

**Apel Rady Powiatu Gostyńskiego
do Ministra Zdrowia i Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia
w sprawie decyzji wyłączającej dziewiętnastoletniego pacjenta
Samodzielnego Publicznego Zespołu Opieki Zdrowotnej w Gostyniu
z terapii preparatem Elaprase**

Rada Powiatu Gostyńskiego apeluje do Ministra Zdrowia i Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia o anulowanie decyzji Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrarzadkich wyłączającej pacjenta Samodzielnego Publicznego Zespołu Opieki Zdrowotnej w Gostyniu, dotkniętego mukopolisacharydozą typu II (zespół Huntera), z terapii preparatem Elaprase w ramach programu lekowego pod nazwą „Leczenie mukopolisacharydozy typu II”.

Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrarzadkich na mocy decyzji z dnia 11 maja 2015 r. wykluczył pacjenta z terapii preparatem Elaprase, uzasadniając swoje stanowisko brakiem pozytywnego wpływu leczenia na stan zdrowia chorego. Tymczasem opinia lekarza, który leczy pacjenta od 2009 r., jest zupełnie inna:

Pacjent „został włączony do terapii Elaprase w dniu 14 września 2009 r. Od 27 listopada 2009 r. leczony był na Oddziale Dziecięcym, a następnie (od stycznia br.) na Oddziale Internistycznym w Samodzielnym Publicznym Zespole Opieki Zdrowotnej im. Karola Marcinkowskiego w Gostyniu. Przed zastosowaniem wskazanej terapii prezentował wiele zaburzeń neurologicznych, charakterystycznych dla zespołu Huntera, z zajęciem centralnego układu nerwowego w postaci m.in. zaburzeń snu, z brakiem reakcji na leki uspokajające i nasenne, stałego niepokoju, agresji, brakiem umiejętności skupiania uwagi oraz nawiązywania kontaktu z otoczeniem. Od 2008 r. u pacjenta występowały napady padaczkowe ogniskowe i uogólnione, sprawność intelektualna oceniona została jako odpowiadająca górnej granicy upośledzenia głębokiego z licznymi deficytami poznawczymi, głęboko zaburzonym rozwojem mowy, a wtórnie rozwojem emocjonalno-społecznym. Tymczasem w trakcie trwania terapii Elaprase zaobserwowano bardzo istotną poprawę funkcji neurologicznych i psychicznych. Głównymi pozytywnymi zmianami, zauważanymi zarówno przez rodziców, jak i personel medyczny oddziału były:

- ustąpienie zaburzeń snu (pacjent spokojnie zasypia, przesypia całą noc, bez konieczności stosowania leków uspokajających i nasennych),
- stabilizacja stanu psychicznego (pacjent spokojny, pogodny, często i spontanicznie się uśmiechający, nawiązujący kontakt z otoczeniem, bardziej aktywny sensorycznie, szukający kontaktu fizycznego z rodzicami, z ciekawością obserwujący otoczenie, koncentrujący się na

osobie mówiącej, próbujący samodzielnie jeść (chwytając jedzenie, wkłada je do ust), sygnalizujący potrzeby fizjologiczne i higieniczne niepokojem i zmianą zachowania, wydający spontanicznie pomruki, reagujący z zainteresowaniem na dźwięki,

– stabilizacja stanu neurologicznego (od 2012 r. nie obserwowano napadów uogólnionych toniczno-klonicznych, nie wymaga stosowania leków uspokajających).

Oprócz powyższych pozytywnych zmian dotyczących układu nerwowego nastąpiła również poprawa w zakresie układu stawowego – u pacjenta występują znacznie mniejsze przykurcze, widoczna jest również poprawa ruchomości w stawach, układu oddechowego – od czasu rozpoczęcia leczenia nie obserwowano ciężkich infekcji górnych i dolnych dróg oddechowych, układu krążenia – nastąpiło zmniejszenie niedomykalności zastawki mitralnej. Ponadto pacjent urósł 15 cm (ze 130 cm w momencie włączenia do programu do 145 cm aktualnie) i przybrał 12 kg.

[...] Należy wskazać, iż wyłączenie pacjenta z programu Narodowego Funduszu Zdrowia pt. „Leczenie mukopolisacharydozy typu II” z dużym prawdopodobieństwem skutkować będzie istotnym pogorszeniem stanu klinicznego, a w konsekwencji możliwością zgonu pacjenta”.

Biorąc pod uwagę dramatyczną opinię, jaka została wyżej przytoczona, Rada Powiatu Gostyńskiego apeluje do Ministra Zdrowia i Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia o podjęcie działań, które doprowadzą do ponownego objęcia pacjenta Samodzielnego Publicznego Zespołu Opieki Zdrowotnej w Gostyniu terapią lekiem Elaprase.

Z poważaniem

PRZEWODNICZĄCY
Rady Powiatu Gostyńskiego
Alfred Słoma

Załącznik:

– dane pacjenta leczonego na mukopolisacharydozę typu II w SPZOZ w Gostyniu.