

Warszawa, 24 lutego 2022 r.

Vertex Pharmaceuticals (Poland) Sp. z o.o.  
Ludwika Waryńskiego 3a,  
00-645 Warszawa

**Fundacja Mukobohaterowie**

ul. Mariana Seredyńskiego 18/380-753 Gdańsk  
e-mail: [fundacja@mukobohaterowie.org](mailto:fundacja@mukobohaterowie.org)

Szanowni Państwo,

bardzo dziękujemy za miłe słowa. Niezwykle cieszy nas, że wspólnie z Ministerstwem Zdrowia udało nam się wypracować rozwiązanie, które umożliwi kwalifikującym się do leczenia pacjentom z mukowiscydozą szeroki dostęp do naszych leków: iwakaftor/tezakaftor/eleksakaftor w schemacie leczenia skojarzonego z iwakaftorem, lumakaftor/iwakaftor i tezakaftor/iwakaftor w schemacie leczenia skojarzonego z iwakaftorem. Decyzja ta stanowi przełom dla całej społeczności chorych na mukowiscydozę w Polsce, dlatego ogromnie doceniamy ukierunkowane na współdziałanie zaangażowanie wszystkich osób biorących udział w podjęciu tej decyzji, w tym również środowiska pacjentów, które od wielu miesięcy podkreślało w debacie publicznej pilne potrzeby chorych na mukowiscydozę w Polsce.

Cieszy nas również nieustanny rozwój środowiska pacjentów. Gratulujemy powołania Państwa fundacji i wierzymy, że Państwa działalność pomoże wzmacniać budowanie świadomości nt. mukowiscydozy w Polsce, jak również rozwijać holistyczną opieką nad pacjentami z mukowiscydozą. Państwa rola jest nieoceniona.

Będą świadomym jak dużym przełomem dla pacjentów z mukowiscydozą w Polsce jest wydana w ostatnich dniach pozytywna decyzja refundacyjna, dokładamy wszelkich starań, aby informacje nt. stosowania naszych terapii, wskazań do leczenia w zależności od grupy wiekowej czy rodzaju mutacji genu CFTR były dobrze znane lekarzom specjalizującym się w leczeniu pacjentów z mukowiscydozą.

Z uwagi, że lista mutacji genu CFTR jest otwarta, dynamicznie się zmienia oraz chcąc mieć pewność dostarczania najbardziej aktualnych danych w tym zakresie, uprzejmie prosimy o bezpośredni kontakt pacjentów z lekarzami, którzy w oparciu o bieżący kontakt z nami, mogą udzielić pacjentom wszelkich niezbędnych informacji dotyczących stosowania terapii Vertex w zależności od typu mutacji czy grupy wiekowej pacjenta.

Z naszej strony deklarujemy pełną otwartość i pomoc lekarzom w dostarczeniu niezbędnych, najbardziej aktualnych informacji dotyczących rodzaju mutacji genu CFTR, wskazań do stosowania terapii Vertex objętych refundacją, dbając jednocześnie o to, by każdy kwalifikujący się do leczenia pacjent miał możliwość bycia włączonym do leczenia.

Zdając sobie sprawę, że wchodząca w życie od 1 marca decyzja refundacyjna dotycząca terapii Vertex, nie obejmuje wszystkich grup pacjentów i wciąż są chorzy, którzy czekają na dostępność do refundacji leczenia, intensywnie pracujemy nad przygotowaniem stosownej dokumentacji niezbędnej do złożenia wniosku refundacyjnego o objęcie finansowaniem z budżetu państwa terapii iwakافتor/tezakافتor/eleksakافتor w schemacie leczenia skojarzonego z iwakافتorem. Nowy wniosek będzie obejmował wskazania zarejestrowane przez Komisję Europejską w oparciu o decyzje:

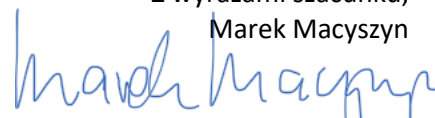
- wydaną w dniu 11 stycznia 2022 r. dotyczącą leczenia dzieci z mukowiscydozą w wieku od 6 do 11 lat, u których występuje co najmniej jedna mutacja F508del w genie regulatora przewodnictwa transmembranowego mukowiscydozy (CFTR),
- wydaną w dniu 28 kwietnia 2021 r. dotyczącą leczenia pacjentów z mukowiscydozą w wieku 12 lat i starszych z co najmniej jedną mutacją F508del w genie CFTR

Cieszymy się, że osoby kwalifikujące się do terapii w ramach programu lekowego obowiązującego od 1 marca 2022 r. będą mogły skorzystać z leczenia nakierowanego na wadliwe białko, które jest przyczyną ich choroby. Jednak stawiamy sobie za cel, aby nasze leki były dostępne dla jak największej liczby pacjentów.

Jeszcze raz dziękujemy za Państwa zaangażowanie i szerzenie świadomości nt. mukowiscydozy oraz wsparcie pacjentów w ich codziennych zmaganiach z chorobą. Pozostajemy w kontakcie i jesteśmy otwarci na dalszy dialog z Państwem.

Z wyrazami szacunku,

Marek Macyszyn



Dyrektor Generalny

Vertex Pharmaceuticals (Poland)