

Stowarzyszenie
rodzin z amyloidozą TTR
Dąbrowa Szlachecka ul. Wspólna 2
32-070 Czernichów
NIP: 9442271137



stowarzyszenie rodzin z amyloidozą TTR

Podsekretarz Stanu
Minister Maciej Miłkowski

Szanowny Panie Ministrze

Reprezentuję Stowarzyszenie rodzin pacjentów z amyloidozą TTR, której jestem prezesem i jednocześnie jestem jednym z chorych. Amyloidoza serca to choroba genetyczna, której przebieg jest bardzo ekspansywny i bez dostępu do leczenia polegającego na spowolnieniu lub zahamowaniu doprowadza do szybkiego zgonu. Uszkadza serce, obwodowy układ nerwowy i układ trawienny. Czas przeżycia od wystąpienia objawów to 4 do 6 lat. Jeszcze 3 lata temu wiedza w naszym kraju na temat tej choroby była bardzo ograniczona o czym my pacjenci wiemy najlepiej. Czasookres diagnozy to nawet 6..8 lat. Kiedy u mnie w 2019 roku zdiagnozowano chorobę na polskojęzycznych stronach internetowych nie było praktycznie żadnej informacji o chorobie, diagnozie, przebiegu oraz terapiach i metodach leczenia. Mnie choroba dopadła w wieku 53 lat a więc teoretycznie było przede mną kilkanaście lat aktywnego życia zawodowego i społecznego. To zabrzmiało bardzo zdecydowanie, ale zegar życia mój oraz innych pacjentów bardzo przyspieszył wskazując nieuchronną szybką śmierć.

Z wprowadzeniem Narodowego Programu Chorób Rzadkich przyjętego w 2021 roku przez Rząd i Ministerstwo Zdrowia, nasza choroba wyszła z ukrycia i doczekała się bardzo spektakularnych działań dotyczących monitorowania i diagnozowania. Uruchomienie programu oraz związane z nim działania spowodowały, iż ścieżka diagnostyczna pacjenta jest bardzo krótka i co najważniejsze skuteczna. W program amyloidozy serca zaangażowało się wielu wspaniałych lekarzy, którzy swoim oddaniem, ale również możliwością dostępu do najnowszych narzędzi i metod diagnostycznych mogą już na wczesnym etapie określić stopień postępu choroby. Dzięki temu ścieżka ta skróciła się z 6 – 8 lat do roku, a w niektórych przypadkach nawet do kilku miesięcy. To ogromny przełom w Programie

Chorób Rzadkich zwłaszcza w odniesieniu do amyloidozy serca. Jednakże diagnoza to tak naprawdę tylko pierwszy krok. Najważniejszym elementem jest dostęp do terapii lekowej lub leku ratującego życie! I ten lek jest. Jest i działa.

Dzięki Programowi Wczesnego Dostępu Leków w Ramach Leczenia Charytatywnego firmy Pfizer grupa 30 pacjentów otrzymuje Vyndaqel (Tafamidis). Kolejnych 18 oczekuje na uzyskanie dostępu do leku. Jest to lek, który został zarejestrowany przez Europejską Komisję Leków w 2020 roku jako bardzo skuteczny w leczeniu chorych na amyloidozę TTR i jest to obecnie jedyny lek ratujący nam życie. Skuteczność działania tego leku oprócz wyników badań klinicznych potwierdzają nasze wyniki systematycznych badań i nasza zdecydowanie lepsza kondycja zdrowotna.

W dniu 20 czerwca 2022 roku Minister Zdrowia wydał decyzję o odmowie objęcia refundacją dla leku Vyndaqel (Tafamidis) w ramach leczenia kardiomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej u dorosłych (ICD-10 E85). Tak wiele zostało zrobione w zakresie rozwoju diagnostyki naszej choroby, tak wielu lekarzy zostało zaangażowanych w ten proces, iż brak dostępu do ostatniego elementu tj. leku kwestionuje wszelkie wysiłki w tym zakresie zarówno samych lekarzy jak i Ministerstwa Zdrowia. Z ubolewaniem przyjmujemy fakt uzasadnienia decyzji odmownej, która skupiła się tylko na jednym ze skutków choroby tj. niewydolności lub arytmii serca, a nie na przyczynach wieloobjawowych. Jako chory z mieszaną odmianą amyloidozy TTR tj. kardiomiopatią i polineuropatią mogę obiektywnie stwierdzić, iż stosowanie Vyndaqelu (Tafamidisu) zdecydowanie spowolniło proces choroby zarówno w zakresie kardiologicznym jak i neurologicznym.

Dlatego w imieniu swoim i wszystkich pacjentów zwracam się z ogromną prośbą o ponowne rozpatrzenie kwestii możliwości refundacji leku Vyndaqel (Tafamidis). Biorąc pod uwagę ogromne wsparcie ze strony Ministerstwa w zakresie Programu Chorób Rzadkich, a do takich zalicza się amyloidozę TTR, refundacja wyżej wymienionego leku dałaby ogromną szansę i nadzieję dla pacjentów i niestety przyszłych pacjentów (choroba genetyczna; członkowie naszych rodzin posiadają mutację tego genu).

W imieniu swoim oraz wszystkich chorych bardzo proszę o ponowne, mam nadzieję, pozytywne rozpatrzenie wniosku firmy Pfizer dotyczące refundacji leku, który da nadzieję wszystkim na normalne funkcjonowanie i wydłużenie życia.

z Powołaniem
Stowarzyszenie
rodzin z amyloidozą TTR

Zbigniew Pawłowski
Prezes Stowarzyszenia
tel: 604 141 716

