Oświadczenie złożone
przez senatora Jacka Trelę
na 27. posiedzeniu Senatu
w dniu 22 stycznia 2025 r.

Oświadczenie skierowane do podsekretarza stanu w Ministerstwie Zdrowia Marka Kosa

Po raz drugi zwracam się do pana w sprawie dostępu do optymalnego leczenia dla chorych na mukowiscydozę.

Przedstawiciele środowiska wspierającego chorych na mukowiscydozę przekazali mi swoje obawy związane z ciągle trwającą procedurą refundacyjną dla najskuteczniejszego leku na mukowiscydozę o nazwie Kaftrio. Ten lek jest od 2022 r. dostępny w Polsce dla grupy chorych powyżej dwunastego roku życia, którzy są nosicielami tylko niektórych chorobotwórczych mutacji.

Zgodnie z informacjami udostępnionymi przez prof. Dorotę Sands, kierownika Centrum Leczenia Mukowiscydozy Instytutu Matki i Dziecka, w czasie posiedzenia Parlamentarnego Zespołu ds. Chorób Rzadkich w dniu 3 grudnia 2024 r. w ok. 50 krajach Europy ten lek jest dostępny dla dzieci powyżej drugiego roku życia zgodnie ze wskazaniami rejestracyjnymi, tj. ze znacznie szerszą grupą mutacji powodujących chorobę.

Tak restrykcyjny dostęp do terapii Kaftrio jak w Polsce jest tylko na Słowacji. Prof. Dorota Sands podkreśliła, że leczenie mukowiscydozy można i należy zaczynać jak najwcześniej, przed wystąpieniem objawów choroby. Dane przytoczone przez prof. Dorotę Sands z tzw. rzeczywistej praktyki klinicznej, czyli z europejskich rejestrów chorych na mukowiscydozę, dowodzą, jak skuteczne jest to leczenie i jak bardzo zmienia sytuację chorych, do niedawna skazanych na życie z dusznościami i szybką śmierć. Udział pacjentów dorosłych w całkowitej populacji chorych na mukowiscydozę już znacznie przeważa nad udziałem chorych pediatrycznych i systematycznie rośnie, a oczekiwana długość życia chorych na mukowiscydozę w Niemczech wynosi teraz niemal 70 lat.

Niestety, w Polsce wieku dorosłego dożywa obecnie tylko 42% chorych i pozwolę sobie wyrazić opinię, że należy podjąć wszelkie wysiłki, aby tę sytuację zmienić. Przekazano mi, że w trwającej procedurze refundacyjnej pozytywnie zarekomendowano finansowanie leczenia Kaftrio tylko dla części chorych od drugiego roku życia i znowu tylko z niektórymi mutacjami, niezgodnie z zapisami rejestracyjnymi leku i zaleceniami towarzystw naukowych.

Zwracam się do pana ministra z następującym pytaniem: kiedy planuje pan udostępnić leczenie Kaftrio dla wszystkich chorych na mukowiscydozę powyżej drugiego roku życia kwalifikujących się do leczenia zgodnie z rejestracją leku i zaleceniami towarzystw naukowych?

Jacek Trela
senator RP