

Věc: Otevřený dopis předsedovi vlády České republiky

Vážený pane předsedo vlády,

Obracíme se na Vás v zastoupení zapsaného spolku SMÁci, z.s., patientské organizace osob s nemocí SMA.

Těší nás Váš zájem o vzácné onemocnění, jakým je Spinální svalová atrofie, kterou zmiňujete ve Vašem nedělním "Čau lidi" videu*. Považujeme za nezbytné správně informovat o aktuálním stavu této problematiky. Abychom „u nás doma měli co nejlepší péči“, nestačí pouze dát nejnovější lék několika vybraným dětem.

Péče o pacienta s SMA je komplexní a zasahuje do všech oblastí – od zdravotní, přes sociální, až po ekonomickou. Proto chceme poukázat na několik závažných nedostatků, které nejen rodiny s SMA ale všeobecně pacienti a rodiny se vzácnými onemocněními řeší:

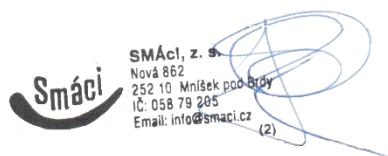
- **Dospělí pacienti**, kterých je v ČR zhruba 70, nejsou - až na dvě výjimky – léčeni. Lék (Spinraza) na SMA tu je od roku 2017. V zahraničí jsou dospělí pacienti léčeni od tohoto data. U nás však musí dospělý pacient nadále čekat, až umře bez léčby! Již to budou tři roky, co se o léčbu pro všechny pacienty snažíme a pořád všichni pacienti léčeni nejsou. Léčba dospělých pacientů se rozbíhá velmi pomalu.
- **Ustanovení národní sítě vysoce specializovaných center pro vzácná onemocnění**, která jsou napojena na Evropské referenční sítě pro vzácná onemocnění (ERN). Již několik let probíhají na ministerstvu zdravotnictví diskuse na toto téma. Nicméně stav je stále neuspokojivý; chybí koordinace této iniciativy, její legislativní rámec a jasný systém financování v rámci poskytovatelů zdravotní péče. Chybí jednotné standardy péče na těchto pracovištích, které by prakticky přenášely znalosti a metody z jednoho centra do druhého. Existuje sice pilotní projekt ministerstva zdravotnictví pro tuto centrovou péči, nicméně této iniciativě chybí odpovědné vedení a kvalitní koordinace.
- **Zavedení novorozeneckého screeningu (NS) na SMA** je klíčové pro včasné odhalení onemocnění, potažmo pro jeho léčbu. I sebelepší a drahé léčivo bude mít jenom omezený efekt, bude-li podáno až symptomaticky, tedy poté, co se nemoc projeví. V tom momentě už totiž došlo ke škodám, které jsou z velké části nevratné. Když se nám povede onemocnění odhalit v jeho zárodku, výrazně minimalizujeme škody, jakožto i náklady na následnou léčbu. Zařaďme se po bok dalších států Evropy a začněme léčit děti s SMA ještě před příznaky tohoto závažného onemocnění!

Chceme Vás požádat o:

1. Urychlení faktické léčby SMA pacientů všech věkových skupin
2. Dosažení funkčního zprovoznění specializovaných center, dostupných všem pacientům
3. Zavedení novorozeneckého screeningu na onemocnění SMA

S pozdravem a přáním všeho dobrého,
jménem členů patientské organizace a Výboru
Ing. Václav Hradilek
Předseda PO

* Video "[Čau lidi. Pomůžeme Maxíkovi!](#)" ze dne 26.4.2020



SMÁci, z. s.
Nová 862
252 10 Mníšek pod Brdy
IČ: 058 79 205
Email: info@smaci.cz (2)