



24.02.2021

Szanowny Pan
Minister Zdrowia
Dr Adam Niedzielski

Szanowny Panie Ministrze,

Z dużym optymizmem i nadzieją jak Polskie Towarzystwo Neurologów Dziecięcych przyjęliśmy informację nt. pozytywnej oceny Komisji Przejrzystości oraz prezesa AOTMiT w tak ważnym dla nas Klinikistów i środowiska SMA temacie, jakim jest wprowadzenie wczesnej diagnostyki SMA w ramach przesiewu noworodków w Polsce.

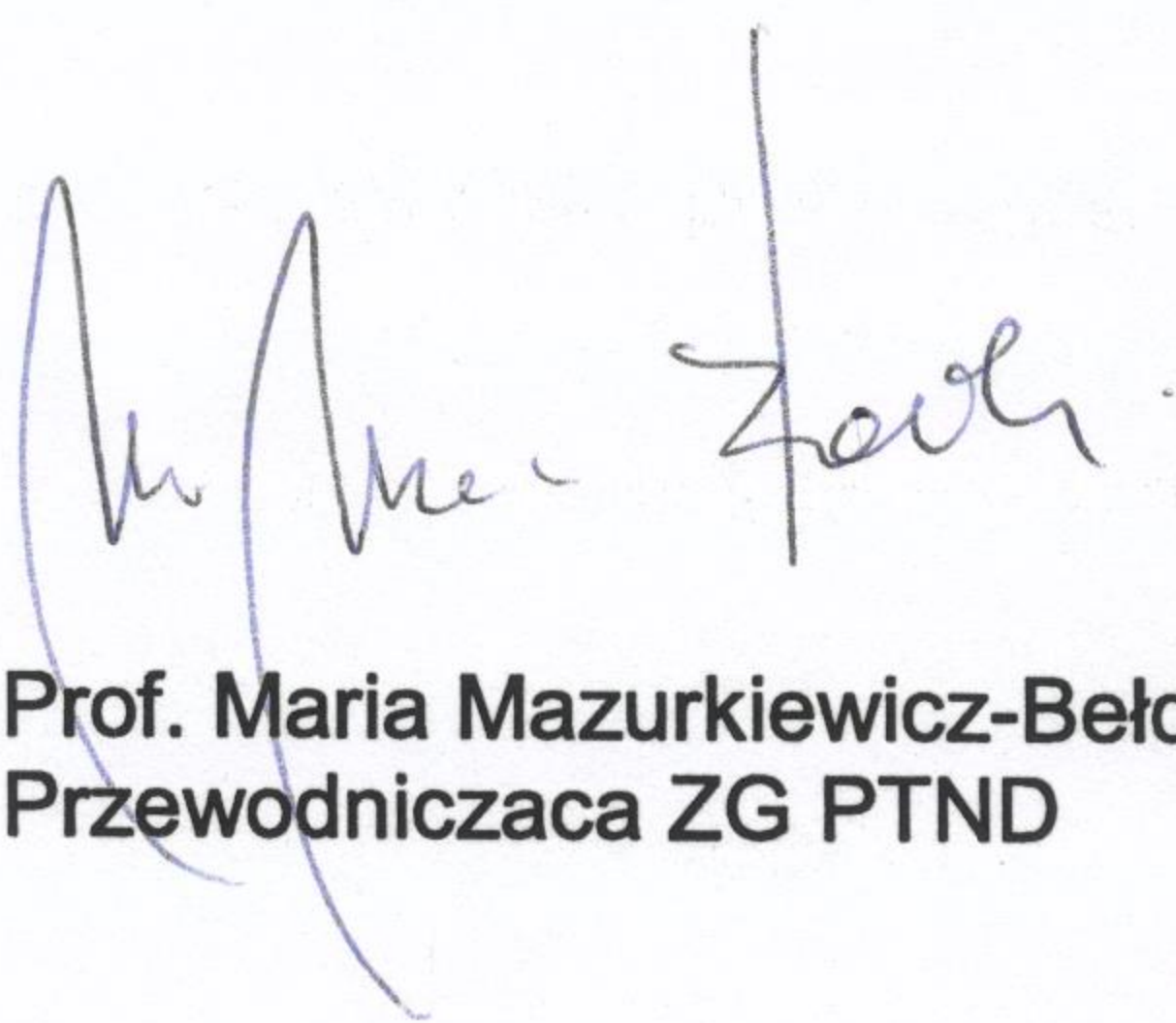
Zarówno dane z badań klinicznych, rejestrów, jak i polskie doświadczenia, wskazują na możliwości osiągnięcia znacznie lepszych wyników leczenia u pacjentów na najwcześniejszych etapach choroby. Szczególnie w przypadku ostrych postaci SMA, jeżeli terapie modyfikujące zostaną włączone przed wystąpieniem objawów.

Życie pacjentów cierpiących na SMA w Polsce w ostatnich kilku latach ulega istotnej zmianie. Dzięki pozytywnej decyzji Ministerstwa Zdrowia o kontynuacji leczenia w ramach programu lekowego, pacjenci mają dostęp do leczenia zmieniającego naturalny przebieg choroby. Jako środowisko medyczne zwracamy się z prośbą o ujęcie terapii genowej w wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności w ramach funduszu medycznego.

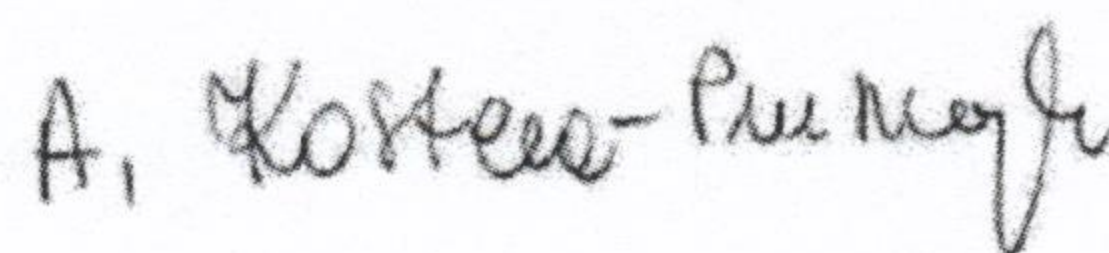
W chwili obecnej sytuacja terapii genowej w Polsce jest nieuregulowana. Wskazujemy na istotę zapewnienia pacjentom chorującym na SMA dostępu do terapii genowej oraz wypracowania miejsca terapii genowej w praktyce klinicznej, w warunkach istniejącego i przyszłego programu lekowego. Chcielibyśmy zwrócić uwagę na konieczność stworzenia mechanizmów umożliwiających długoterminową ocenę bezpieczeństwa i skuteczności wysoce innowacyjnej technologii stosowanej raz w życiu.

Biorąc powyższe pod uwagę, deklarujemy naszą ciągłą gotowość do spotkań, w celu omówienia optymalnej ścieżki wdrożenia programu przesiewowego noworodków w kierunku SMA, jak i dostępu do terapii genowej w ramach Funduszu Medycznego.

Z wyrazami szacunku



Prof. Maria Mazurkiewicz-Beldzińska
Przewodnicząca ZG PTND



Prof. Anna Kostera-Pruszczyk
Wiceprzewodnicząca ZG PTND

Gdańsk, Warszawa, 24.02.2021 r