

**STOWARZYSZENIE CHORYCH NA
NIEMANNA – PICKA
I CHOROBY POKREWNE**

KIELCE 25-639
UL. MALIKÓW 74
E-MAIL j.szydowski2008@interia.pl

TEL. 041 3684274
KOM. 602192705

**Sz.P. Konstanty Radziwiłł
Minister Zdrowia
Warszawa**

Szanowny Panie Ministrze zwracam się do Pana z gorącą prośbą o wyrażenie zgody na spotkanie się z dwiema osobami z Zarządu Stowarzyszenia Chorych na Niemann- Picka typ C. Jako Stowarzyszenie od 2009r. czynimy starania i dobijaliśmy się do poprzednich Ministrów z prośbą o wysłuchanie i pomoc dla naszych dzieci. Niestety oprócz obietnic i zwodzenia nic nie uzyskaliśmy w naszych staraniach , a ponadto żaden z Ministrów Zdrowia pełniący te funkcję nigdy nie miał czasu ,aby się z nami spotkać i wysłuchać.

Na przestrzeni tych 6-lat dwukrotnie były podejmowane próby utworzenia programu lekowego z zastosowaniem leku Zavesca dla dzieci z chorobą Niemann- Picka typ C. Postawa Ministerstwa w trakcie realizacji t/z procedur była jedną wielką farsą i zarazem wyrażała stosunek Ministerstwa Zdrowia i troskę o dzieci potrzebujące ratunku. Jako Stowarzyszenie dysponujemy odpowiednim materiałem dowodowym w tej kwestii.

Szanowny Panie Ministrze liczymy na to, że w przeciwieństwie do Pana poprzedników będzie miał Pan czas nas wysłuchać i nam pomóc.

Z wyrazami szacunku

Kielce, dn. 20.10.2014r.

Pan Bartosz Arłukowicz

Minister Zdrowia

Warszawa

Działając na podstawie Uchwały nr 1/ 2014 Zarządu Stowarzyszenia Chorych na chorobę Niemann- Picka typ C, zwracam się do Pana o niezwłoczne utworzenie programu lekowego „leczenie choroby Niemann- Picka typ C z zastosowaniem produktu leczniczego Zavesca (Miglustat).

Argumenty przemawiające za natychmiastowym powstaniem takiego programu lekowego , to:

- lek Zavesca jest zarejestrowany w leczeniu choroby NPC w U E , a tym samym i w Polsce
- w ponad 45 krajach świata istnieją już programy lekowe z zastosowaniem leku Zavesca , w tym w większości Państw Unii
- choroba NPC jest jedną z nielicznych już rzadkich chorób lizosomalnych, w przypadku której w Polsce pomimo rejestracji leku Zavesca nie zagwarantowano dostępności do leczenia dla pacjentów
- nie ma alternatywnego leczenia, ponieważ Zavesca jest jedyną zarejestrowaną terapią specyficzną
- literatura światowa potwierdza ewidentnie skuteczność leku Zavesca (prace M.Patterson, A. Rolfs, J. Wraith i inni.)
- opinie polskich specjalistów z dziedziny neurologii dziecięcej (B. Steinborn, M. Kaciński, J. Wendorff)
- stanowisko Sejmowej Komisji ds. Chorób Rzadkich o utworzeniu takiego programu
- zaświadczenia Polskich neurologów prowadzących troje dzieci z chorobą NPC ,które otrzymują Zavescę o jej skuteczności
- Konstytucyjne Prawo Ochrony Zdrowia

W 2011 r. złożony został pierwszy wniosek przez Krajowego Konsultanta do Spraw Neurologii o leczeniu dzieci z chorobą NPC lekiem Zavescą, który przeszedł procedury i otrzymał pozytywną opinię Prezesa AOTM. Program ten nie doczekał się realizacji z powodu zmian w przepisach (wchodziła Ustawa Refundacyjna). Drugi wniosek o utworzenie tego programu został złożony w 2012r. przez podmiot odpowiedzialny. Procedura postępowania przy tym wniosku była tylko fasadą

za którą kryła się ewidentna niechęć Ministerstwa Zdrowia do utworzenia takiego programu.
Na potwierdzenie wymienić ,tu należy, takie przykłady jak:

