

Interpelacja do Ministra Zdrowia Pana Konstantego Radziwiłła w sprawie leku ratującego zdrowie i życie osób chorujących na rdzeniowy zanik mięśni.

Szanowny Panie Ministrze!

Rdzeniowy zanik mięśni jest ciężką chorobą o podłożu genetycznym przejawiającą się postępującą utratą funkcji mięśniowych. SMA zawsze prowadzi do niepełnosprawności, a w większości przypadków do wczesnej śmierci na skutek niewydolności oddechowej.

Dokładna liczba chorych na rdzeniowy zanik mięśni w Polsce nie jest znana. Polski rejestr pacjentów z rdzeniowym zanikiem mięśni, prowadzony przez Warszawski Uniwersytet Medyczny, obejmuje ok. 300 pacjentów.

Obecnie nie istnieje lek ze wskazaniem do stosowania w rdzeniowym zaniku mięśni – SMA zalicza się do chorób nieuleczalnych. Jednak na etapie badań klinicznych znajduje się sześć leków, w tym cztery leczące przyczyny rdzeniowego zaniku mięśni. Od października 2016 r. jeden z nich, nusinersen, znajduje się w procedurze dopuszczenia do obrotu na terenie Unii Europejskiej i USA.

Zmiany w ustawie o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych budzą wątpliwości m.in. Fundacji SMA, która aktywnie działa na rzecz pacjentów z chorobą SMA. Fundacja podkreśla, że zastosowanie w zapisach ustawy propozycji odejścia od uwzględniania analizy ekonomicznej w procedurze refundacyjnej w odniesieniu do leków na tzw. choroby ultraradkie oraz propozycja premiowania podmiotów farmaceutycznych, które prowadziły działalność naukowo-badawczą lub inwestycyjną w Polsce nie jest korzystne dla chorych z rdzeniowym zanikiem mięśni. Z uwagi na specyfikę chorób rzadkich – badania kliniczne w takich chorobach często mogą zostać uruchomione tylko w kilku placówkach medycznych na świecie. Nie ma wśród nich Polski.

W związku z powyższym proszę o odpowiedź na następujące pytania:

1. Czy Ministra Zdrowia planuje prowadzenie prac nad takimi zmianami w sektorze opieki zdrowotnej, aby mogły zostać utworzone i mogły funkcjonować wyspecjalizowane ośrodki Referencyjne?
2. Czy ministerstwo w pracach nad ustawą refundacyjną planuje uwzględnienie uwag Fundacji SMA z pisma dołączonego do interpelacji m.in. rezygnacji z premiowania

uprzedniej działalności naukowo-badawczej i inwestycyjnej na terenie Rzeczypospolitej Polskiej w procedurze refundacyjnej w odniesieniu do leków na choroby rzadkie?

Z poważaniem
Poseł Małgorzata Zwiercan