2022 r. w Polsce przebadano prawie 282 tys. noworodków, z czego u 38 zdiagnozowano rdzeniowy zanik mięśni. W uzasadnieniu Rady Sępólna czytamy, że podjęte przez Ministerstwo Zdrowia działania są krokiem milowym w leczeniu tego schorzenia, jednak decyzja na którą czekały zdiagnozowane do tej pory dzieci wykluczyła aż 27. z nich!

Z dostępnej na stronie Europejskiej Agencji Leków (EMA) charakterystyki produktu leczniczego "Zolgensma 2x10¹³ genomy wektora/ml roztwór do infuzji", wynika że nie zostało wprowadzone ograniczenie wiekowe do stosowania tego leku. Zaznaczono natomiast, że doświadczenie ze stosowania tego produktu u pacjentów w wieku 2 lat lub powyżej, albo o masie ciała powyżej 13,5 kg jest ograniczone. Można więc przyjąć, że przyjęte kryterium wieku 6.miesiący nie pozostaje w bezpośrednim i koniecznym związku ze skutecznością leku, natomiast właściwym byłoby odniesienie się do parametru wagi dziecka - parametr ten jest wskazany w dokumentach Europejskiej Agencji Leków i jest stosowany w innych państwach.

Rada zwraca uwagę, że kryterium wieku nie jest właściwe i wskazuje na inne parametry, bardziej odpowiednie – chociażby takie jak: waga dziecka i indywidualna ocena lekarza oparta o stan i wyniki kliniczne pacjenta.

Źródło: wniosek Rady Powiatu w Sępólnie Krajeńskim do Prezesa Rady Ministrów