



RZECZPOSPOLITA POLSKA  
Rzecznik Praw Dziecka  
Marek Michalak

Warszawa, 03 października 2018 roku

ZSS.422.38.2018.KS

**Pan**  
**Łukasz Szumowski**  
**Minister Zdrowia**

Rzecznik Praw Dziecka powziął informację o ograniczonym dostępie do leczenia dzieci cierpiących na rdzeniowy zanik mięśni (SMA), w tym przedłużającej się procedury objęcia refundacją produktu leczniczego **Spinraza** (nazwa międzynarodowa: Nusinersen; postać farmaceutyczna: roztwór do wstrzykiwań; Nr pozw. UE: EU/1/17/1188/001).

Produkt leczniczy Spinraza jest wskazany do leczenia rdzeniowego zaniku mięśni 5q. Lek ten w 2017 r. został wprowadzony do obrotu w Unii Europejskiej i w większości krajów UE stosuje się już Nusinersen w leczeniu SMA. Z informacji podanych przez Fundację SMA – zrzeszającą rodziców dzieci chorych na rdzeniowy zanik mięśni – wynika, że w Polsce od sierpnia 2017 r. oczekuje się na rozpatrzenie wniosku o objęcie refundacją ww. produktu leczniczego.

W związku z powyższym Prezes Fundacji SMA wystąpił do Prezesa Rady Ministrów z listem otwartym, w którym wskazał m.in., że *tylko w ciągu ostatnich kilku miesięcy około 40 polskich rodzin z dziećmi chorymi na rdzeniowy zanik mięśni (SMA) na stałe wyemigrowało do krajów, które oferują nowoczesne leczenie farmakologiczne. Kolejne dziesiątki rodzin jest zdecydowanych opuścić kraj w ciągu najbliższych miesięcy. Zaledwie na przestrzeni ostatnich czterech tygodni wolontariusze naszej Fundacji przekazali pięciu polskim rodzinom smutną informację, że emigracja jest jedynym sposobem na uratowanie życia ich dziecka, gdyż nasz kraj jest wyjątkiem na tle Europy i choroby się tu nie leczy. Dwie z tych rodzin wyjeżdżają w najbliższym tygodniu.*

Z informacji<sup>1</sup> dostępnych Rzecznikowi wynika, że toczące się obecnie postępowanie o objęcie refundacją leku Spinraza w leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni, wciąż jest na etapie negocjacji cenowych z Komisją Ekonomiczną. Do czasu zakończenia postępowania nie wiadomo czy i w jakim zakresie lek będzie refundowany.

Mając na uwadze powyższe, na podstawie art. 10a ustawy z dnia 6 stycznia 2000 r. o Rzeczniku Praw Dziecka (Dz. U. z 2017 r. poz. 922), zwracam się z prośbą o udzielenie informacji dotyczących działań Ministerstwa Zdrowia na rzecz zapewniania dostępu dzieciom chorym na SMA do leczenia ww. lekiem.

z wyrazami szacunku  
Marek Jurek

---

<sup>1</sup> PLR.4604.478.2018.2.130