



Warszawa, 22 lutego 2018 r.

INFORMACJA PRASOWA

Światowy Dzień Chorób Rzadkich - #ShowYourRare

28 lutego 2018 r. po raz ósmy odbędzie się Dzień Chorób Rzadkich. To święto prawie 3 milionów Polaków, którzy od dekady nie mogą doczekać się rozwiązań w zakresie braku leków, ośrodków referencyjnych, specjalistów i ciągnącej się latami diagnostyki.

Choć choroby rzadkie dotykają w Polsce podobną grupę chorych, jak np. znana i skutecznie leczona cukrzyca, dla tych pierwszych wciąż brakuje podstawowej pomocy. Mimo wielokrotnych zapewnień ze strony przedstawicieli Ministerstwa Zdrowia, Narodowy Plan Dla Chorób Rzadkich nie został ukończony. Dzień Chorób Rzadkich to okazja, by przypomnieć, że sytuacja pacjentów z chorobami rzadkimi jest w Polsce wyjątkowo trudna i wymaga pilnych zmian.

Projekt planu

W grudniu 2017 roku Ministerstwo Zdrowia przekazało do konsultacji społecznych projekt Narodowego Planu dla Chorób Rzadkich, roboczego dokumentu będącego podwaliną przyszłego planu. W tym samym czasie, podczas konferencji Europlan III, Marcin Czech, wiceminister zdrowia zapewniał, że resort dostrzega problemy pacjentów z chorobami rzadkimi. - Musimy w końcu zacząć podchodzić do tego tematu, tak jak w innych krajach - przyznał.

Marek Tombarkiewicz, wiceminister zdrowia dodał, że jednym z priorytetów w przygotowanym przez Ministerstwo Zdrowia projekcie Narodowego Planu dla Chorób Rzadkich jest m.in. nowelizacja ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, uwzględniająca funkcjonowanie zespołów koordynacyjnych. Tombarkiewicz zaznaczył też, że działania w sprawie Narodowego Planu dla Chorób Rzadkich skupiają się m.in. na wprowadzeniu zapisu gwarantującego dostęp do leków najpóźniej do trzech miesięcy po ogłoszeniu refundacji, wprowadzeniu rejestru chorób rzadkich oraz uzupełnianiu kwalifikacji na temat chorób rzadkich.

Kiedy zacznie obowiązywać właściwy plan? To pytanie, które postawią przedstawiciele organizacji pozarządowych podczas konferencji z okazji Dnia Chorób Rzadkich. W drodze konsultacji społecznych zgłoszą także wypracowane wraz z ekspertami uwagi do przedstawionego przez Ministerstwo planu działań operacyjnych na lata 2017 -2019. http://www.europlan2017.pl/docs/projekt- plan_dzialan_operacyjnych.pdf

Początek to diagnostyka, podstawą są leki

Eksperti jednogłośnie uznają, że pierwszym problemem, z jakim spotyka się pacjent jest rozpoznanie rzadkiej choroby. Te w większości mają podłoże genetyczne. - Zanim pacjent trafi do genetyka, odwiedza średnio pięciu lekarzy innych specjalności, co przekłada się na kilkuletni okres diagnostyki. Kolejną, bardzo trudną barierą jest ograniczony dostęp do refundowanych terapii – podkreśla Stanisław Maćkowiak, prezes Stowarzyszenia ArsVivendi.

W Polsce pacjenci mają dostęp do 26 refundowanych terapii, podczas gdy w krajach Unii Europejskiej dopuszczono do obrotu ponad 220 leków przeznaczonych dla chorób rzadkich. Eksperti liczą na poprawę dostępności leczenia w ramach zapowiadanej przez Ministerstwo Zdrowia nowelizacji ustawy refundacyjnej.

Mirosław Zieliński, prezes Krajowego Forum na rzecz terapii chorób rzadkich podkreśla, że w nowelizacji ustawy odzwierciedlenie powinny znaleźć: egalitarne podejście do leczenia chorób rzadkich w kontekście obliczania efektywności kosztowej terapii dla chorób rzadkich oraz zapewnienie pacjentom w najcięższym stanie dostępu do eksperymentalnych terapii, w wypadku gdy nie ma dla nich innej istniejącej metody leczenia. - Leki dla rzadkich chorób to rzeczywiście kosztowne terapie, wynika to z bardzo złożonego procesu opracowania takich leków i małej populacji pacjentów, którzy z nich skorzystają. Nie można jednak porównywać kosztów takich terapii do leków stosowanych np. w chorobach cywilizacyjnych, jak nadciśnienie tętnicze, które dotknąć może niemal każdego. To podejście na przestrzeni lat ulega zmianom i widzimy tego przykłady. Ostatnim jest objęcie refundacją najdroższego leku na świecie dla nocnej napadowej hemoglobinurii. Te zmiany wciąż jednak są niewystarczające – zaznacza.

