

Biuletyn Informacyjny

ORPHAN

Styczeń 2007

www.rzadkiechoroby.pl

+

W tym wydaniu:

- **W Polsce niebawem zostanie powołany Komitet Sterujący ds. Chorób Rzadkich**
- **Zmiana opisu programu terapeutycznego leczenia choroby Hurler**
- **Realizacja programów terapeutycznych w 2007 uzgodniona**
- **Lek na MPS typ II zarejestrowany w Unii Europejskiej**
- **Honorowy Patronat nad Międzynarodową Konferencją MPS 2007**

Przygotowania do powołania Komitetu Sterującego ds. Chorób Rzadkich

Mirosław Zieliński

Krajowe Forum na rzecz terapii chorób rzadkich

W końcu listopada 2006 roku doszło do spotkania Ministra Zdrowia Zbigniewa Religi oraz Wiceministra Bolesława Piechy z przedstawicielami sygnatariuszy [listu](#) występującego z inicjatywą powołania Komitetu Sterującego ds. rzadkich chorób. W spotkaniu poza personelem Ministra z Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji wzięli udział przedstawiciele Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Członek Komitetu ds. Leków Sierocych przy Europejskiej Agencji Oceny Leków, Prezes Stowarzyszenia MPS i przedstawiciele naszego Forum Orphan.

Koncepcja utworzenia takiego Komitetu w Polsce spotkała się z poparciem Kierownictwa resortu zdrowia. Zapowiedziano, że Minister niebawem powoła w drodze zarządzenia Komitet, w skład którego wejdą przedstawiciele resortu zdrowia i kilku innych resortów mogących przyczynić się do poprawy opieki i terapii pacjentów z chorobami rzadkimi oraz przedstawiciele NFZ, świadczeniodawców, Towarzystw Genetycznych, a także reprezentacji wąskiej grupy dostawców oraz producentów. Za konieczny uznano również udział reprezentacji stowarzyszeń pacjentów z chorobami rzadkimi.

W wyniku ustaleń już na początku grudnia rozpoczęto trwające nadal prace nad tekstem zarządzenia powołującego Komitet i ustalającego jego skład, cele i zadania.

W trakcie prac przygotowujących powołanie Komitetu uzgodniono, że do jego głównych zadań będą między innymi należały:

- ✓ określanie kierunków polityki Państwa w zakresie opieki i terapii chorych na choroby rzadkie;
- ✓ definiowanie potrzeb finansowych niezbędnych dla zapewnienia powszechnego i pełnego dostępu do terapii dla chorych na choroby rzadkie;
- ✓ dbałość o zapewnienie podstawowej i specjalistycznej opieki zdrowotnej chorym na choroby rzadkie,
- ✓ zapewnienie integracji systemu terapii i opieki nad chorymi na choroby rzadkie z ogólnym systemem opieki zdrowotnej;
- ✓ definiowanie, analiza oraz formułowanie zaleceń rozwiązywania bieżących problemów w realizacji polityki Państwa w zakresie opieki i terapii chorych na choroby rzadkie oraz realizacji podstawowej oraz specjalistycznej terapii i opieki chorych na choroby rzadkie.

Oczekujemy, że Komitet zostanie formalnie powołany najpóźniej w pierwszym kwartale 2007 roku. Mamy nadzieję, że termin utworzenia oczekiwanego przez środowiska medyczne i pacjentów Komitetu zostanie dotrzymany.

Zmiana opisu programu terapeutycznego Hurler

W styczniu 2007 Zarządzeniem Prezesa NFZ nr 4/2007 zmieniono opis programu Hurler. Zmiana, która była [wnioskowana](#) między innymi przez Ministra Zdrowia, dotyczyła wykreślenia ograniczenia wiekowego włączenia do programu. Dotychczas istniejący zapis nie pozwalał na leczenie pacjentów poniżej 5 roku życia.

Ta oczekiwana nowelizacja pozwoli na szybkie rozpoczęcie terapii trójki kilkumiesięcznych dzieci, u których stwierdzono Mukopolisacharydozę typu 1. Stowarzyszenie MPS oraz Krajowe Forum wyrażają podziękowanie dla Departamentu Gospodarki Lekami i dla Prezesa NFZ za szybką reakcję i dokonanie [aktualizacji](#) opisu programu terapeutycznego leczenia choroby Hurler laronidazą.



Zmiana wyceny punktowej i uzgodnienie realizacji programów terapeutycznych programów terapeutycznych na rok 2007

Krajowe Forum na rzecz terapii chorób rzadkich, śledząc zmiany przepisów regulujących realizację programów terapeutycznych, z ulgą odnotowało fakt zmiany wyceny punktowej substancji czynnych stosowanych w terapii chorób Hurlera i Gauchera. Oczekiwana aktualizacja wyceny laronidazy oraz imiglucerazy wprowadzona została Zarządzeniem Prezesa NFZ [Nr 2/2007](#) z dnia 9 stycznia 2007 r.

Będąc w stałym kontakcie z Mazowieckim Oddziałem NFZ w zakresie potrzeb lekowych programów terapeutycznych, przedstawialiśmy szczegółowe informacje na temat oszacowanych przez środowisko pacjentów potrzeb ilościowych niezbędnych do planowania wysokości finansowania programów dla chorych z chorobą Gaucher'a i Hurler.

Wkrótce potem zostaliśmy poinformowani przez przedstawiciela Mazowieckiego Oddziału NFZ o pozytywnym zakończeniu rozmów z IPCZD uzgadniających realizację obu programów w 2007 r.

