

Petycja o udostępnienie profilaktyki krwawień emicizumabem dla wszystkich dzieci chorych na hemofilię A w postaci ciężkiej od urodzenia do 18 roku życia



TAK! dla leków

podskórnych dla dzieci chorych na ciężką hemofilię #nieodwracajocz

Pani Izabela Leszczyna

Ministra Zdrowia

Ul. Miodowa 15

00-952 Warszawa

Szanowna Pani Ministro,

my, niżej podpisani rodzice, krewni i przyjaciele dzieci chorych na hemofilię, zwracamy się z prośbą o udostępnienie profilaktyki krwawień emicizumabem dla wszystkich dzieci chorych na hemofilię A w postaci ciężkiej od urodzenia do 18 roku życia bez konieczności spełnienia dodatkowych kryteriów. Jest to rzadka, genetyczna choroba krwi, która wymaga regularnej profilaktyki, aby zapobiegać krwawieniom oraz ich powikłaniom.

Leczenie osób chorych na hemofilię ciężką od lat opiera się na rekombinowanym lub osoczopochodnym czynniku krzepnięcia, podawanym w sposób dożylny 3 razy w tygodniu lub co 48 godzin, w zależności od indywidualnych potrzeb pacjenta. Lek podnosi poziom czynnika VIII do poziomu zdrowego człowieka, aby wraz z upływem czasu spadać do wartości 0%.

W ostatnich latach pojawiły się innowacyjne leki podskórne, które znacząco poprawiają jakość życia pacjentów, minimalizując ból związany z podaniami dożylnymi oraz umożliwiając łatwiejsze i bardziej komfortowe leczenie w warunkach domowych. Częstotliwość podaży jest ustalana przez lekarza – najczęściej jest to raz na jeden, dwa lub cztery tygodnie. Ograniczenie liczby wkluc i wizyt w gabinetach lekarskich jest ważne dla wszystkich pacjentów, ale ma szczególne znaczenie w przypadku dzieci, dla których dotychczasowe leczenie nierzadko wiąże się z traumatycznymi przeżyciami.

Lek podskórny naśladuje czynnik VIII, utrzymując go na stałym poziomie około 10-15%. Pacjent przez całą dobę, 7 dni w tygodniu, od podaży do podaży nie pozostaje bez osłony w razie jakichkolwiek urazów. Początkowo lek został dopuszczony dla osób, u których pojawił się inhibitor czynnika krzepnięcia, czyli sytuacja, kiedy standardowe leczenie czynnikiem okazało się nieskuteczne. Następnie grono pacjentów zostało rozszerzone o tych bez inhibitora czynnika krzepnięcia. Wprowadzony lek okazał się nadzieją dla wszystkich chorych, kolejne kraje Unii Europejskiej oraz świata zaczęły stosować go w leczeniu profilaktycznym. W Polsce w 2008 roku zostało wprowadzone leczenie profilaktyczne czynnikiem krzepnięcia. Po 16 latach udało się udostępnić profilaktykę krwawień preparatem emicizumab w ramach programu lekowego B15 „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” od 1 lipca br. – tylko dla wybranej, określonej w kryteriach kwalifikacji, grupy dzieci.

Udostępnienie leku dla całej grupy pacjentów pediatrycznych chorych na hemofilię A postać ciężką bez konieczności spełnienia dodatkowych kryteriów to przede wszystkim:

- 1) oszczędność pieniędzy - koszty związane z założeniem portu, wymianą portu, narkozą, hospitalizacjami w związku z podejrzeniem zakażenia portu, z sepsą odcewnikową, pobytami na oddziałach w celu podaży czynnika kilka razy w tygodniu;
- 2) oszczędność czasu - zarówno personelu medycznego, który nie będzie musiał przeprowadzać infuzji leku kilka razy w tygodniu, ale również rodziców, którzy nierzadko dojeżdżają do ośrodka oddalonego o kilkadziesiąt kilometrów;
- 3) oszczędność zdrowia - brak narażania zdrowia oraz życia dzieci na skutki związane z zakażeniami portu oraz jego uszkodzeniem, czy dysfunkcją, koniecznością uciążliwej antybiotykoterapii w szpitalu w związku z podejrzeniem zakażenia portu, brak zrostów żył, które muszą służyć dzieciom do końca życia, stały poziom czynnika krzepnięcia przez cały czas działania leku;
- 4) brak narażania na nieprawdopodobny stres związany z kilkukrotnymi lub kilkunastokrotnymi próbami wkłucia w żyłę, które często kończą się wkłuciami przez lekarza anestezjologa.

Apelujemy o to, by standardy leczenia hemofilii w Polsce odpowiadały aktualnej wiedzy medycznej i by wszyscy pacjenci pediatryczni od urodzenia do 18 roku życia mieli realny dostęp do możliwości terapeutycznych, które są powszechnie dostępne w Unii Europejskiej – do podskórnej profilaktyki krwawień emicizumabem bez konieczności spełnienia dodatkowych kryteriów.

Z poważaniem,