Różne oblicza rzadkich chorób

#1 Choroba Gauchera – to pozytywny przykład choroby rzadkiej, w której polscy pacjenci mają dostęp do refundowanego leczenia. Dziś to osoby aktywne zawodowo i społecznie, o których na pierwszy rzut oka trudno powiedzieć, że zmagają się z rzadką genetyczną chorobą. Celem, na którym skupiają się organizacje działające na rzecz choroby Gauchera jest głównie poprawa diagnostyki i jakości życia pacjentów poprzez zapewnienie wygodniejszych form terapii. Choć przykład choroby Gauchera udowadnia, że w Polsce odpowiednia pomoc dla osób z chorobami rzadkimi jest możliwa, wciąż znacznie więcej jest nierozwiązanych problemów pacjentów.

#2 Choroba Fabry'ego – to schorzenie o bardzo podobnym mechanizmie powstawania i leczenia, jak choroba Gauchera. Różnicą jest brak dostępu do ratującej życie terapii, która z powodzeniem od lat stosowana jest we wszystkich krajach Unii Europejskiej poza Polską. Brak leczenia sprawia, że pacjenci z chorobą Fabry'ego zmagają się z bólem, udarami mózgu i wielonarządową niewydolnością, która nieuchronnie prowadzi do konieczności przeszczepów.

#3 Zespół Leigha - to choroba genetyczna, której pierwsze objawy najczęściej pojawiają się w dzieciństwie. Choroba przejawia się m.in. obniżonym napięciem mięśniowym oraz zaburzeniami równowagi, koordynacji ruchów i oddychania. W konsekwencji choroba prowadzi do przedwczesnej śmierci w wieku kilkunastu lat. Rodzice dzieci, u których zdiagnozowano ten zespół, nie czują się bezradni. Brakuje leczenia i pozytywnych rokowań. Rodzice dwójki dzieci z Polski własnymi siłami i z własnych środków zapewniają dzieciom dostęp do eksperymentalnej terapii prowadzonej we Włoszech, gdzie jeżdżą co dwa tygodnie. Stowarzyszenie pacjentów zabiega o dostęp do niezarejestrowanych jeszcze leków w ramach tzw. procedury compassionate use także dla innych chorych z Polski.

#4 Epidermolysis Bullosa (EB) – pęcherzykowate oddzielanie naskórka, to choroba, w której najdelikatniejszy dotyk powoduje powstawanie na powierzchni skóry bolesnych ran, a w efekcie licznych deformacyjnych blizn. Dziś pacjenci – głównie dzieci – nie mają szans na leczenie przyczynowe. Nadzieje wiążą z eksperymentalnymi, wartymi miliony terapiami, z których skorzystać mogą np. w Stanach Zjednoczonych. Rodzice dzieci fundusze na ten cel pozyskują sami.

To tylko kilka przykładów spośród 7 tysięcy chorób rzadkich.

Pokaż swoją rzadkość

Za każdą z 7 tysięcy chorób rzadkich stoją nierozwiązane problemy prawie 3 milionów pacjentów i ich rodzin, a także bezsilność lekarzy, którzy mimo chęci nie mogą tych problemów rozwiązać. – Powoli wszyscy tracimy nadzieję na przełom w sytuacji osób dotkniętych chorobami rzadkimi w Polsce. Dlatego przy okazji Dnia Chorób Rzadkich 2018, którego hasło brzmi „Pokaż swoją rzadkość, pokaż swoje zaangażowanie” zapraszamy wszystkie osoby do udziału w akcji w mediach społecznościowych #ShowYourRare. Nawet tak symbolicznie okazane wsparcie, jest dla nas szalenie ważne, bo pozwala zwrócić uwagę na problem, który ma w Polsce ogromną a niedostrzeganą skalę - dodaje Mirosław Zieliński.

Aby wziąć udział w akcji #ShowYourRare należy ustawić nakładkę na zdjęcie profilowe w serwisie Facebook. Wystarczy kliknąć w link:

https://web.facebook.com/profilepicframes/?selected_overlay_id=1792293144410097&utm_source=this+list&utm_campaign=3348cd566e-EMAIL_CAMPAIGN_2018_01_29&utm_medium=email&utm_term=0_a9627d0c0e-3348cd566e-326596453&rdc=1&rdr

Ideę akcji oraz tegorocznych obchodów Dnia Chorób Rzadkich oddaje także specjalnie przygotowany film: https://www.youtube.com/watch?v=SL_vV2GVxIU

Więcej informacji na temat Dnia chorób Rzadkich 2018 odnaleźć można na stronie internetowej www.dzienchorobrzadkich.pl oraz profilu Facebook <https://www.facebook.com/DzienChorobRzadkich>

Kontakt prasowy: Agnieszka Bemowska, e-mail: a.bemowska@konkretpr.pl, kom. 516 210 146.



Krajowe Forum na rzecz terapii chorób rzadkich
ORPHAN

