



Polskie Towarzystwo Stwardnienia Rozsianego

Ul. Nowolipki 2a
00-160 Warszawa

Tel.: +22 24 39 86
Fax. +22 354 60 21

KRS: 000 008 33 56
REGON: 006237795
NIP: 526 16 73 344
biuro@ptsr.org.pl
www.ptsr.org.pl

Numer rachunku bankowego: 37 1440 1390 0000 0000 1568 3902

Warszawa, 19 stycznia 2022r.

Dr Roman Topór-Mądry

Prezes Agencji Oceny Technologii
Medycznych i Taryfikacji

Szanowny Panie Prezesie,

Polskie Towarzystwo Stwardnienia Rozsianego aktywnie działa na rzecz osób chorujących na neuromyelitis optica spectrum disorder (NMOSD), które przez wiele lat funkcjonowało jako wariant stwardnienia rozsianego. NMOSD to rzadka, przewlekła i wyniszczająca autoimmunologiczna choroba OUN. W Polsce, zgodnie z szacunkami klinicystów, zmagają się z nią ok. 400 pacjentów. U ok. 250 z nich występują przeciwciała przeciw akwaporynie 4 (AQP4+). Ta grupa pacjentów jest najsilniej narażona na wystąpienie wyniszczających i potencjalnie śmiertelnych rzutów choroby, wywołujących kumulującą się niesprawność. Z uwagi na podobny do stwardnienia rozsianego obraz kliniczny, NMOSD często bywa początkowo mylnie diagnozowane, a kiedy diagnoza zostanie wreszcie trafnie postawiona następuje długi okres oczekiwania na leczenie. Aż 65% pacjentów nie otrzymuje żadnego leczenia po otrzymaniu diagnozy.

W związku ze zbliżającym się terminem publikacji projektu wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności, zwracamy się do Pana Prezesa z prośbą o pochylenie się nad potrzebami pacjentów z NMOSD. Z nadzieją przyjęliśmy informację o wdrożeniu nowego mechanizmu finansowania terapii ze środków publicznych – poprzez Fundusz Medyczny – który ma na celu zapewnienie dostępu do innowacyjnych technologii lekowych dla pacjentów, dla których obecnie nie ma skutecznej opcji terapeutycznej.

Osoby z NMOSD stanowią właśnie taką grupę pacjentów, z myślą o których tworzony był Fundusz Medyczny. Zmagają się z chorobą rzadką, której leczenie nie jest przewidziane w ramach publicznego systemu ochrony zdrowia. Do ich leczenia w Polsce stosuje się terapie *off-label* o nieudowodnionej na tej grupie pacjentów skuteczności i gorszym profilu bezpieczeństwa. Szansą dla nich jest udostępnienie terapii satralizumabem, zapewniającej skuteczną ochronę przed rzutami i progresją choroby przy zachowaniu korzystnego profilu bezpieczeństwa. Zgodnie z danymi otrzymanymi z dwóch wieloośrodkowych badań



Polskie Towarzystwo Stwardnienia Rozsianego

Ul. Nowolipki 2a
00-160 Warszawa

Tel.: +22 24 39 86
Fax. +22 354 60 21

KRS: 000 008 33 56
REGON: 006237795
NIP: 526 16 73 344
biuro@ptsr.org.pl
www.ptsr.org.pl

Numer rachunku bankowego: 37 1440 1390 0000 0000 1568 3902

klinicznych, satralizumab zapewnia większą ochronę przed rzutami i wynikającą z nich niesprawnością niż stosowana obecnie monoterapia IST.

NMOSD dotyka najczęściej młodych pacjentów. Dla osób w tym wieku niezwykle ważnym jest zachowanie pełnej sprawności oraz nieprzerwane prowadzenie życia zawodowego, rodzinnego i społecznego. Każde zmniejszenie ryzyka wystąpienia kolejnego rzutu, każde oddalenie w czasie postępującej niesprawności jest niezwykle cenne.

PTSR z uwagą przygląda się realizacji zapisów ustawy o Funduszu Medycznym. Zdajemy sobie sprawę z trudności związanych z oceną oraz porównaniem wielu noworejestrowanych terapii. Biorąc pod uwagę brak skutecznej i bezpiecznej opcji leczenia pacjentów z NMOSD, liczymy, że projekt wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności będzie uwzględniał potrzeby tej grupy chorych.

W razie potrzeby pozostajemy do Pańskiej dyspozycji.

Z wyrazami szacunku,

Tomasz Poć
Przewodniczący
Polskiego Towarzystwa
Stwardnienia Rozsianego