- nie uwzględnianie i nie wzięcie pod uwagę, opinii Polskich i światowych uczonych specjalistów w tej dziedzinie
- nie uwzględnienie propozycji cenowej podmiotu odpowiedzialnego w tzw. negocjacjach cenowych
- nie poddano klasyfikacji chorych dzieci z/w na ich stan zdrowia, (brak współpracy z ośrodkami specjalistycznymi, takimi jak: Oddział Chorób Metabolicznych i Poradnia Chorób Metabolicznych w CZD Warszawa, czy Instytut Psychiatrii , Neurologii i Genetyki w Warszawie ul. Sobieskiego)
- brak wiedzy na temat stanu ilościowego chorych na NPC (nie zwrócono się do naszego stowarzyszenia o takie informacje)
- nie zlecono i nie prowadzono żadnych badań nad naszymi dziećmi chorymi na NPC (AOTM w swojej odmowie powołuje się na jakieś badania?)

Brak rzetelności i profesjonalnego podejścia ze strony Ministerstwa Zdrowia w trakcie realizacji tzw. procedur, były ewidentnie widoczne. Szczególnie boli nas przedstawiony w odmowie Ministerstwa argument , że „ koszty leczenia są nie współmiernie wysokie w stosunku do efektów leczenia”. Jest to argument tragiczny i absolutnie nie do przyjęcia. Jako minister Zdrowia ma Pan odpowiednie instrumenty władzy, które pozwalają Panu taki program w Polsce utworzyć.

Na koniec prosimy o udzielenie odpowiedzi na następujące pytania:

1. Dlaczego w większości krajów UE lek Zavesca uznano za skuteczny i w efekcie programy lekowe ratujące życie utworzono , a w Polsce nie?
2. Prosimy o informację na jakiej podstawie prawnej nasze dzieci z chorobą Niemann- Picka typ C nie mogą być skierowane na leczenie do Krajów UE , gdzie lek jest refundowany?
3. Jak odmowna decyzja MZ wobec powyższych argumentów ma się do Konstytucyjnej Zasady Ochrony Zdrowia?

**Czas jest nieubłagłym wrogiem choroby naszych dzieci, w tym roku ,
czyli do końca września zmarło nam już czworo dzieci !!!**

Na co czeka Minister Zdrowia ,a zarazem lekarz pediatra i na co liczy?

Sz. P. Renata Janik

Poseł na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowna Pani Poseł !

Zwracam się do Pani z prośbą w imieniu własnym i wszystkich dzieci naszego Stowarzyszenia o pomoc i wstawienie się za nami w kwestii uruchomienia programu lekowego dla chorych z Chorobą Niemann-Picka typ C. W dniu 19 grudnia 2013 r. otrzymałem z Ministerstwa Zdrowia pismo, które jest negatywną i zarazem końcową decyzją na złożony wniosek przez podmiot odpowiedzialny o objęcie refundacją produktu leczniczego Zavesca (miglustat) w ramach programu lekowego „Leczenie choroby Niemann-Picka typ C”

Dodajmy, że ta negatywna decyzja jest zarazem wyrokiem dla tych nieszczęśliwych dzieci skazująca ich na powolne umieranie. Jest też dramatem ich rodziców, którzy uwierzyli w państwo, kiedy Ministerstwo Zdrowia w październiku 2011 r. dało nam nadzieje, że taki program powstanie.

Odmowa objęcia refundacją leku Zavesca nastąpiła jak wynika z decyzji po uwzględnieniu wymienionych trzynastu kryteriów w tym oferty cenowej Wnioskodawcy, którą Ministerstwo nie zaakceptował w wyniku negocjacji.

Pragnę odnieść się do niektórych sformułowań uzasadniających odmowę. W trakcie negocjacji cenowych, to Zespół Negocjacyjny zaproponował cenę Zaveski, która została przez Wnioskodawcę zaakceptowana (a w odmowie Ministerstwo przekręca fakt). To, że później komitet ekonomiczny w skład którego wchodziły osoby negocjujące cenę nie zaakceptował swojej propozycji, to już inna sprawa i ewidentnie potwierdza niechęć do powstania programu lekowego dla dzieci z chorobą NPC. Świadczy, to także o pewnych mechanizmach w podejmowaniu decyzji o umieszczeniu bądź nie danego leku na liście refundacyjnej, a procedury, to tylko formalność.

