

Honorowa Nagroda Zaufania „Złoty OTIS 2010” dla Polskiego Towarzystwa Chorób Nerwowo-Mięśniowych



W Polsce rodzi się rocznie około 58 chłopców chorych na dystrofię mięśniową Duchenne’a i około 40 dzieci obu płci chorych na rdzeniowy zanik mięśni. Wymagają one kompleksowej opieki i często skoordynowanej pomocy lekarzy różnych specjalności, takich jak: neurolog, ortopeda, kardiolog, anestezjolog, pulmonolog. Niestety w Polsce nie mają zapewnionej takiej opieki.

Dystrofia mięśniowa Duchenne’a i rdzeniowy zanik mięśni (SMA) to jedne z chorób nerwowo-mięśniowych. Do tej grupy zalicza się też miastenie, miopatie, polineuropatie, stwardnienie zanikowe boczne, zapalenia nerwów

obwodowych, zapalenie mięśni. Wspólną cechą wielu z tych chorób jest postępujący zanik mięśni, w efekcie którego dochodzi do osłabienia siły mięśni i trudności w poruszaniu się. U osób z ciężką postacią dystrofii mięśniowej, SMA i niektórych innych chorób nerwowo-mięśniowych pojawia się też powolne osłabienie mięśni decydujących o podstawowych czynnościach życiowych: oddychaniu, połykaniu.

Nie wiadomo dokładnie, ile osób w Polsce choruje. W jedynej w naszym kraju Poradni Chorób Mięśni działającej przy Centralnym Szpitalu Klinicznym Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego zarejestrowanych jest około 18 tys. osób cierpiących na choroby nerwowo-mięśniowe. Ta liczba jest jednak zaniżona. Na podstawie obliczeń porównawczych z krajami zachodnimi można oszacować, że choroby nerwowo-mięśniowe ma nawet 50 tysięcy osób.

– Nie ma w tej chwili leczenia przyczynowego dystrofii mięśniowej i SMA, czyli możliwości naprawienia genu powodującego pojawienie się choroby czy odtworzenia wytwarzania białka, którego brakuje w mięśniu w związku z defektem genu – mówi dr Anna Kostera-Pruszyk z Katedry i Kliniki Neurologii Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego. – Podstawową metodą leczenia jest rehabilitacja, która utrzymuje mięśnie w dobrym stanie. Jeśli choroba wejdzie w zaawansowaną, ostrą fazę, konieczne jest wspomaganie oddychania i odżywiania, co przedłuża pacjentowi życie.

Choroby nerwowo-mięśniowe nie są w Polsce uznawane za przewlekłe. Z tego powodu pacjenci nie mają zapewnionej systematycznej refundowanej rehabilitacji. W ich przypadku rehabilitacja jest lekiem przedłużającym życie. Powinna być prowadzona w sposób ciągły.

– Rodzic może iść do lekarza pierwszego kontaktu, prosząc o skierowanie na rehabilitację i dostanie ją na tydzień lub dwa. Część małych dzieci podlega pod centra wczesnej interwencji neurologicznej, ale gdy kończą trzy lata, ta pomoc się kończy. Rodzice muszą sami opłacać rehabilitację swoich dzieci, ale przecież na dłuższą metę to niemożliwe, bo jedno z nich nie może pracować, gdyż musi opiekować się chorym dzieckiem, a godzina rehabilitacji to około 50 zł – mówi Katarzyna Kozłowska, szefowa Polskiego Towarzystwa Chorób Nerwowo-Mięśniowych. – Brakuje systemu kompleksowej opieki. Nie ma też ośrodków, w których chorzy (zarówno dzieci, jak i dorośli) mogliby uzyskać kompleksową pomoc neurologa, rehabilitanta-fizjoterapeuty, ortopedy. Postęp choroby, osłabienie stanu mięśni jest nieuniknione. Można go jednak spowolnić. –Rehabilitacja nie postawi na nogi kogoś, kto przestał chodzić, ale może spowodować, że będzie samodzielnie jadł jeszcze przez kilka lat. Albo nie usiądzie na wózek w wieku lat siedmiu, tylko trzynastu. A przez te pięć lat możemy liczyć na to, że dzięki postępowi medycyny pojawią się nowe leki. Dlatego powinniśmy starać się, by utrzymać nasze dzieci jak najdłużej w jak najlepszym stanie – dodaje Katarzyna Kozłowska.

Od wielu lat o taką pomoc dla dzieci i dorosłych dotkniętych chorobą stara się Polskie Towarzystwo Chorób Nerwowo-Mięśniowych. Stowarzyszenie istnieje od 1988 roku, jest organizacją pożytku publicznego. Skupia osoby dotknięte chorobami nerwowo-mięśniowymi, ich rodziny, lekarzy i rehabilitantów oraz szerokie grono osób czujących potrzebę niesienia pomocy ludziom dotkniętym chorobami mięśni. Starają się uzyskać dotacje na rehabilitację dzieci z programów PFRON, organizują szkolenia dla rehabilitantów.

– W zaawansowanych stadiach dystrofii Duchenne'a lub rdzeniowego zaniku mięśni dzieci nie mają siły odkrztusić wydzieliny zalegającej w drzewie oskrzelowym. W przypadku infekcji może dojść do zapalenia płuc, które dla naszych dzieci może mieć skutek śmiertelny – opowiada Katarzyna Kozłowska. – Dlatego jako stowarzyszenie kupiliśmy dwa koflatory, które nasilają odruch kaszlu i pomagają odkrztusić wydzielinę – dodaje. Ten sprzęt ratujący życie nie jest w żaden sposób refundowany przez Narodowy Fundusz Zdrowia. Kosztuje 24-26 tysięcy zł, rodziców nie stać na jego zakup.

Na świecie są prowadzone badania kliniczne nad nowymi lekami na choroby nerwowo-mięśniowe. Niestety w Polsce prowadzi się bardzo mało takich badań.

– Główną przeszkodą jest niesprawiedliwa polityka prowadzona przez NFZ wobec tej grupy pacjentów. Od lat nie możemy uczestniczyć w międzynarodowych badaniach nad leczeniem SLA, gdyż Polska jest jedynym krajem w UE, w którym pacjenci muszą sami płacić (i to dość sporo!) za lek o nazwie Rilutek. W nowych badaniach jest on zawsze stosowany jako tzw. aktywne placebo. A przecież pacjent nie może sam płacić za udział w badaniu klinicznym – oburza się prof. dr hab. med. Hubert Kwieciński, kierownik Kliniki Neurologii WUM. – Pacjenci nie mogą uczestniczyć w międzynarodowych badaniach nowych leków. Nie są bowiem u nas refundowane te leki, które w innych krajach od dawna stosuje się jako standardowe.

Dwa miesiące temu na naszym wortalu nazdrowie.pl zamieściliśmy petycję dotyczącą wpisania chorób nerwowo-mięśniowych: rdzeniowego zaniku mięśni i dystrofii mięśniowej Duchenne’a do wykazu chorób przewlekłych. Zwróciliśmy się do wszystkich ludzi dobrej woli o poparcie naszych starań. Pod listem otwartym podpisało się ponad 10 tys. osób. Zostanie on przekazany minister zdrowia Ewie Kopacz.