



Wojewódzka Rada Kobiet

APEL WOJEWÓDZKIEJ RADY KOBIET z dnia 21 stycznia 2021 roku

w sprawie finansowania terapii genowej dzieci chorych na SMA – rdzeniowy zanik mięśni

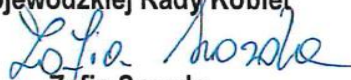
Wojewódzka Rada Kobiet w województwie lubuskim, po zapoznaniu się z sytuacją dotyczącą finansowania terapii genowej dzieci chorych na SMA – rdzeniowy zanik mięśni, stwierdza co następuje:

Rdzeniowy zanik mięśni jest spowodowany wadą genetyczną – mutacją w genie SMN1 lub brakiem genu, którą osoba chora otrzymuje po obojgu rodzicach, bardzo często nieświadomych jej posiadania. Obecnie w Polsce finansowana ze środków publicznych jest terapia genowa wyłącznie lekiem o nazwie Spinraza. Od maja 2020 roku w kraju jest dostępna – warunkowo na okres jednego roku – lecz nierefundowana terapia genowa lekiem o nazwie Zolgensma. Przy terapii genowej lekiem Zolgensma degeneracja motoneuronów zatrzymuje się, a choroba przestaje postępować. Lek uznawany jest za bardzo skuteczny i nowoczesny w technologii.

Wojewódzka Rada Kobiet apeluje o objęcie refundacją Narodowego Funduszu Zdrowia również leku Zolgensma, ponieważ w Polsce żyje około 800 do 1000 chorujących na SMA dzieci. Z uwagi na bardzo wysokie koszty leczenia, które wynoszą 9-10 mln zł, rodziny chorych dzieci zmuszone są do organizowania zbiórek pieniędzy od społeczeństwa oraz zbiórek ze źródeł pozarządowych. Prowadzenie zbiórek wydłuża okres oczekiwania na terapię, ale również naraża na ryzyko nieotrzymania leku w odpowiednim momencie. Według źródeł naukowych lek Zolgensma należy podać chorym dzieciom, które nie przekroczyły wagi 13,5 kg. Zbiórki mogą również okazywać się nieskuteczne.

Mając na uwadze obecną sytuację, Wojewódzka Rada Kobiet apeluje o umożliwienie małym pacjentom, spełniającym kryteria kliniczne, dostępu do terapii genowej lekiem Zolgensma, poprzez między innymi uwzględnienie jej jako świadczenie gwarantowane ze środków publicznych Narodowego Funduszu Zdrowia oraz w Narodowym Planie Chorób Rzadkich.

Przewodnicząca
Wojewódzkiej Rady Kobiet



Zofia Szozda

Otrzymują:

- 1) Prezes Rady Ministrów RP
- 2) Minister Zdrowia
- 3) Prezes Narodowego Funduszu Zdrowia