

**UCHWAŁA NR 600/XXXII/2020
RADY MIEJSKIEJ W SOSNOWCU**

z dnia 29 października 2020 r.

w sprawie refundacji terapii genowej lekiem onasemnogen abeparwówek (Zolgensma) w przyczynowym leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni SMA

Na podstawie 18 ust. 1 ustawy z dnia 8 marca 1990 roku o samorządzie gminnym (tj. Dz. U. z 2020 poz. 713) oraz art. 2 ustawy z 11 lipca 2014 roku o petycjach (tj. Dz. U. z 2018 poz. 870)

**Rada Miejska w Sosnowcu
uchwała**

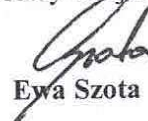
§ 1. Rada Miejska w Sosnowcu wystosowuje petycję do Pana Ministra Zdrowia Adama Niedzielskiego w sprawie refundacji terapii genowej lekiem onasemnogen abeparwówek (Zolgensma) w przyczynowym leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni SMA (Spinal Muscular Atrophy) o treści stanowiącej załącznik do uchwały.

§ 2. Zobowiązuje się Przewodniczącą Rady Miejskiej w Sosnowcu do przekazania niniejszego apelu Marszałkowi Sejmu RP, Marszałkowi Senatu RP, Prezesowi Rady Ministrów RP, Ministrowi Zdrowia, a także miastom województwa śląskiego.

§ 3. Wykonanie uchwały powierza się Przewodniczącej Rady Miejskiej w Sosnowcu.

§ 4. Uchwała wchodzi w życie z dniem podjęcia.

Przewodnicząca Rady Miejskiej w Sosnowcu


Ewa Szota

Załącznik do uchwały Nr 600/XXXII/2020
Rady Miejskiej w Sosnowcu
z dnia 29 października 2020 r.

Rdzeniowy zanik mięśni to rzadkie, genetyczne schorzenie nerwowo-mięśniowe przejawiające się degeneracją neuronów jąder przednich rdzenia kręgowego, co wywołuje postępujące upośledzenie mięśni szkieletowych, w ciężkich przypadkach prowadzącym do śmierci. Ciężka niewydolność oddechowa charakterystyczna dla postaci pierwszej rdzeniowego zaniku mięśni prowadzi do śmierci w ciągu pierwszych kilku-kilkunastu miesięcy życia! Brak impulsów nerwowych prowadzi do uogólnionego osłabienia i postępującego zaniku mięśni szkieletowych, a w ostateczności częściowego albo całkowitego paralizu.

Szacuje się, że obecnie w naszym kraju żyje około 800-1000 chorych na SMA, a co roku rodzi się około 50 dzieci, u których rozpoznaje się SMA, w tym około 30 dzieci z najcięższą postacią choroby. SMA rozwija się wskutek wady genetycznej (mutacji) w genie odpowiedzialnym za kodowanie białka SMN (survival of motor neuron), czyli białka przeżycia neuronów ruchowych. Choroba dotyka osoby w różnym wieku, jednak w ponad 90% przypadków objawy pojawiają się w niemowlęctwie albo wczesnym dzieciństwie. SMA nie ma wpływu na rozwój poznawczy i intelekt!

Od 1 stycznia 2019 r. Ministerstwo Zdrowia wprowadziło pełną refundację leku nusinersen (Spinraza), dzięki czemu wszyscy polscy pacjenci uzyskali bezpłatny dostęp do tego bardzo drogiego leku. SMA, jest niestety najczęstszą genetyczną przyczyną śmierci dzieci do drugiego roku życia! Koszt rocznej terapii to ok. 540 tys. euro w pierwszym roku i 270 tys. euro w kolejnych latach.

