



RZECZPOSPOLITA POLSKA

Rzecznik Praw Dziecka

*Mikołaj Pawlak*

Warszawa, 24 października 2022 roku

ZSS.422.32.2022.JOJ

**Pan**

**Adam Niedzielski**

**Minister Zdrowia**

*Szanowny Panie Ministrze,*

z dużym z niepokojem przyjmuję informacje medialne<sup>1</sup> dotyczące zabezpieczenia dostępu do świadczeń zdrowotnych w postaci farmakoterapii na rzecz pacjentów pediatrycznych<sup>2</sup> cierpiących na mukowiscydozę<sup>3</sup>.

Pomimo że od marca 2022 r.<sup>4</sup> leki przyczynowe stosowane w leczeniu mukowiscydozy<sup>5</sup> znajdują się w wykazie leków refundowanych, wielu pacjentów uprawnionych do podjęcia terapii w ramach programu lekowego<sup>6</sup> nadal oczekuje na jego realizację.

<sup>1</sup><https://www.rynekzdrowia.pl/choroby-rzadkie/Mukowiscydoza-Pacjenci-pozostaja-bez-w-pelni-refundowanej-terapii,236544,1024.html>

[https://www.rmfm24.pl/regiony/zakopane/news-ile-osob-otrzyma-refundacje-nowej-terapii-mukowiscydozy-malo,nId,6049287#crp\\_state=1](https://www.rmfm24.pl/regiony/zakopane/news-ile-osob-otrzyma-refundacje-nowej-terapii-mukowiscydozy-malo,nId,6049287#crp_state=1)

<sup>2</sup> W Polsce szacuje się, że z mukowiscydozą żyje około 2,5 tysiąca chorych, z czego dużą część stanowią dzieci i młodzież szkolna.

<sup>3</sup> Mukowiscydoza jest przewlekłą chorobą dotyczącą przede wszystkim układu oddechowego i pokarmowego. Przyczyną choroby są mutacje w genie CFTR (ang. cystic fibrosis transmembrane conductance regulator, błonowy regulator przewodnictwa). Chorzy na mukowiscydozę posiadają zmutowany gen, który powoduje nieprawidłową pracę komórek wydzielniczych znajdujących się w wielu organach ludzkiego organizmu. Komórki te wydzielają nieprawidłowy, gęsty i lepki śluz. Wydzielina ta gromadzi się w różnych układach, zwłaszcza w oskrzelach, płucach, przewodzie pokarmowym i układzie rozrodczym, upośledzając ich działanie i powodując występowanie różnych powikłań. Wdrożenie leczenia objawowego, fizjoterapii oraz profilaktyki zakażeń może skutecznie wydłużyć życie pacjentów i polepszyć komfort ich funkcjonowania

<sup>4</sup> Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 21 lutego 2022 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 marca 2022 r.

<sup>5</sup> W ramach programu lekowego programu lekowego objęto refundacją leki przyczynowe stosowane w mukowiscydozie. Zawarta w leku Kalydeco substancja czynna, iwakafator, zwiększa aktywność wadliwego białka CFTR. W wyniku tych działań następuje poprawa funkcjonowania kanałów chlorkowych, rozrzedzenie śluzu w układzie oddechowym i soków trawiennych, co pomaga łagodzić objawy choroby. Tylko że ten lek ma ograniczenia. Pacjenci z mukowiscydozą posiadają różne mutacje CFTR. A ten lek działa tylko na wybrane mutacje i może być zastosowany u bardzo niewielkiej liczby pacjentów. Drugi lek, Orkambi, składa się z dwóch składników aktywnych i może być zastosowany u większej liczby pacjentów. Jedną z substancji czynnych leku Orkambi, lumakafator, zwiększa ilość białek CFTR na komórce, a druga, iwakafator, zwiększa aktywność wadliwego białka CFTR. Trzeci lek Symkevi jest właściwie terapią złożoną z dwóch leków, (Symkevi i Kalydeco). Jedną z substancji czynnych leku Symkevi, tezakaftor, zwiększa liczbę białek CFTR na powierzchni komórek, a druga, iwakafator, zwiększa aktywność wadliwego białka CFTR. Ale również ten preparat można zastosować tylko u wybranych pacjentów z wybranymi mutacjami. Czwarty lek Kaftrio to najnowszy lek przyczynowy w mukowiscydozie i jest terapią złożoną z dwóch leków (Kaftrio, a Kalydeco), który ma zastosowanie u około 70%-90% pacjentów z mukowiscydozą.

<sup>6</sup> LECZENIE CHORYCH NA MUKOWISCYDOZĘ (ICD-10: E84)



W Polsce na mukowiscydozę choruje prawie 2000 osób. Ta wieloukładowa choroba genetyczna ma wyjątkowo ciężki przebieg. Niezwykle ważne jest jej wczesne wykrycie, a następnie jak najszybsze objęcie chorego kompleksową, skoordynowaną opieką zdrowotną oraz systematyczną rehabilitacją. Mukowiscydoza zaczyna się w życiu płodowym i jest chorobą postępującą. Im szybciej rozpocznie się leczenie, tym lepsze są rokowania. Obecnie średnia życia chorych na mukowiscydozę w Polsce wynosi 24 lata. Rozpoczęcie terapii lekami przyczynowymi znacząco wydłuża okres życia, a nawet daje szanse na osiągnięcie wieku podeszłego<sup>7</sup>. Tym samym nadrzędnym celem winno być niezwłoczne zapewnienie chorym dostępu do leków ratujących życie. Na organach państwa spoczywa zatem obowiązek podjęcia niezwłocznych i konkretnych działań mających na celu zapewnienie uprawnionym do refundacji pacjentom dostępu do gwarantowanych świadczeń zdrowotnych.

Doceniając starania resortu zdrowia podejmowanych w zakresie ogłoszonej refundacji oraz mając świadomość, że zrealizowanie wszystkich założeń programu lekowego – szczególnie w pierwszych miesiącach od jego wprowadzenia - wymaga dużego wysiłku organizacyjnego, jak również spełnienia wielu procedur leżących także po stronie poszczególnych ośrodków leczenia, stosownie do art. 11 ust. 1 oraz art. 10 ust. 1 pkt 2 ustawy z dnia 6 stycznia 2000 r. o Rzeczniku Praw Dziecka (Dz. U. z 2020 r. poz. 141), zwracam się do Pana Ministra z uprzejmą prośbą o wskazanie, czy poziom zabezpieczenia środków finansowych będących w dyspozycji wojewódzkich oddziałów NFZ jest adekwatny i wystarczający do stopnia potrzeb uprawnionych do refundacji pacjentów, ewentualnie jakie są obecnie możliwości pilnego udostępnienia leków przyczynowych w ramach programu lekowego pacjentom znajdującym się w najcięższych stanach klinicznych. Jeśli prowadzone są obecnie prace nad przyjęciem rozwiązań w przywołanym zakresie, uprzejmie proszę o wskazanie aktualnego etapu ich realizacji.

*Z poważaniem*  
*Rzecznik Praw Dziecka*  
*Mikołaj Pawlak*

---

<sup>7</sup><https://pulsmedycyny.pl/terapia-przyczynowa-w-mukowiscydozie-bedzie-w-polsce-refundowana-wiemy-od-kiedy-1141349>