

Interpelacja do Ministra Zdrowia Pana Łukasza Szumowskiego w sprawie procedury dopuszczenia do obrotu w Polsce, przydatnego w leczeniu SMA leku o nazwie nusinersen/spinraza i umieszczenia go na liście leków refundowanych.

Szanowny Panie Ministrze,

Nusinersen jest pierwszym lekiem działającym na przyczynę rozwoju SMA i ma wskazanie do stosowania we wszystkich typach tej choroby, i to zarówno zdiagnozowanych wcześniej, jeszcze przed wystąpieniem objawów, jak i u chorych, którzy już cierpią na SMA. Jak podają różne źródła, schorzenie nerwowo-mięśniowe o podłożu genetycznym czyli rdzeniowy zanik mięśni (SMA) jest najczęstszą genetycznie uwarunkowaną przyczyną śmierci niemowląt i małych dzieci. W SMA obumierają neurony w rdzeniu kręgowym odpowiadające za pracę mięśni, wskutek czego mięśnie ciała słabną i stopniowo ulegają zanikowi. Pierwsze objawy zwykle pojawiają się nagle, a stan chorego pogarsza się gwałtownie. Szybkemu osłabieniu ulegają mięśnie kończyn, tułowia, płuc i przełyku, co zazwyczaj prowadzi do niewydolności oddechowej i utraty przełykania.

W dniu 30 maja 2017 r. Komisja Europejska podjęła decyzję w sprawie wydania pozwolenia na wprowadzenie do obrotu sierociego produktu leczniczego stosowanego u ludzi Spinraza (nusinersen) na mocy rozporządzenia (WE) nr 726/2004 Parlamentu Europejskiego i Rady. Pozwolenie na dopuszczenie do obrotu jest ważne na terenie wszystkich państw członkowskich Unii Europejskiej.

Lek ten od grudnia 2016 r. jest produkowany w USA, a od czerwca 2017 r. także w Unii Europejskiej.

Pomimo, iż w innych krajach UE dzieci chore na SMA mają już możliwość bezpłatnego leczenia lekiem o nazwie nusinersen/spinraza, w naszym kraju niestety lek ten jest niedostępny, bo w dalszym ciągu nie znajduje się na liście leków refundowanych.

W Polsce lek nusinersen – jak twierdzą rodzice 23- miesięcznego dziecka, którzy zwrócili się do mnie o pomoc w tej sprawie - uzyskał pozytywne opinie m.in. Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

W związku z powyższym proszę o odpowiedzi na następujące pytania:

1. Na jakim etapie są prace nad Narodowym Planem dla Chorób Rzadkich?
2. Czy ministerstwo planuje i jeżeli tak to kiedy wprowadzenie w Polsce procedury leczenia SMA lekiem o nazwie nusinersen/spinraza?

Z poważaniem

Posel Małgorzata Zwiercan