W dniu 19 maja 2020 r. warunkowo dopuszczano w Unii Europejskiej, a wcześniej w Stanach Zjednoczonych Ameryki, Izraelu, Japonii nowy lek - określany mianem przełomu w przyczynowym leczeniu SMA, a także „najdroższym lekiem świata” (koszt 1 opakowania to ok. 2 mln euro!, lek podaje się tylko jeden raz). Jest to onasemnogen abeparwovek (Zolgensma), który podany jednorazowo wg badań klinicznych, w ciągu kilku dni od podania przywraca maksymalny poziom wyżej opisanego białka SMN, niezbędnego do funkcjonowania neuronów motorycznych. Lek może być stosowany u chorych o wadze ciała do 13,5 kg i mających kliniczne rozpoznanie postaci pierwszej SMA. Należy podkreślić, że nie jest to „terapia zastępująca gen” i nie naprawia wady genetycznej, a korzystne zmiany wywołane przez lek nie są dziedziczne. Jednakowoż ten lek oparty na wirusie powoduje, że w organizmie tworzy się trwała odporność (dlatego podawany jest tylko raz). Lek jest szczególnie przydatny do leczenia nowo diagnozowanych niemowląt i dzieci o krótkim przebiegu choroby, na etapie, kiedy utrata neuronów postępuje najszybciej. Wiadomym jest, że leczenie w SMA jest tym skuteczniejsze, im szybciej zostanie rozpoczęte (zanim rozpocznie się śmierć neuronów i utrata funkcji przez mięśnie). Terapia wprowadzona przed wystąpieniem pierwszych objawów choroby, np. w krótkim czasie po urodzeniu, jest w stanie całkowicie zapobiec wystąpieniu objawów.

Ostatni wyrok Trybunału Konstytucyjnego wywołał ogromny bunt społeczny. Jednocześnie zaczęła się dyskusja jakie możliwości otrzymują rodzice dzieci chorych, czy są odpowiednio wyposażeni by codziennie prowadzić nierówną walkę z chorobą, która zaatakowała ich ukochane dziecko. Mając świadomość, że praktycznie żadnych rodziców nie stać na wydanie 9 milionów złotych na terapię genową, a SMA jest jedną z najstraszniejszych chorób niemowlęcych zasadnym się wydaje finansowanie tej terapii z budżetu Państwa, zwłaszcza że globalnie nie jest ona droższą od leku nusinersen (Spinraza), a przynosi lepsze efekty.

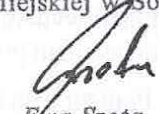
Obecnie w Polsce rodzice 22 dzieci próbują sami przy pomocy organizacji pozarządowych, religijnych i ludzi dobrej woli zebrać astronomiczne dla nich kwoty na leczenie swoich dzieci, kilkoro z nich ogromnym wysiłkiem udało się zebrać już kilka milionów złotych!!! Wsparcie tych rodzin w dzisiejszej sytuacji wydają się nam być wręcz obowiązkiem Państwa Polskiego. Dzieci, które dostaną lekarstwo przed skończeniem pół roku mogą nawet całkowicie wrócić do zdrowia! Liczy się CZAS!

Poniżej lista dzieci:

W związku z powyższym zwracamy się z prośbą o znalezienie środków w budżecie na zrealizowanie leczenia SMA nowym lekiem, tj. onasemnogene abeparwówek (Zolgensma) ww. listy dzieci oraz i wpisanie onasemnogene abeparwówek (Zolgensma) do refundacji tych 30 przypadków w skali roku.

Mimo, że Zolgensma jest określany „najdroższym lekiem świata”, w refundacji może dojść do bardzo wielu nieocenionych korzyści w wielu wymiarach. Wczesne rozpoznanie i leczenie (dzieci do 2. roku życia lub do 13,5 kg wagi ciała), a nawet całkowite wyleczenie - to nie tylko kapitalny aspekt etyczny każdego chorego dziecka i szczęście jego rodziców, ale także wspaniały kontekst społeczny oraz *per saldo* korzystny wymiar ekonomiczny. Wszak, to brak późniejszego inwalidztwa lub jego minimalizacja, to możliwość zarobkowania rodziców dziecka, to mniejsze obciążenie łóżek szpitalnych (w tym OIOM-u, podłączenia do respiratorów, mniejsze obciążenia rehabilitacji szpitalnej i ambulatoryjnej). Wreszcie - to w konsekwencji mniejsze świadczenia społeczne, opiekuńcze, zaopatrzenia w sprzęt inwalidzki, itd. Tym bardziej, że i tak te wszystkie przypadki są objęte refundacją leku równie dobrego i nowoczesnego, jakim jest nusinersen. Istnieje również realna szansa, że gdy dołączymy do większej grupy Państw Unii Europejskiej refundującej ten lek cena jego się zmniejszy lub Komisja Europejska będzie partycypować w kosztach. Warto nadmienić, że w tym roku zapytanie w tej sprawie zadał lekarz, Poseł Prawa i Sprawiedliwości Czesław Hoc. W tej kwestii w pełni zgadzamy się z Panem Posłem

PRZEWODNICZĄCA
Rady Miejskiej w Sosnowcu


Ewa Szota