



RZECZNIK PRAW PACJENTA



RZECZNIK PRAW DZIECKA

Alexander Hardy
CEO

BioMarin Pharmaceutical Inc.

105 Digital Drive
Novato, CA 94949

zwracamy się do Państwa jako przedstawiciele instytucji powołanych do ochrony praw małych pacjentów. W naszych działaniach dążymy do tego, aby każde dziecko – bez względu na wiek, płeć, narodowość czy stopień zaawansowania choroby – miało realny dostęp do świadczeń medycznych i czuło się bezpiecznie w czasie całego procesu terapeutycznego.

W ostatnim czasie otrzymaliśmy kilkaset zgłoszeń od dzieci chorujących na achondroplazję, ich rodziców i osób bliskich. Wskazują oni na problem związany z brakiem dostępu w Polsce do innowacyjnej terapii wosorytydem – produktem leczniczym [REDACTED].

Z informacji uzyskanych od dzieci chorujących na achondroplazję i ich rodziców wynika, że zmagają się one z wieloma wyzwaniami zarówno zdrowotnymi, społecznymi jak i trudnościami życia codziennego. Zespołowi objawów achondroplazji u dzieci nieodłącznie towarzyszy ból fizyczny, związany m.in. z problemami ortopedycznymi i neurologicznymi. Problemy zdrowotne dzieci z achondroplazją są Państwu doskonale znane. Chcemy podkreślić przy tym, że dzieci z achondroplazją są szczególnie narażone na występowanie zaburzeń w sferze zdrowia psychicznego, generowanymi codziennymi wyzwaniami związanymi z akceptacją choroby, poczuciem odmienności, czy doświadczania stygmatyzacji i odrzucenia ze strony grupy rówieśniczej.

Aktualnie w Polsce nie jest refundowana żadna technologia lekowa w leczeniu achondroplazji. Możliwe jest tylko wykonanie refundowanego zabiegu operacyjnego rozciągania kości promieniowej/tokciowej, udowej, piszczelowej/strzałkowej. Zabiegi te wiążą się z wieloma możliwymi powikłaniami, bólem i okresowym wykluczeniem z życia społecznego oraz tylko w niewielkim stopniu łagodzą niektóre skutki achondroplazji.

W 2021 r. Europejska Agencja Leków zatwierdziła nowoczesną i skuteczną terapię w leczeniu achondroplazji lekiem o nazwie [REDACTED]. Zdaniem polskich ekspertów medycznych zajmujących się leczeniem niskorosłości u dzieci, wosorytyd jest pierwszą i jedyną technologią lekową wskazaną w achondroplazji, a ze względu na poważny i rzadki charakter choroby wdrożenie terapii nie może być odwlekane.

W Polsce na achondroplazję choruje ok. 560 osób do 18 roku życia. Uwzględniając kryteria włączenia do terapii lekiem [REDACTED] leczenie dotyczy ok. 220 małych pacjentów. Tej

właśnie grupie pacjentów terapia lekiem [REDACTED] poprawiłaby znacznie komfort życia nie tylko w obszarze zdrowotnym, ale również społecznym.

Szanowni Państwo, bardzo zależy nam na tym, aby polskie dzieci chorujące na achondroplazję mogły czuć się bezpiecznie i miały szansę funkcjonowania na takim samym poziomie jak ich rówieśnicy z innych krajów Europy.

Polski system refundacji leków jest systemem wnioskowym, co oznacza, że wszczęcie postępowania o objęcie refundacją systemową danego leku w danym wskazaniu może nastąpić wyłącznie w wyniku złożenia wniosku o objęcie refundacją przez podmiot odpowiedzialny lub jego przedstawiciela.

Jednym z celów BioMarin Pharmaceutical Inc. jest poprawa jakości życia osób cierpiących na rzadkie choroby genetyczne a główną motywacją do działania zasada „Pacjenci są sercem wszystkiego, co robimy”. Także my kierujemy się tymi motywacjami w swoich działaniach. Dlatego zwracamy się z prośbą o pochylenie się nad sytuacją polskich dzieci, a tym samym o złożenie do polskiego ministra właściwego do spraw zdrowia wniosku o refundację produktu [REDACTED] - jedyne skutecznego leku przeznaczonego dla dzieci chorujących na achondroplazję.

Głęboko wierzymy w to, że dacie im Państwo szansę na spokojne i bezpieczne dorastanie.

Z wyrazami szacunku,

Bartłomiej Chmielowiec

Rzecznik Praw Pacjenta

Monika Horna-Cieślak

Rzecznik Praw Dziecka