

RPW/138593/2021 P  
Data: 2021-08-12  
ID: 00890207774685

Gdańsk, dnia 09.08.2021

ADRESACI PETYCJI:

Szanowny Pan

Premier Mateusz Morawiecki,

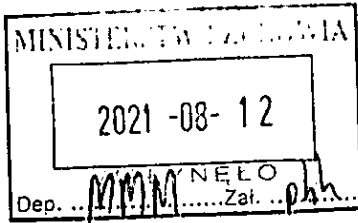
Minister Zdrowia Adam Niedzielski,

Wiceminister Zdrowia Maciej Miłkowski

Prezes NFZ Filip Nowak,

Posłowie i Senatorowie Parlamentu RP,

Firma Alexion Pharmaceutic



**Przedmiot petycji :**

Podtrzymanie dofinansowania leku SOLIRIS – zmiana decyzji w zakresie usunięcia leku SOLIRIS z listy leków refundowanych.

**PETYCJA**

Stosownie do brzmienia art. 2 ust. 2 pkt 1 Ustawy z dnia 11 lipca 2014r. o petycjach (Dz.U. 2018 poz. 870) – **działając w interesie publicznym apelujemy o pomoc i przywrócenie Leku SOLIRIS, leku, który ratuje życie chorych na Nocną Napadową, na listę leków refundowanych w leczeniu tej rzadkiej choroby.**

Nocna napadowa hemoglobinuria (zespół Marchiafavy-Micheliego, ang. paroxysmal nocturnal hemoglobinuria, PNH ) to rzadko występująca nabyta choroba klonalna krwiotwórczej komórki macierzystej wywołana mutacją somatyczną genu PIGA. W wyniku mutacji dochodzi do nienowotworowej ekspansji komórek potomnych z defektem oraz związanych za jego pośrednictwem z błoną komórkową, białek o różnej funkcji, w tym inhibitorów dopełniacza CD55 i CD59. Niedobór lub całkowity brak tych białek na erytrocytach pełni kluczową rolę w patogenezie PNH. U chorych występuje triada wyrażonych w różnym stopniu objawów klinicznych, takich jak hemoliza, zaburzenia zakrzepowe i zaburzenia wynikające z niewydolności szpiku. Inne objawy to m.in. chroniczne zmęczenie czy bóle brzucha i mięśni. PNH rozpoznaje się w każdym wieku, choć najczęściej u osób młodych. Występowanie choroby szacuje się na 1,3/mln osób/rok. Określa się, że 5-letnia przeżywalność szacowana jest na zaledwie 35%.



Możliwością zapobiegania objawom choroby jest podawanie nowoczesnego, stosowanego niemal w całej Europie i dalekich zakątkach Świata leku. Soliris ( Eculizumab ) to przeciwciało monoklonalne, które łagodzi objawy choroby i umożliwia pacjentom niemal normalne funkcjonowanie w społeczeństwie. Pacjenci muszą dostosować swoje życie prywatne i zawodowe do rygorystycznych wymagań programu lekowego. Na stałe, czyli do końca życia, co dwa tygodnie, muszą stosować terapię w infuzji dożylniej w warunkach ambulatoryjnych.

Wykazano, że terapia znosi hemolizę wewnątrznaczyniową (normalizacja aktywności LDH), stabilizuje stężenie hemoglobiny, ogranicza lub całkowicie eliminuje potrzebę przetoczeń koncentratu krwinek czerwonych, ale także redukuje nadciśnienie płucne oraz ryzyko zakrzepów, a ponadto zapobiega niewydolności nerek i bólom brzucha. Lek jest więc efektywny w ograniczaniu objawów klasycznej postaci PNH i u większości pacjentów znacząco poprawia jakość ich życia. Lek od kilku lat był w Polsce dostępny. Pacjenci objęci programem lekowym mogli po prostu zacząć normalnie żyć, zakładać rodziny, podjąć pracę zawodową czy realizować się w jakikolwiek inny sposób, do tej pory nieosiągalny.

Z ogromnym smutkiem i wręcz niedowierzaniem przyjęliśmy decyzję Ministra Zdrowia o wyłączeniu programu lekowego nr B.96 dla pacjentów z Nocną Napadową Hemoglobinurią i zaprzestaniu refundacji utrzymującego nas przy życiu leku. Nie rozumiemy, dlaczego niedawno zbudowana normalność oraz ochrona naszego zdrowia i życia jest teraz brutalnie odebrana. Wszelkie źródła dotyczące naszej bardzo rzadkiej choroby dają chorym najwyżej 5 lat życia.

Odebranie leku w trakcie terapii będzie pierwsza tego typu sytuacją na świecie. Lek jest refundowany w większości krajów Europy oraz w tak dalekich zakątkach jak Indie, Brazylia czy Izrael. Zdajemy sobie sprawę, że Soliris jest lekiem droгим, ale nie ma żadnej alternatywy dla tego preparatu, a liczba chorych nie jest duża.

Chorzy na Nocną Napadową Hemoglobinurię, nie są anonimowi – mają rodziny, dzieci przyjaciół, którzy cierpią wraz z nimi widząc jak niepewna przyszłość ich czeka. Naszym największym marzeniem jest móc kontynuować leczenie tak, aby móc zahamować postęp choroby i powrócić do normalności.

Art. 38 Konstytucji Rzeczypospolitej Polskiej stanowi, iż “Rzeczpospolita Polska zapewnia każdemu człowiekowi prawną ochronę życia. Stosownie do treści art. 68 ust. 1 i 2 “Każdy ma prawo do ochrony zdrowia oraz obywatelom, niezależnie od ich sytuacji materialnej, władze publiczne zapewniają równy dostęp do świadczeń opieki zdrowotnej finansowany ze środków publicznych”. Ponadto nawiązując do art. 6 ust.1 ustawy z dnia 6 listopada 2008 r. o prawach pacjenta i Rzeczniku Praw Pacjenta - “Pacjent ma prawo do świadczeń zdrowotnych odpowiadających wymaganiom aktualnej wiedzy medycznej”.

Apelujemy wobec tego o jak najszybsze podjęcie działań w celu przywrócenia pacjentom z PNH możliwości ponownego uzyskania dostępu do stałego programu lekowego i skutecznej terapii w ich jednostce chorobowej.



My, chorzy, a także ich rodziny, przyjaciele i inni obywatele, którym nie jest obojętny los chorych, zwracamy się również do firmy Alexion Pharmaceuticals o prężne rozmowy z Ministerstwem Zdrowia w celu ustalenia optymalnej ceny leku i obniżenie ceny do takiego poziomu, na jaki firma Alexion Pharmaceuticals może pozwolić. Zwiększy to prawdopodobieństwo refundacji leku w kolejnym okresie programu lekowego.

Apelujemy o stały, dożywotni dostęp do leku ratującego nasze życie.

**Niniejsza petycja ma charakter petycji publicznej – choroba ta nie wybiera i może dotknąć każdego z obywateli Rzeczypospolitej, nie ma bowiem konkretnego czasu, w którym choroba ta się aktywuje.**

Szanowni Państwo – prosimy o Waszą pomoc.

Pacjenci chorzy na Nocną Napadową Hemoglobinurię

Rodzin oraz Przyjaciele Pacjentów.

Podmiot wnoszący petycję – lista w załączeniu.

Osoba reprezentująca: