Warszawa, 1 czerwca 2019 r.

 **Szanowny Pan**

 **Mateusz Morawiecki**

 **Prezes Rady Ministrów**

 **00-583 Warszawa, Al. Ujazdowskie 1/3**

*Szanowny Panie Premierze,*

W imieniu Stowarzyszenia Rodzin z Chorobą Fabry`ego, reprezentującego Pacjentów z tą rzadką chorobą genetyczną,

**APELUJEMY**

do Pana Premiera o ułatwienie dostępu do enzymatycznej terapii zastępczej

Życie ze śmiertelnym wyrokiem jest niezwykle trudne, zwłaszcza kiedy istnieje terapia, która może zatrzymać postępy choroby, ale jest dla pacjentów niedostępna. Osób z Chorobą Fabry’ego nie widać, ponieważ choroba nie objawia się w cechach wyglądu. Chory wygląda jak każdy człowiek, ale wewnętrznie walczy z ogromnym cierpieniem. Jego organizm każdego dnia jest wyniszczany. Osoby z Chorobą Fabry’ego dziedziczą nieprawidłową budowę genu odpowiedzialnego za produkcję jednego z 40 enzymów występujących w ciele człowieka – alfa-GAL. To enzym, który rozkłada substancje tłuszczowe w naszych organizmach. Gdy jest go zbyt mało, tłuszcze gromadzą się w tkankach i naczyniach krwionośnych, uszkadzając [m.in](http://m.in/). nerki, serce czy mózg. W konsekwencji w organizmie osób chorych przez cały czas gromadzone są szkodliwe produkty metabolizmu, które zatruwają organizm, a także poważnie uszkadzają narządy wewnętrzne. Wraz z nasileniem się objawów choroby, pacjenci zmagają się z coraz większą niewydolnością nerek, chronicznym zmęczeniem, udarami mózgu oraz zaburzoną pracą serca. Zdecydowana większość chorych doświadcza zaburzeń termoregulacji ciała i brak potliwości, które obok problemów z nerkami i sercem są podstawowymi objawami tego schorzenia. Upośledzenie nerwów obwodowych powoduje bardzo silne bóle całego ciała, utratę słuchu, jak również szereg zaburzeń pracy układu pokarmowego.

We wszystkich krajach Unii Europejskiej osoby dotknięte Chorobą Fabry’ego otrzymują skuteczne i refundowane leczenie. Polska jest jedynym krajem Unii Europejskiej, który odmawia prawa do refundowanego leczenia lekiem zarejestrowanym w Polsce. Stowarzyszenie Rodzin z Chorobą Fabry’ego, w imieniu polskich pacjentów, od 15 lat zabiega o dostęp do uznanych i zgodnych ze współczesną wiedzą medyczną terapii (Fabrazyme, Replagal).

Wśród nowo zdiagnozowanych chorych są również dzieci, które z dnia na dzień tracą szansę na ograniczenie niszczących zdrowie skutków choroby. Każdy dzień oczekiwania na decyzję dot. refundacji wiąże się dla chorych oraz ich rodzin z niewyobrażalnym cierpieniem, a niekiedy też ze śmiercią. Budzi oburzenie i sprzeciw, że życie i zdrowie traktowane jest w Polsce w kategoriach obciążenia budżetowego, planów finansowych, mnożenia ograniczeń w nieskończoność.

Enzymatyczna terapia zastępcza zmniejsza ryzyko wystąpienia zdarzeń zagrażających życiu, związanych z powikłaniami kardiologicznymi, neurologicznymi i nefrologicznymi, które odpowiadają za 90% przedwczesnych zgonów wśród nieleczonych pacjentówz chorobą Fabry’ego. Leczenie zmniejsza także częstotliwość i opóźnia wystąpienie powikłań sercowo-naczyniowych. W przypadku zastosowania terapii we wczesnym stadium choroby, możliwe jest osiągnięcie długoterminowej poprawy funkcji i wydolności mięśnia sercowego**.** Sytuacja pacjentów z Chorobą Fabry`ego w Polsce jest jednak wyjątkowo trudna, a pacjenci jako jedyni w Europie, pozostawieni są samym sobie, co prowadzi do postępującego poczucia wykluczenia społecznego i zawodowego. Obecnie w Polsce jedynie część pacjentów (ok. 25 osób) z Chorobą Fabry'ego otrzymuje niezbędne leczenie w ramach programu charytatywnego, organizowanego przez producentów leków. Pozostali pacjenci (ponad 50 osób) nie mają zapewnionego leczenia zgodnego ze współczesną wiedzą medyczną. Doprowadza to do sytuacji, w których tylko ta niewielka część pacjentów, którzy otrzymują leczenie charytatywne może normalnie żyć, studiować i pracować. Pozostali chorzy cierpią zmagając się z coraz większymi problemami zdrowotnymi, takimi jak niewydolność nerek, chroniczne zmęczenie, wielokrotne udary mózgu oraz zaburzona praca serca. Niestety, tego typu podział ma miejsce często w ramach jednej rodziny, w której osoba otrzymująca leczenie charytatywne może normalnie funkcjonować, a inni członkowie tej samej rodziny skazani są na postępujące inwalidztwo, wykluczenie społeczne i zawodowe. Enzymatyczna terapia zastępczą jest od kilkunastu lat dostępna we wszystkich krajach Unii Europejskiej - z wyjątkiem Polski.

Pan Premier w swoich wystąpieniach bardzo często porusza temat sprawiedliwości społecznej. Sprawiedliwości, która powinna być pojmowana jako cecha ustroju politycznego i porządku prawnego, ale także jako cecha stosunków społecznych i wówczas oznacza sposób traktowania obywateli. Cechami wspólnymi zróżnicowanych wyobrażeń i pojęć sprawiedliwości społecznej jest zapewnienie wszystkim równości szans, także w dostępie do leczenia. Konstytucja RP gwarantuje w art. 68, że każdy ma prawo do ochrony zdrowia, a władze publiczne zapewniają obywatelom równy dostęp do świadczeń opieki zdrowotnej finansowanej ze środków publicznych.

Pokładaliśmy ogromne nadzieje w opinii Pana Premiera wyrażonej w expose z 12 grudnia 2017 r. „Pierwszym arcyważnym zadaniem jest służba zdrowia. Nie ma godnego życia bez sprawnej opieki zdrowotnej." Dlatego niezrozumiała jest dla nas sytuacja, w której pacjentom z Chorobą Fabry’ego od kilkunastu lat odmawia się refundowanego leczenia, zgodnego ze współczesną wiedzą medyczną, tłumacząc to potrzebami innych grup pacjentów i możliwościami finansowymi publicznego płatnika. To już nawet nie jest uczciwe społecznie, ale jest wręcz niehumanitarne.

Od momentu, kiedy jako stowarzyszenie rozpoczęliśmy starania o ułatwienie dostępu do skutecznego leczenia polskich pacjentów z Chorobą Fabry’ego minęło 15 lat. Okres 10 rządów, 8 Premierów i 10 Ministrów Zdrowia, wydaje się być wystarczający do tego, żeby w końcu pochylić się nad ogromnym cierpieniem pacjentów z Chorobą Fabry’ego i zapewnić im efektywne leczenie, które nie jest już żadną nowością, ale standardem refundowanym we wszystkich krajach Unii Europejskiej poza Polską.

Do wiadomości:

* Łukasz Szumowski, Minister Zdrowia
* Andrzej Jacyna, Prezes NFZ
* Bartłomiej Chmielowiec, Rzecznik Praw Pacjenta