

Warszawa, 31 sierpnia 2021 r.

Pan Adam Niedzielski

Minister Zdrowia

Szanowny Panie Ministrze,

stowarzyszenie pacjentów z dystrofiami siatkówki Retina AMD długo oczekiwało na przełomowe decyzje w dostępie do pierwszej genoterapii ratującej wzrok pacjentom z mutacją RPE65. Opublikowany w czwartek 26 sierpnia br. wstępny wykaz technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej, pozwala nam mieć nadzieję na finansowanie leczenia, bez którego nasi pacjenci będą skazani na utratę możliwości widzenia. Wobec tych okoliczności zwracam się z uprzejmą prośbą o uwzględnienie tej terapii w ostatecznej wersji wykazu.

Pacjenci z dziedziczną dystrofią siatkówki pozbawieni są dostępu do skutecznego leczenia. Nadzieja dla nich pojawiła się wraz z utworzeniem Funduszu Medycznego, którego celem jest udostępnienie bezpiecznych i skutecznych terapii osobom cierpiącym na choroby rzadkie. Nieuchronna utrata wzroku u osób z mutacją RPE65 może zostać powstrzymana, a nawet odwrócona dzięki skutecznej i bezpiecznej terapii genowej. Jej uwzględnienie w wykazie technologii lekowej o wysokiej wartości klinicznej daje im nadzieję na powrót do normalnego funkcjonowania.

Rzadkie, dziedziczne schorzenia siatkówki były dotychczas nieuleczalne, zatem nie generowały kosztów leczenia. Niestety osobom ociemniałym często niezbędna była pomoc socjalna przez wiele lat. Ww terapia genowa stanowi niespotykaną dotąd szansę dla osób z mutacją RPE65. Dzięki wprowadzeniu cDNA kodującego prawidłowe ludzkie białko RPE65 do komórek nabłonka barwnikowego w siatkówce, umożliwia prawidłowe widzenie. Efekty leczenia pierwszego w Polsce pacjenta, który przeszedł terapię genową przerastają nawet najśmielsze oczekiwania zarówno lekarzy, jak i samego pacjenta¹. Ponowne widzenie jest dla niego nie tylko drogą do normalnego życia, lecz również źródłem prozaicznego na pozór szczęścia, płynącego z możliwości ponownego zobaczenia drzew, trawy czy sylwetek bliskich mu osób.

¹ <https://poznan.wyborcza.pl/poznan/7,36001,27243720,poznan-pierwszy-polak-przeszedl-okulistyczna-terapię-genetyczna.html>

Dziedziczne dystrofie siatkówki należą do rzadkich chorób okulistycznych o podłożu genetycznym. Do tej pory potrzeby tej grupy pacjentów były pomijane. Obecnie, dzięki środkom z Funduszu Medycznego kilkanaście młodych osób z mutacją RPE65 może otrzymać nowe życie. Mamy nadzieję, że ich potrzeby zostaną uwzględnione, a terapia genowa Luxturna znajdzie się również w ostatecznym wykazie TLK.

Z nadzieją na pozytywne dla naszych pacjentów rozstrzygnięcie pozostajemy do Pańskiej dyspozycji. Z chęcią podzielimy się naszą wiedzą w zakresie potrzeb i problemów osób z dziedziczną dystrofią siatkówki.

Z poważaniem

Małgorzata Pacholec
Prezes Retina AMD Polska

Do wiadomości:

Konsultant Krajowy ds. Okulistyki prof.dr hab.n.med. Marek Rękas