

2. Uwagi do analizy weryfikacyjnej AOTMiT

Numer* (rozdziału, tabeli, wykresu, strony)	Uwagi
	<p>Od ponad roku działam społecznie wraz z małą grupą rodziców dzieci chorych na mukowiscydozę, na rzecz ruchu 2000 Powodów, nieformalnej organizacji, której celem jest walka o refundację leków przyczynowych oraz zwiększanie świadomości nt. możliwości leczenia przyczynowego mukowiscydozy. Spektakularne rezultaty leczenia terapią KAFTRIO® (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) nie pozwalają przejść obojętnie obok tej życiowej szansy zarówno dla naszych dzieci (dzięki trwającym właśnie badaniom klinicznym młodszej grupy wiekowej dzieci poniżej 12 roku życia) jak i dla grupy nastoletniej oraz dorosłych pacjentów.</p> <p>Jako mama dziecka chorującego na mukowiscydozę bacznie obserwuję m.in. w mediach społecznościowych relacje pacjentów z całego świata nt. wpływu terapii lekiem, który jest wielką nadzieją na relatywnie długie życie oraz znaczą poprawę jego jakości dla ok. 90% chorych na mukowiscydozę pacjentów. Od kilku miesięcy, dzięki nadludzkim wysiłkom kilkorga polskich pacjentów, którzy uruchomili zbiórki środków finansowych aby móc zakupić we własnym zakresie terapię Kaftrio (ponad 1,2 miliona złotych rocznie), dosłownie ratując tym swoje życie, mogę być również świadkiem jej dobroczynnego działania wśród osób mi znanych. Wszystkie te doniesienia potwierdzają, że nie bez przyczyny Magazyn Science uznał Kaftrio za jeden z najważniejszych przełomów naukowych. Poprawa stanu odżywienia, wzrost wydolności płuc, przywrócenie funkcjonowania społecznego, zawodowego, możliwości edukacji oraz posiadania dzieci – to tylko kilka z wielu ważnych aspektów, dzięki którym możemy mówić o tej terapii jako o przełomie na który czekaliśmy od momentu narodzin naszych dzieci. Zdmuchując co roku świeczki na ich tortach urodzinowych z przerażeniem w sercach zastanawialiśmy się jak niewiele ich jeszcze zostało do zdmuchnięcia, gdyż w Polsce mediana zgonu wynosi 24 lata. Leki przyczynowe, a zwłaszcza Kaftrio, pozwalają spoglądać z nadzieją w przyszłość. Być może nie będziemy musieli emigrować z kraju, pozostawiając dorobek naszych lat, aby zabezpieczyć dzieciom lepszą przyszłość.</p> <p>Liczę, że ten olbrzymi nakład pracy włożony przez Państwa w przygotowanie opinii w znacznym stopniu przyczyni się do podjęcia pozytywnej decyzji refundacyjnej, dając młodym ludziom szansę na dorosłe życie.</p>

* Umożliwiający identyfikację fragmentu analizy, do którego odnoszą się wniesione uwagi; nie dotyczy w przypadku uwag ogólnych.