

Ratująca zdrowie i życie enzymatyczna terapia zastępcza, dla pacjentów z chorobą Fabry'ego będzie refundowana!

Od 1 września na liście leków refundowanych pojawi się enzymatyczna terapia zastępcza. W nowo powstałym programie lekowym dedykowanym pacjentom z chorobą Fabry'ego znajdą się dwa leki, które pod koniec ubiegłego roku uzyskały pozytywną rekomendację Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji: Fabrazyme i Replagal.

- To jest radosny dzień dla nas ale i dla pacjentów, ponieważ kolejne choroby - tzw. choroby rzadkie wchodzi do takiej pełnej opieki państwa, pełnej opieki refundacyjnej, pełnej opieki polskiego systemu ochrony zdrowia. Są dwa leki i one oba będą dostępne dla wszystkich polskich pacjentów. Pacjenci z chorobą Fabry'ego całe lata czekali by móc mieć refundowane tak naprawdę leki, które dla nich są ratujące zdrowie i życie. Na nas jako na **Ministerstwie Zdrowia spoczywa obowiązek pomocy tym ludziom niezależnie od tego jak liczna byłaby to grupa** – poinformował podczas dzisiejszej konferencji prasowej Minister Zdrowia Łukasz Szumowski.

- To przełomowy moment, kończący kilkunastoletnią gehennę pacjentów z chorobą Fabry'ego. Obecny rząd jest pierwszym rządem Rzeczypospolitej Polskiej, który zrobił to, co wcześniejszym rządzącym się nie udało. Pozytywna decyzja Pana Ministra Szumowskiego dla refundacji enzymatycznej terapii zastępczej to dla wielu rodzin z chorobą Fabry'ego zapewnienie dostępu do ratującej zdrowie i życie terapii, która od wielu lat z powodzeniem jest stosowana w całej Unii Europejskiej. Wreszcie pacjenci z chorobą Fabry'ego będą mogli w Polsce normalnie i godnie żyć, bez obawy o nadchodzące jutro, bez cierpienia i bez bólu – podkreśla Anna Moskal Prezes Stowarzyszenia Rodzin z Chorobą Fabry'ego.

- To dzięki ogromnej determinacji i uporowi wielu osób, w tym Pana Ministra Macieja Miłkowskiego, z którym mieliśmy okazję się dwukrotnie spotkać, jak również szerokiego grona ekspertów niekwestionowanych autorytetów medycznych Prof. IMiD Dr hab. n.

med. Jolanty Sykut – Cegielskiej, Konsultant Krajowej w dziedzinie Pediatrii Metabolicznej, Przewodniczącej Zarządu Polskiego Towarzystwa Wrodzonych Wad Metabolizmu, Prof. dr hab. n. med. Jarosława Sławka - Prezesa Polskiego Towarzystwa Neurologicznego, Prof. dr hab. n. med. Piotra Ponikowski - Prezesa Polskiego Towarzystwa Kardiologicznego, Prof. dr hab. med. Michała Nowickiego - Past-Prezesa Polskiego Towarzystwa Nefrologicznego, Prof. dr hab. n. med. Andrzeja Oko - Prezesa Polskiego Towarzystwa Nefrologicznego, Prof. dr hab. n. med. Krzysztofa Pawlaczyka oraz dr n. med. Stanisławy Bazan-Sochy, wreszcie prof. dr hab. n. med. Mieczysława Walczaka, który osobiście angażował się w to by ta decyzja była dziś pozytywna. Bez ich ogromnego zaangażowania i wiedzy nie byłibyśmy tu gdzie jesteśmy. Dziś już śmiało możemy powiedzieć, że choroba Fabry'ego nie jest już wyrokiem śmierci a chorobą przewlekłą, którą jak w każdym cywilizowanym kraju, tak i w Polsce możemy skutecznie leczyć – dodaje Moskal.

- Od lat, jako Krajowe Forum na rzecz leczenia terapii chorób rzadkich wspólnie ze Stowarzyszeniem Rodzin z Chorobą Fabry'ego, które jest członkiem założycielem naszego Forum, zabiegaliśmy o terapię dla pacjentów z chorobą Fabry'ego. Wreszcie doczekaliśmy się. To ogromny sukces! Choroby rzadkie dotychczas nie były dostrzegane przez polski system. W tej chwili zaczynają być dostrzegane, chociażby poprzez projekt Narodowego Planu ds. Chorób Rzadkich czy decyzje takie jak ta dzisiejsza, dotyczące refundacji leczenia dla pacjentów z chorobą Fabry'ego. Ścieżka dla chorób rzadki została otwarta! – zaznaczył Mirosław Zieliński Prezes Krajowego Forum na rzecz terapii chorób rzadkich.

O Fabrym

Choroba Fabry'ego jest jedną z niewielu chorób rzadkich, którą można skutecznie leczyć poprzez dostarczenie do organizmu chorego brakującego enzymu alfa-galaktozydazy (alfa-GAL), którego jego organizm nie wytwarza. Osoby z chorobą Fabry'ego dziedziczą nieprawidłową budowę genu odpowiedzialnego za produkcję tego enzymu. Jego niedobór sprawia, że lipidy odkładają się w wielu tkankach i naczyniach krwionośnych, uszkadzając m.in. nerki, serce czy mózg.

U pacjentów, którzy nie są leczeni, dochodzi do poważnych powikłań narządowych: niewydolności nerek (co w konsekwencji skutkuje koniecznością rozpoczęcia dializ i przeszczepów nerek); poważnych powikłań sercowo-naczyniowych takich jak zawał serca, niedomykalność zastawek, przerost lewej komory serca; czy do wielokrotnych udarów

mózgu. Spustoszeń, które w organizmie chorego spowodował brak enzymu nie da się już odwrócić, dlatego tak ważne jest włączenie leczenia na wczesnym etapie choroby.

www.fabry.org.pl

www.rzadkiechoroby.pl

Dodatkowych informacji udziela:

Karolina Waligóra

Compass PR

Tel. 500 088 365

k.waligora@compasspr.pl