Retina
AMD Polska

Warszawa, dnia 11.08.2021 r.

Szanowny Pan
Roman Topór-Mądry

Prezes Agencji Oceny
Technologii Medycznych i
Taryfikacji
Ul. Przeskok 2
00-032 Warszawa

Szanowny Panie Prezesie,

Retina AMD Polska będące stowarzyszeniem pacjentów z dystrofiami siatkówki , jest niezwykle zainteresowane pojawiającymi się innowacyjnymi terapiami genowymi. Dokonujący się postęp w medycynie, budzi nasze nadzieje na uratowanie choć niektórych z nas przed utratą widzenia.
Wiemy, że wśród produktów leczniczych o wysokiej wartości klinicznej, jest również terapia genowa voretigene neparvovec, znana pod nazwą Luxturna. O tej terapii ostatnio mówiło się dużo dobrego przede wszystkim w związku z pierwszym podaniem jej w Polsce pacjentowi z mutację RPE65 (28 maja 2021). Efekt, jaki przyniosło leczenie przeszedł najśmielsze oczekiwania lekarzy, z którymi jesteśmy w kontakcie. Podobnie jak z samym pacjentem, którego historia natychmiast przykuła uwagę opinii publicznej (Poznań: pierwszy w Polsce pacjent przeszedł terapię genetyczną, która może przywrócić wzrok (wyborcza.pl), https://www.polsatnews.pl/wideo-program/20210701-wydarzenia-1850_6792016/): Pacjent uczy się na nowo rozpoznawać kolory, a nawet zaczyna czytać litery. To dla niego szansa na powrót do normalnego życia, na ukończenie studiów, odzyskanie stabilizacji emocjonalnej w otoczeniu rodzinnym, powrót do społeczeństwa jako w pełni wartościowy obywatel, który nie obciąża budżetu publicznego...
Informacja o pierwszej genoterapi ratującej wzrok jest prawdziwym przełomem! Wśród nas jest zaledwie kilku a może kilkunastu pacjentów z tą mutacją, którzy mogliby zostać uratowani, gdyby było zapewnione finansowanie tego typu terapii ze środków publicznych. Dziś nie ma takiej możliwości.

Jedynie powstały w ubiegłym roku z inicjatywy Prezydenta RP Fundusz Medyczny jest dla młodych pacjentów z mutacją RPE 65 jedyną szansą na powstrzymanie a nawet odwrócenie skutków choroby.
Z założenia Fundusz Medyczny ma ułatwiać dostęp do wysoce skutecznych i bezpiecznych technologii lekowych dla pacjentów z chorobami rzadkimi, do których to terapii pacjenci nie mają dostępu do chwili obecnej.
Rzadkie, dziedziczne schorzenia siatkówki były dotąd nieuleczalne a więc nisko kosztowe. Jednak stopniowa, nieuchronna utrata wzroku powodująca niepełnosprawność w stopniu znacznym, zawsze pociąga za sobą ogromne koszty na pomoc społeczną.
Dlatego zwracamy się do Pana Prezesa z gorącą prośbą o wzięcie pod uwagę naszych argumentów przy podejmowaniu tej trudnej decyzji o wyborze terapii, które powinny być finansowane z Funduszu Medycznego.

W przededniu podjęcia decyzji o finalnym zarysie projektu wykazu technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej pozostajemy do Państwa dyspozycji w kwestii jakichkolwiek pytań związanych z pacjentami z dziedziczną dystrofią siatkówki i bardzo liczymy, że Państwa decyzja przywróci normalność i wzrok oczekującym jej pacjentom.

Z wyrazami szacunku,

PREZES
Retina AMD Polska
Małgorzata Pacholec

Do wiadomości:
1. Profesor Marek Rękas Krajowy Konsultant ds. okulistyki.
2. Bartłomiej Chmielowiec Rzecznik Praw Pacjenta.