Zarówno szybka interwencja Centrali NFZ dostosowująca wysokości wycen punktowych do realnych możliwości zakupu leków, jak i pomyślne

uzgodnienie poziomu finansowania z IPCZD uspokoiły nasze wcześniejsze, wynikające z rozbieżności cen i krótkich terminów kontraktacji, obawy o przerwy, a nawet o wstrzymanie terapii pacjentów z chorobą Hurler i Gaucher'a.

Teraz pozostaje tylko oczekiwać na szybkie dokończenie formalności związanych z zamówieniem leków. Przekonani jednak jesteśmy, że administracja IPCZD dołoży wszelkich starań i skoordynuje dostawy tak aby uniknąć przerw w podaniach enzymów.

Zarówno pacjenci jak i rodzice oraz władze naszych organizacji składają wyrazy podziękowania dla kierownictwa i pracowników NFZ i IPCZD za dołożenie wszelkich starań i zakończenie stresującego nasze środowisko procesu kontraktacji.

Stowarzyszenie Rodzin z Chorobą Gaucher'a
Stowarzyszenie Chorych na MPS
Krajowe Forum na rzecz terapii chorób rzadkich

Lek na chorobę Huntera, MPS typ II, został zaaprobowany przez Komisję Europejską

11 stycznia 2007 Firma Shire plc ogłosiła, że Komisja Europejska wydała pozwolenie na dopuszczenie do obrotu dla leku ELAPRASE® (idursulfaza) do stosowania w długoterminowym leczeniu pacjentów z chorobą Huntera (Mukopolisacharydozą II typu, MPS II). ELAPRASE jest pierwszą i jedyną enzymatyczną terapią zastępczą dla pacjentów cierpiących na chorobę Huntera. Została ona uprzednio wprowadzona na rynek amerykański w lipcu 2006 roku. W wielu krajach europejskich uruchomiono już procedury cenowe i refundacyjne dla Elaprasy. Lek zostanie wprowadzony na rynki większości krajów europejskich w 2007 roku.

Ponad 200 pacjentów otrzymuje obecnie terapię enzymatyczną Elaprasy, w tym ponad 100 w Europie w ramach programów przed-rejestracyjnych i ponad 100 w Stanach Zjednoczonych. Ocenia się, że na całym świecie jest około 2000 pacjentów w krajach, gdzie możliwa będzie refundacja. Około 400 pacjentów z tym schorzeniem zostało do tej pory zdiagnozowanych w Europie.

"Jesteśmy bardzo zadowoleni z kolejnego kroku w globalnym rozwoju ELAPRASE. Choroba Huntera (MPS 2) jest rzadkim i

wyniszczającym schorzeniem. Dostępność tego leczenia będzie miała potencjalnie ogromny wpływ na życie pacjentów" stwierdził Prezes Shire Matthew Emmens.

ELAPRASE jest oczyszczoną formą lizosomalnego enzymu iduro-2 sulfatazy produkowaną w technologii rekombinowanego DNA w ludzkiej linii komórkowej. ELAPRASE, dostarczana w cotygodniowych wlewach zastępuje enzym, którego pacjenci z chorobą Huntera nie wytwarzają lub wytwarzają w niedostatecznej ilości.

Choroba Huntera jest bardzo rzadkim, postępującym i zagrażającym życiu schorzeniem, które dotyka głównie osoby płci męskiej. Jest ona jedną z dziedzicznych chorób metabolicznych znanych jako lizosomalne choroby spichrzeniowe. U pacjentów z chorobą Huntera występuje brak enzymu iduro-2 sulfatazy, niezbędnego w ciągłym procesie rozkładu węglowodanów zwanych glikozoaminoglikanami (GAG). Oczekiwana długość życia u tych pacjentów wynosi jedynie 10-20 lat.

Pozwolenie na dopuszczenie do obrotu dla leku ELAPRASE® wydano po uprzedniej pozytywnej opinii Komitetu Produktów Medycznych (CHMP) w październiku 2006 roku.



**Honorowy Patronat nad Międzynarodową
Konferencją MPS 2007**

Teresa Matulka
Stowarzyszenie MPS

Jak pisaliśmy w poprzednim wydaniu Biuletynu Stowarzyszenie Chorych na Mukopolisacharydozę i Choroby Pokrewne rozpoczęło przygotowania do zaplanowanej na 24-27 maja 2007 Międzynarodowej Konferencji Sieci MPS. Z przyjemnością informujemy, że honorowy patronat nad Konferencją objął Minister Zdrowia RP oraz Instytut „Pomnik - Centrum Zdrowia Dziecka”.

Funkcjonuje już portal internetowy Konferencji www.mpsnetwork2007.pl, na którym znajdują się bieżące informacje o programie oraz formularz rejestracyjny udziału w konferencji. Ze względu na ograniczoną ilość miejsc serdecznie zachęcamy do wcześniejszej rejestracji swojego udziału.

Licząc na Państwa zainteresowanie i obecność, w imieniu wszystkich członków Stowarzyszenia MPS serdecznie zapraszam do wzięcia udziału w tegorocznej światowej Konferencji MPS.

Pozostaję z poważaniem
Teresa Matulka



Prezes Stowarzyszenia MPS

**MIĘDZYNARODOWA
KONFERENCJA MPS
2007
SEROCK
24-27 MAJA**

Honorowy Patronat
Ministra Zdrowia RP oraz Instytutu "Pomnik - Centrum Zdrowia Dziecka"

www.mpsnetwork2007.pl



**[REJESTRACJA UDZIAŁU W KONFERENCJI
TUTAJ](#)**

Krajowe Forum na rzecz terapii chorób rzadkich ORPHAN www.rzadkiechoroby.pl
Zamówienie lub odwołanie darmowej elektronicznej prenumeraty Biuletynu [TUTAJ](#)
03-916 Warszawa, Pasteura 6a/28
Tel/fax: 022 / 617 54 81
email: sekretariat@rzadkiechoroby.pl