W żadnym z wcześniejszych oficjalnych stanowisk Ministerstwa jak i w obecnej odmowie nigdzie nie ma wzmianki, że w 2011 r. Prezes AOTM wydał pozytywną opinię w przedmiotowej sprawie, co było zgodne z pierwszym wnioskiem o refundację leku Zavesca złożonym przez Krajowego Konsultanta ds. Neurologii Dziecięcej, aby stworzyć ten program lekowy i przez okres trzech lat monitorować jego efekty.

Czytając dalej uzasadnienie jest informacja, że „wyniki otrzymane podczas prowadzonych przez AOTM oceny wniosku wskazują, że zastąpienie terapii standardowej (leczenie objawowe i fizjoterapia) leczeniem produktem Zavesca nie przynosi istotnych korzyści dla pacjentów w zakresie poprawy jakości życia i rokowania” jest wielkim nagięciem ze strony AOTM-u.

Choroba NPC jest jedną z nielicznych już rzadkich chorób lizosomalnych w przypadku, której w Polsce pomimo rejestracji leku Zavesca nie zagwarantowano dostępności do leczenia dla pacjentów. Obecne leczenie objawowe i paliatywne w niczym nie wpływa na zmniejszenie postępu klinicznie istotnych objawów

neurologicznych. Czy paliacja ma przyczynić się do poprawy życia, funkcji neurologicznych czy rokowań !!!

W teście odmowie jest informacja, że AOTM zajmował się jedynym dostępnym badaniem RTC i które starał się analizować pod względem skuteczności leku.

Przy tej okazji pragnę zadać następujące pytania: dlaczego żadne z pięciorga dzieci naszego Stowarzyszenia, które biorą lek Zaveska (sponsoring, fundacje) mniej lub więcej, nigdy nie zostały objęte badaniem przez Ministerstwo w okresie realizacji tzw. procedur nad powstaniem programu lekowego. Co to za badanie RTC, na które w odmowie decyzji powołuje się Ministerstwo i kogo ono dotyczyło? Dlaczego zupełnie zostały zignorowane opinie polskich specjalistów stwierdzających skuteczność leku Zavesca? (kopie w załączeniu).

Literatura światowej sławy specjalistów (Prof. Patterson, Rolfs, Wraith i inni) zajmujący się chorobą NPC jest w przedmiotowej sprawie jednoznaczna.

Co do finansów, co jest kluczem naszego problemu, to należy stwierdzić, że nie ma możliwości wykazania efektywności kosztowej w przypadku chorób rzadkich tak samo jak nie ma możliwości prowadzenia badań klinicznych na większą skalę. Gdy po raz pierwszy złożony był wniosek przez Krajowego Konsultanta d.s. Neurologii w 2011r., po przejściu tzw. Procedur i konsultacji społecznych, na stronie ministerialnej ukazał się projekt programu terapeutycznego dla dzieci z NPC z zastosowaniem Zaveski, a rzecznik Ministerstwa na antenie TVN obwieścił, że taki program powstanie jeszcze w październiku 2011r. Potem nastąpiła cisza, która trwa do dziś. Rozbudzono tym samym nadzieję na zmianę losu naszych cierpiących dzieci, a w efekcie okrutnie nas oszukano. Dlaczego ?

Programy lekowe z zastosowaniem leku Zavesca w leczeniu choroby NPC są już w 44 krajach świata w tym wielu z Unii Europejskiej, ponieważ nie ma alternatywnych, farmakologicznych metod leczenia tej choroby.

Odbierając prawo leczenia, odbiera się naszym dzieciom prawa społeczne. W oparciu o prawa konstytucyjne nikt nie ma prawa dokonywać wykluczenia społecznego chorych na chorobę Niemann-Picka typ C.

Stowarzyszenie nasze liczy trzydziestu chorych z tego około 12-15 osób kwalifikowało by się do leczenia Zaveską. Pozostałe osoby są już na etapie bardzo zaawansowanej choroby. Czas jest nieubłaganym wrogiem, tylko w tym roku zmarło czworo dzieci!

Dlatego biorąc pod uwagę powyższe fakty proszę Panią o pochylenie się nad dramatem naszych dzieci.

Z wyrazami szacunku

Prezes Stowarzyszenia Jerzy Szydłowski

Kielce, dn. 20.11.2014r.