



FUNDACJA
MUKOBOHATEROWIE



Leszno, 13 lutego 2025 roku

Pan **Marek Kos**

Podsekretarz Stanu w Ministerstwie Zdrowia

Pan **Marek Macyszyn**

Dyrektor Generalny

Vertex Pharmaceuticals (Poland)

LIST OTWARTY

Szanowny Panie Ministrze, Szanowny Panie Dyrektorze,

jako organizacje działające na rzecz chorych na mukowiscydozę chcielibyśmy przedstawić wspólny, jednogłośny apel o porozumienie dotyczące ceny leków Kaftrio i Kalydeco dla kolejnych polskich pacjentów. Ufamy, że zgodnie z wielokrotnie składanym zapewnieniem ze strony Pana Dyrektora, firma Vertex Pharmaceuticals wykaże się elastycznością i stanie się to podstawą do osiągnięcia kompromisu. Liczymy także na to, że Pan Minister będzie dalej wykazywał się troską o polskich chorych na mukowiscydozę. Wierzymy, że to wszystko da podstawę do rozszerzenia kryteriów kwalifikacji dla programu lekowego, obowiązującego od marca 2022 roku.

Konsekwencje wdrożenia programu B.112 dla części polskich pacjentów od 2022 roku mówią same za siebie. W latach poprzedzających rozpoczęcie powszechnego leczenia modulatorami CFTR nie było miesięcy, kiedy nie doświadczyliśmy śmierci pacjentów lub nie słyszeliśmy o przeszczepieniach płuc, będących przecież kosztowną i obciążoną poważnymi konsekwencjami operacją ratującą życie. To się zmieniło.

Prosimy Pana Ministra, jak i Pana Dyrektora, aby w swoich działaniach wzięli pod uwagę długotrwałe oczekiwanie grupy kilkuset pacjentów. Są to zarówno osoby nieco starsze – nastolatki lub dorośli (często będący już w ciężkim stanie zdrowia), jak i młodsze dzieci, których rodzice widzą stopniowe wyniszczanie i nieodwracalne zmiany w organizmach. Mamy nadzieję, że kwiecień 2025 roku

podobnie jak marzec 2022 roku stanie się kolejnym przełomowym momentem dla chorych na mukowiscydozę w Polsce.

Pierwszy wniosek refundacyjny, który dał podstawy do finansowania modulatorów CFTR ze środków publicznych, opierał się wyłącznie na decyzji dopuszczającej leki na rynek europejski z 2020 roku. Później, w dniu 21 kwietnia 2021 roku, a **zatem prawie 4 lata temu**, kolejni europejscy chorzy na mukowiscydozę otrzymali możliwość ratowania ich zdrowia i życia modulatorami CFTR. Komisja Europejska podjęła wówczas decyzję o dopuszczeniu innowacyjnej terapii lekami Kaftrio i Kalydeco, potwierdzając jej skuteczność i bezpieczeństwo dla następnych pacjentów. Ta decyzja dotyczyła populacji chorych, którzy mieli **rzadsze mutacje genu CFTR**, odpowiadającego za wystąpienie tej ciężkiej, rzadkiej choroby. Następne badania kliniczne i decyzje EMA potwierdziły istotność leczenia najpierw dla pacjentów w wieku **od 6 do 11 roku życia**, a później także **od 2 roku życia**.

Aktualnie rozpatrywany wniosek refundacyjny odpowiada zatem już trzem kolejnym dopuszczeniem leków na rynek europejski i uzupełniłby program lekowy do standardów europejskich. Ufamy, że ostatecznie dojdzie do porozumienia cenowego i refundacji produktów leczniczych zgodnie ze złożonym wnioskiem, tj. w sposób tożsamy z rejestracją terapii w UE.

Wojciech Szymański

Prezes Fundacji
Mukobohaterowie

Kamil Żach

Przedstawiciel ruchu
2000 powodów

Przemysław Marszałek

Sekretarz MukoKoalicji

W skład MukoKoalicji wchodzi: Matio Fundacja Pomocy Rodzinom i Chorym na Mukowiscydozę, Polskie Towarzystwo Walki z Mukowiscydożą, Polskie Towarzystwo Walki z Mukowiscydożą Oddział w Gdańsku, MukoHelp Fundacja Pomocy Chorym na Mukowiscydozę, Fundacja Podaruj Oddech.



Polskie Towarzystwo
Walki z Mukowiscydożą
Oddychaj.pl



Polskie Towarzystwo
Walki z Mukowiscydożą
Oddział w Gdańsku

