



Warszawa 17.06.2021 r.

Informacja prasowa

Chcemy żyć! Dramatyczna sytuacja chorych na mukowiscydozę w Polsce.

- *Prezes Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji wydał negatywną rekomendację w sprawie objęcia refundacją leków przyczynowych, które radykalnie zmieniają przebieg mukowiscydozy i przyszłość osób chorych.*
- *Organizacje pacjenckie, chorzy i eksperci nie zgadzają się z opinią Prezesa AOTMiT. Negatywna rekomendacja Prezesa AOTMiT oznacza nie tylko brak standardowej refundacji, ale skutkuje zablokowaniem dostępu do tych leków w ramach Ratunkowego Dostępu do Technologii Medycznych dla chorych w najcięższym stanie.*
- *W Polsce żyje blisko 2000 osób zmagających się z mukowiscydożą. Leki przyczynowe to cud, na który czekali chorzy na całym świecie. To terapia mogąca zmienić chorobę śmiertelną w chorobę przewlekłą.*

Prezes Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji wydał negatywne rekomendacje w sprawie objęcia refundacją dwóch produktów leczniczych: Symkevi i Kaftrio. Negatywne rekomendacje prezesa AOTMiT zostały podjęte pomimo dostępnych badań naukowych dowodzących wysokiej skuteczności oraz bezpieczeństwa terapii i zostały uzasadnione głównie przesłanką ekonomiczną: „Podstawowym argumentem przeciwko finansowaniu jest koszt, który skutkuje znacznym przekroczeniem prognozy opłacalności [...]”¹

Ponieważ dane dotyczące cen leków zostały zastrzeżone przez producenta, organizacje skupione w ramach MukoKoalicji nie są w stanie odnieść się do analiz ekonomicznych będących podstawą rekomendacji Prezesa AOTMiT oraz stanowiska Rady Przejrzystości w tym zakresie. Istotne jest jednak to, że **kryteria oceny leków stosowanych w chorobach powszechnych nie są adekwatne dla leków stosowanych w chorobach rzadkich**, gdzie koszt QALY często wielokrotnie przekracza próg opłacalności, co jednakże nie powinno wykluczać pozytywnej decyzji o objęciu refundacją. Decyzji, która przecież może być decyzją warunkową, uzależniającą stosowanie leku od pozytywnego wyniku negocjacji finansowych producenta z Ministerstwem Zdrowia.

¹ https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2021/067/REK/2021_06_10_BP_Rekomendacja_68-2021_Kaftrio_publicacja_REOPTR.pdf.

Zdecydowany sprzeciw środowiska chorych i ich opiekunów budzi dodatkowe uzasadnienie rekomendacji niesprawnością systemu opieki nad pacjentami z mukowiscydozą w Polsce, która jest przyczyną przedwczesnej śmierci chorych w naszym kraju. *„Leczenie standardowe w istotny sposób różni się między krajami, szczególnie różnice zauważalne są między warunkami polskiej praktyki klinicznej a warunkami praktyki krajów, w których prowadzono badania; w Polsce średni wiek osoby chorej na mukowiscydozę w chwili śmierci wynosi ok. 24 lata (we włączonych badaniach pacjenci w momencie randomizacji mieli średnio 25-30 lat). Tym samym ocena efektu terapeutycznego oraz kierunek różnic jest nie możliwy do oceny na obecnym etapie”². Polscy pacjenci co do zasady **nie są pozbawieni dostępu do dobrej jakości opieki medycznej i podstawowych świadczeń oraz podstawowych leków podtrzymujących**. Inna sprawa, że z powodu braku wystarczającej refundacji są niejednokrotnie obciążeni wysokimi kosztami leczenia. *„W tym zakresie organizacje zrzeszające pacjentów wydatkują rocznie środki rzędu 8 milionów zł na zakup leków i opłacenie kosztów rehabilitacji – mówi Paweł Wójtowicz, prezes Fundacji Pomocy Chorym i Rodzinom MATIO – są to środki głównie pochodzące z mechanizmu 1%, z dobroczynności oraz PFRON.”**

„Od wielu lat zabiegamy o konkretne zmiany dotyczące organizacji opieki nad chorymi na mukowiscydozę. Część z nich, dzięki determinacji organizacji pacjenckich i zaangażowaniu środowiska lekarskiego, udało się wdrożyć, co z czasem na pewno przełoży się na średnią długość życia chorych w Polsce. O wielu innych niedociągnięciach i zaniedbaniach systemowych informujemy Ministerstwo Zdrowia od lat. Uzasadnianie decyzji negatywnej brakiem działania ze strony decydentów, czy wręcz ich niekompetencją, jest po prostu skandaliczne. Dla chorych odmowna decyzja jest - w sytuacji braku dobrej opieki systemowej - dodatkowym ciosem, ponieważ pozbawia ich możliwości dostępu do refundowanych w wielu innych krajach nowoczesnych leków przyczynowych.”- dodaje Waldemar Majek, prezes Polskiego Towarzystwa Walki z Mukowiscydozą.

