



Warszawa, 20 grudnia 2021

Szanowni Państwo,

My, pacjenci chorujący na dystrofię mięśniową Duchenne'a oraz ich rodziny czujemy się dyskryminowani w polskim systemie ochrony zdrowia i absolutnie dla niego niewidoczni. Od ponad 5 lat prosimy o refundację leku Ataluren, który dostępny jest dla pacjentów z 20 krajów Europy, w tym m.in. w Rumunii i we wszystkich krajach Europy Środkowo – Wschodniej, z wyjątkiem Polski...

Wniosek o refundację atalurenu wpłynął do Ministerstwa Zdrowia 23 lutego 2019 r (wcześniej po raz pierwszy w 2016 roku). Przeszły one ocenę Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT). Prezes agencji niestety nie zarekomendował objęcia refundacją atalurenu, m.in. ze względu na brak wiarygodnych badań naukowych, brak wyników wskazujących na skuteczność technologii lekowej oraz na brak uzasadnienia dla stosunku kosztów i korzyści. Ponadto Komisja Ekonomiczna jednogłośnie wydała uchwałę negatywną dla leku ataluren we wnioskowanym wskazaniu. W naszym odczuciu, powyższe decyzje są niezwykle krzywdzące dla pacjentów i ich rodzin, zwłaszcza, że najnowsze dane (z września 2021 roku) z badania obserwacyjnego z rejestru STRIDE, obejmującego pacjentów z 13 krajów Europy i Izraela i w którym gromadzone są rzeczywiste dane z długotrwałej obserwacji stosowania Atalurenu w praktyce klinicznej wykazały, że preparat o ponad 5 lat przedłuża zdolność chodzenia u chorych.

Jak podkreślają eksperci, a my rodziny pacjentów i sami chorzy możemy poświadczyc, że dystrofia mięśniowa Duchenne'a to choroba, w której trudno udowodnić działanie leku, stosując standardowe metody jak w przypadku innych przewlekłych chorób, ponieważ postępuje ona powoli, a objawy stają się ewidentne dopiero, gdy jest zaawansowana i występuje już duży zanik mięśni, co sprawia, że w przypadku tego schorzenia i tak małych grup pacjentów, statystyka, która dla Agencji Oceny Technologii Medycznych jest kluczowa, okazuje się niewystarczająca...

Jako rodzice chorych dzieci nie jesteśmy w stanie zrozumieć decyzji urzędniczych. Mamy konstytucyjne prawo do leczenia. Jeżeli nauka i nowoczesna medycyna daje możliwość leczenia pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a to dlaczego takiej możliwości nie daje nam polskie państwo?

Stojąc w obliczu rozpacz, całkowitego odrzucenia i niezrozumienia ze strony najważniejszych osób i polskich instytucji państwowych, postanowiliśmy szukać pomocy u Ojca Świętego – wystosowaliśmy do Papieża Franciszka emocjonalny list prosząc Go o wsparcie w tej trudnej dla nas sytuacji. Dokument załączam do Państwa wiadomości, licząc na Państwa przychylność i prosząc o możliwość nagłośnienia naszych działań.

Pozostaję do dyspozycji

Agnieszka Volkov

Prezes Fundacji Parent Project Muscular Dystrophy

e-mail: agnieszka.volkov@parentproject.org, tel. 504 122 693



Włochy, 13 grudnia 2021

Drogi Ojciec Święty,

W pierwszych słowach naszego listu, w imieniu polskich pacjentów chorujących na dystrofię mięśniową Duchenne'a i ich rodzin, pragniemy bardzo gorąco podziękować za modlitwę i błogosławieństwo każdego 7 września, kiedy na całym globie obchodzony jest Światowy Dzień Świadomości Dystrofii Mięśniowej Duchenne'a (Duchenne Awareness Day). Jest to dla nas ogromny gest solidarności i wsparcia w naszym niełatwym codziennym życiu.

Ośmieleni troską Ojca Świętego o pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a zwracamy się z ogromną prośbą o wsparcie i wstawiennictwo do polskiego rządu w sprawie leku Ataluren, który refundowany jest w całej Europie Środkowo – Wschodniej, tylko nie w Polsce.... Czujemy się dyskryminowani w polskim systemie ochrony zdrowia i absolutnie dla niego niewidoczni. Wszelkie rozmowy podejmowane i prowadzone od lat z polskimi decydentami nie przynoszą zamierzonego efektu – dostępu do bezpłatnego leczenia około 30 polskich chłopców z DMD...

Mamy nieodparte wrażenie, że wykorzystaliśmy już wszelkie możliwości zwrócenia uwagi na nasz problem dlatego stojąc w obliczu rozpacz, całkowitego odrzucenia i niezrozumienia ze strony najważniejszych osób i instytucji państwowych, zwracamy się z gorącą prośbą do Ojca Świętego o pomoc w uzyskaniu dostępu do refundacji leku spowalniającego rozwój choroby i wydłużającego czas samodzielności pacjentów. Najgorszym bólem dla rodziców chorujących dzieci jest świadomość, że mimo, że nauka i nowoczesna medycyna dała możliwość leczenia pacjentów z DMD, to niestety takiej możliwości nie daje polskim pacjentom Ministerstwo Zdrowia, które nie wyraża zgody na refundację leku Ataluren.



FUNDACJA PARENT PROJECT MUSCULAR DYSTROPHY

ul. Leśna 17, 83-331 Przyjaźń

<http://parentproject.org.pl> • <https://www.facebook.com/fundacja.ppm>

e-mail: fundacja@parentproject.org.pl



FUNDACJA PARENT PROJECT MUSCULAR DYSTROPHY

ul. Leśna 17, 83-331 Przyjaźń

<http://parentproject.org.pl> • <https://www.facebook.com/fundacja.ppm>

e-mail: fundacja@parentproject.org.pl

Mamy szczerą nadzieję, że ogromny autorytet Ojca Świętego, mądrość i wrażliwość na drugiego człowieka będą impulsem dla polskiego rządu w kierunku ponownego pochylenia się nad wnioskiem refundacyjnym leku, który jest jedyną szansą na rzeczywiste przedłużenie sprawności i godne funkcjonowania chorych w tej dramatycznej chorobie i jednocześnie największym ich marzeniem

Z poważaniem,

Agnieszka Volkov
Volkov
PREZES ZARZĄDU FUNDACJI
PARENT PROJECT MUSCULAR DYSTROPHY