

- nie zlecono i nie prowadzono żadnych badań nad naszymi dziećmi chorymi na NPC (AOTM w swojej odmowie powołuje się na jakieś badania?)

-podawanie błędnych informacji przez Ministerstwo Zdrowia odnośnie propozycji cenowych podmiotu odpowiedzialnego powstałych w wyniku negocjacji cenowych.

Brak rzetelności i profesjonalnego podejścia ze strony Ministerstwa Zdrowia w trakcie realizacji tzw. procedur, były ewidentnie widoczne. Szczególnie boli nas przedstawiony w odmowie Ministerstwa w grudniu 2012 r. argument, że „koszty leczenia są nie współmiernie wysokie w stosunku do efektów leczenia”. Jest, to argument tragiczny i absolutnie nie do przyjęcia.

Nigdy nie dostaliśmy odpowiedzi z Ministerstwa Zdrowia na proste jednak bolące nas pytania :

1. Dlaczego w większości krajów UE lek Zavesca uznano za skuteczny i w efekcie jest refundowany ratując życie chorym, a w Polsce nie?
2. 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?

Argumenty przemawiające za natychmiastowym powstaniem takiego programu lekowego, to:

- lek Zavesca jest zarejestrowany w leczeniu choroby NPC w UE od lutego 2009 r., a tym samym i w Polsce, sam fakt rejestracji leku świadczy o jego skuteczności.
- w ponad 45 krajach świata lek Zavesca jest refundowany, 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

Czas jest nieubłagłym wrogiem choroby naszych dzieci. Tylko w 2016 roku zmarło nam
troje dzieci !!!

Szanowny Panie Ministrze ! prosimy o pochylenie się nad dramatem naszych dzieci i o ratunek dla nich.

Do wiadomości: Sejmowa Komisja Zdrowia i Rzecznik Praw Pacjenta.

7.02.2017