Przeróżający jest również drugi aspekt stanowiska Prezesa AOTMiT. Zgodnie z przepisami wprowadzonymi w ustawie o Funduszu Medycznym wydanie negatywnej rekomendacji przez Prezesa AOTMiT dla danej technologii lekowej skutkuje wpisaniem jej na listę produktów leczniczych niefinansowanych w ramach procedury Ratunkowego Dostępu do Terapii Lekowych. Jest to zapis, który dla pacjentów z mukowiscydozą, w przypadku aktualizacji komunikatu wydanego 12 maja br., zamknie w ogóle możliwość skorzystania z leczenia przyczynowego mukowiscydozy w ramach środków publicznych dla osób będących w najcięższym stanie. Warto podkreślić, że przepisy ustawy o Funduszu Medycznym, która zgodnie z intencją projektodawcy miała wspierać pacjentów z chorobami rzadkimi, w zasadniczy sposób blokują możliwość finansowania tego rodzaju terapii.

Leki, których refundacji nie rekomenduje Prezes AOTMiT, są uznawane za prawdziwy przełom w leczeniu mukowiscydozy. Potwierdzają to nie tylko doniesienia ze świata i badania naukowe, ale też relacje polskich pacjentów, którzy wyemigrowali, by uzyskać dostęp do leków lub finansują ich zakup ze środków pozyskanych w ramach prywatnych zbiórek: *„Dostłownie już kilka godzin po pierwszej dawce Kaftrio, dało się odczuć, że z głębokich partii płuc odrywa się wydzielina. Przez*

2 Op. cit.

kilka kolejnych dni mój organizm oczyszczał się, a ja z każdym dniem miałem więcej sił” – mówi Robert Helfeier, który kilka lat temu wyprowadził się do Niemiec. „Pierwsze efekty poczułem po 5 dniach. To było niesamowite. Wziąć naprawdę głęboki oddech. Po 5 tygodniach terapii moja spirometria wzrosła do 80%, a ja czuję się jak zdrowa osoba. Mimo, że posiadam kartę osoby niepełnosprawnej, nie korzystam z zasiłków. Pracuję na cały etat i mieszkam sam” dodaje Krzysztof Sępiński, również mieszkający za granicą. Z kolei Monika Kus, która uzyskała dostęp do leków dzięki zbiórkom i zaangażowaniu darczyńców dodaje: „Nie rozumiem tej sytuacji. Chętnie przedstawię swoje wyniki. Moi lekarze są w wielkim pozytywnym szoku. Cały czas wierzyłam w refundację tych leków. Teraz chce mi się płakać... Niech powiedzą mojej rodzinie, że umrę, bo braknie mi środków na leczenie. Niech powiedzą tym wszystkim dzieciom, że nie będą mogły spełniać swoich marzeń, zakładać rodzin, iść do pracy, że będą musiały umierać, bo leki, które są na wyciągnięcie ręki, są za drogie.”

MukoKoalicja wystosowała oficjalny apel do firmy Vertex Pharmaceuticals o obniżenie ceny leku i głęboko wierzy, że w trakcie negocjacji pomiędzy Ministerstwem Zdrowia a producentem, uda się dojść do porozumienia w zakresie akceptowalnej dla polskiego Rządu ceny. Na ten moment pytanie – czy przełom w leczeniu mukowiscydozy, którego jesteśmy świadkami będzie również udziałem Polek i Polaków, czy też przepaść dotycząca długości życia będzie się pogłębiać, a niechlubne statystyki, mówiące o tym, że mediana w momencie śmierci w Polsce to 24 lata, będą nadal dotyczyć chorych i ich bliskich – pozostaje otwarte.

