

Polska od kilku lat znajduje się w światowej czołówce pod względem diagnostyki i leczenia rdzeniowego zaniku mięśni (SMA). Sukces ten zawdzięczamy wprowadzeniu badań przesiewowych noworodków, pełnemu dostępowi do zarejestrowanych terapii oraz pionierskiej decyzji o możliwości leczenia kobiet z SMA w czasie ciąży. Mimo tych osiągnięć, eksperci podkreślają konieczność dalszych zmian – zwłaszcza w zakresie opieki nad dorosłymi pacjentami.

Obecnie w Polsce funkcjonują łącznie 37 ośrodków zajmujących się leczeniem SMA, w tym 19 dedykowanych dorosłym. To jednak wciąż zbyt mało, by zapewnić wszystkim chorym dogodny dostęp do terapii. W niektórych regionach – jak Białystok czy Olsztyn – funkcjonują jedynie placówki pediatryczne, co oznacza brak możliwości płynnego przejścia do leczenia w dorosłości. Taki stan rzeczy skutkuje przeciążeniem działających ośrodków i koniecznością dojazdów na duże odległości, co dla wielu pacjentów jest barierą trudną do pokonania.

Szczególnie istotne wyzwanie dotyczy procesu tzw. tranzycji – czyli przechodzenia pacjenta z opieki pediatrycznej do ośrodków dla dorosłych. Konieczne jest wprowadzenie rozwiązań, które zagwarantują ciągłość leczenia i zmniejszą stres związany ze zmianą placówki. Eksperci postulują m.in. możliwość przedłużenia leczenia pediatrycznego do zakończenia nauki w szkole średniej, co pozwoliłoby uniknąć kolejnych reorganizacji w krótkim czasie.

Mimo tych trudności, polski system leczenia SMA uznawany jest za modelowy. Program lekowy zapewnia dostęp do wszystkich trzech zarejestrowanych terapii – nusinersenu, risdiplamu i terapii genowej – i obejmuje już ponad 1100 pacjentów. Dla większości chorych dostęp do leczenia przekłada się na znaczącą poprawę funkcji ruchowych, niezależności i jakości życia. Coraz więcej pacjentów zakłada rodziny, realizuje cele zawodowe i społeczne – coś, co jeszcze kilka lat temu wydawało się niemożliwe.

W 2024 roku Polska jako pierwszy kraj systemowo dopuściła możliwość leczenia kobiet w ciąży chorujących na SMA. Decyzja Ministerstwa Zdrowia pozwala zarówno na kontynuację terapii rozpoczętej przed ciążą, jak i na rozpoczęcie leczenia w jej trakcie. Jest to szczególnie ważne, ponieważ ciąża wiąże się z fizjologicznym osłabieniem mięśni, które może znacząco pogorszyć stan pacjentki z SMA. Dzięki tej decyzji kobiety z rdzeniowym zanikiem mięśni mogą rodzić dzieci bez przerywania skutecznego leczenia, co stanowi globalny precedens.

Na horyzoncie pojawiają się też nowe możliwości terapeutyczne. Trwa proces rejestracji wyższej dawki nusinersenu (28 mg zamiast dotychczasowych 12 mg), która – jak wskazują badania – może przynieść jeszcze lepsze efekty kliniczne. Oczekuje się, że decyzje Europejskiej Agencji Leków i FDA zapadną w 2025 roku, co otworzy drogę do wdrożenia nowego standardu leczenia również w Polsce.

Równolegle rozwijana jest nowa cząsteczka – salanersen (BIIB115), będąca zmodyfikowaną wersją nusinersenu. Lek ten ma być podawany znacznie rzadziej – nawet raz do roku – co może zrewolucjonizować sposób prowadzenia terapii. Dłuższe działanie cząsteczki i rzadsze podania to także mniejsze obciążenie dla pacjentów oraz systemu ochrony zdrowia, szczególnie że leczenie odbywa się w formie iniekcji dokanałowej, wymagającej hospitalizacji.

Wszystkie te kwestie były omawiane podczas XIII konferencji Fundacji SMA „Weekend ze SMAkiem”, która odbyła się w czerwcu w Warszawie. Eksperci zgodnie podkreślali, że mimo imponującego postępu, potrzeby pacjentów – zwłaszcza dorosłych – wciąż wymagają szerszej odpowiedzi systemowej.

## SMA - eksperci apelują o więcej ośrodków dla dorosłych

Kategoria: Polityka Zdrowotna

Opublikowano: wtorek, 15, lipiec 2025 11:47

Katarzyna Sekuła

Odsłony: 464

---

Przyszłość leczenia SMA w Polsce rysuje się obiecująco, jednak bez dalszych inwestycji w infrastrukturę i opiekę koordynowaną trudno będzie utrzymać tempo dotychczasowych sukcesów.

*Źródło: IP Newseria*