Mukowiscydoza to nieuleczalna choroba o podłożu genetycznym. Nawet milion Polek i Polaków może być nosicielami zmutowanego genu CFTR, który powoduje mukowiscydozę. Co tydzień do grupy blisko 2000 chorych dołącza dwoje noworodków. Codzienna walka chorych – dzieci i młodych dorosłych – o oddech to tysiące godzin poświęcone fizjoterapii, setki tysięcy tabletek, miesiące spędzane w szpitalach, ogromne dawki antybiotyków i kroplówek, żywienie dojelitowe, tlenoterapia, przeszczepy płuc i wątroby. To także determinacja i zaangażowanie rodziców, lekarzy, pielęgniarek, fizjoterapeutów, psychologów. Tak wygląda życie chorych od momentu diagnozy. Wszystko po to, by wyrwać chorobie kolejne lata życia, by doczekać przełomu w leczeniu mukowiscydozy dającego nadzieję na to, że można dożyć starości. Ten przełom dzieje się na naszych oczach – to niedostępne obecnie w Polsce leki działające na przyczynę, a nie objawy choroby, o które zabiegają mi.in organizacje skupione w ramach MukoKoalicji.

MukoKoalicja to porozumienie osób i organizacji pacjentów, którym tragiczny los chorych na mukowiscydozę nie jest obojętny. Które wierzą, że poprzez wspólne i skoordynowane działania można spowodować realne, systemowe zmiany poprawiające jakość i długość życia chorych w Polsce. Priorytetem naszej działalności są leki przyczynowe dające szansę na dłuższe i lepsze życie dla chorych na mukowiscydozę. Członkami MukoKoalicji są:

- Polskie Towarzystwo Walki z Mukowiscydozą <https://www.ptwm.org.pl/>
- Fundacja Pomocy Rodzinom i Chorym na Mukowiscydozę MATIO <https://www.mukowiscydoza.pl/>
- Polskie Towarzystwo Walki z Mukowiscydozą oddział Gdańsk <http://muko.gda.pl/>
- Fundacja Podaruj Oddech <http://fundacjapodarujoddech.pl/>
- Fundacja MUKOHELP <https://muko.help/>

Kontakty:

- 1 1.Prof. Dorota Sands – Ekspert; Prezes Polskiego Towarzystwa Mukowiscydozy; dorota.sands@szpitaldziekanow.pl
- 2 Paweł Wójtowicz – rodzic; prezes Fundacji Matio; p.wojtowicz@mukowiscydoza.pl; tel. 603751 001
- 3 Waldemar Majek – rodzic; prezes Polskiego Towarzystwa Walki z Mukowiscydozą; wmajek@ptwm.org.pl; tel. 509 903 445
- 4 Maciej Konkol – rodzic, członek zarządu Polskiego Towarzystwa Walki z Mukowiscydozą; Oddział w Gdańsku, ojciec córki, która zmarła na mukowiscydozę tel: 609 046 430
- 5 Przemysław Marszałek – rodzic; sekretarz MukoKoalicji; p.marszalek@mukowiscydoza.pl; tel: 515 076 649
- 6 Michał Peryt – chory zbierający środki na zakup leków przyczynowych, tel: 602 224 150 Radom
- 7 Maciej Nowicki – chory przyjmujący w Polsce lek zakupiony ze zbiórek, 727 688 903, Nowy Dwór Mazowiecki
- 8 Monika Kus – chora przyjmująca w Polsce lek zakupiony ze zbiórek, tel: 796 182 271, Rybnik
- 9 Robert Helfeier – chory przyjmujący leki w Niemczech w ramach refundacji; robert.hellfeier@gmail.com; tel: +49 (0) 15902322780
- 10 Anna Szpolak – chora w zaawansowanym stadium choroby w trakcie kwalifikacji do przeszczepu, tel: 883 555 198
- 11 Daniel Radzyński – chory w zaawansowanym stadium choroby w trakcie kwalifikacji do przeszczepu, tel: 514 322 048, Warszawa
- 12 Małgorzata Drzewoszevska – Krupowicz - chora przyjmująca w Polsce lek zakupiony ze zbiórek; tel: 506 717 437, Gdańsk
- 13 Monika Luty - chora przyjmująca w Polsce lek zakupiony ze zbiórek; tel: 533 493 013, Kielce
- 14 Dagmara Gil – chora w zaawansowanym stadium choroby; tel: 530 385 571, Siedlce

więcej materiałów prasowych: <https://mukokoalicja.pl/dla-prasy/>