



Országgyűlési képviselő

Iromány száma: **K/17551.**

Benyújtás dátuma: **2021-11-12 12:54**

Parlex azonosító: **E23OZVM80001**

Címzett: **Kövér László, az Országgyűlés elnöke**

Benyújtó: **Jakab Péter (Jobbik)**

Tisztelt Elnök Úr!

Az Alaptörvény 7. cikk (1)-(2) bekezdése, valamint az Országgyűlésről szóló 2012. évi XXXVI. törvény 42. § (8) bekezdése alapján írásbeli választ igénylő kérdést kívánok benyújtani

Az írásbeli választ igénylő kérdés címzettje: **Dr. Kásler Miklós, emberi erőforrások minisztere**

Az írásbeli választ igénylő kérdés címe: **"Mekaphatja-e az ötéves gyermek a Zolgensma kezeléshez szükséges állami támogatást?"**

Tisztelt Miniszter úr!

Egy ötéves gyermek szülei írtak Önnek levelet, amelyben pozitív döntést kérnek a gerinc eredetű izomsorvadásban szenvedő gyermeküknek egy fontos, de drága kezelés állami támogatásához. Miközben az idő sürget, választ a család nem kapott Öntől.

Miután részemre törvényi kötelezettsége megadni a választ, ezért most én is elküldöm Önnek a család levelét:

"Tisztelt Prof. Doktor Kásler Miklós Úr!

Először is szeretnék bemutatkozni. Hornischer Anikó vagyok, egy SMA 1-es kis beteg, Galó Tamás Dominik édesanyja. Egy 4 éves 10 hónapos, cserfes, életvidám kisfiúé, akinek a jövőéről Önök fogják meghozni a döntést, amikor elbírálják a Zolgensma kérvényünket.

Mielőtt döntést hoznának, szeretnénk, ha meglátnák a számok között, mögött, magát a gyermeket is. Szeretnénk, ha tudnák, min ment keresztül eddigi kis életén és szeretnénk, ha megértenék, miért is szeretnénk, ha mekaphatná a génterápiát.

Szeretném leszögezni, hogy tudjuk, hogy nem csodaszer, tudjuk, hogy nem fog tőle holnap járni, de azt is tudjuk, hogy az élet olyan területén lehetne számára hatásos, ami bizonyosan hatalmas javulást jelentene az életminőségében, ez pedig a nyelés, a rendes táplálkozás.

A mi kisfiunkról már kétszer lemondtak. Mindkét eset hatalmas nyomot hagyott bennünk, és tudtuk, hogy nekünk kell küzdeni az életéért, mert ő igenis élni akar!

Fél éves kora előtt vettük észre a jeleket, tudtuk, hogy valami nincs rendben. Akkor mondtak le róla először. Ekkor mi még nem is hallottunk az SMA-ról. A neurológus Pader-Willi szindrómával diagnosztizálta és onnan kezdve, hogy értelmileg visszamaradott lesz, nem kaptunk semmi tanácsot, csak hogy fejlesszük. Természetesen ezt el is kezdtük, de végig hittem, hittük, hogy ez nem igaz. Láttam az okos csillogást a szemében, tudtuk, hogy itt nincs vége, nem ez a végleges diagnózis.

Tíz hónapon keresztül hordtuk orvosról, orvosra, mire megkaptuk a végzetes diagnózist SMA 1-es beteg. Ekkor mondtak le róla másodszor. Egy szót nem hallottunk a Spinrazarol, a külföldi lehetőségekről. Csak arról, hogy ha nem bírjuk elviselni a terhet, adjuk őt Hospice házba és próbálkozzunk újra...

Mi nem adtuk fel, mert ilyet egy szülő nem tehet és Isten velünk volt! Rátaláltunk Belgiumban, Liegben egy gyógyszerkísérleti programra és az utolsó utáni pillanatban be is kerültünk. Tomika ott kapta meg az első négy adag Spinrazat. Ekkor volt 16 hónapos és SMA 1-es típushoz képest hihetetlenül erős, mert élni akart. Az akkor 16 hónapos kisfiunk, minden statisztikát, számot meghazudtolva önállóan vette a levegőt és nem volt szüksége szondára az étkezéshez. Felülírt mindent, amit az orvostudomány addig az SMA1-es betegeknek jósolt.

Még nagyobb szerencsénkre, amikor már kint nem kaphatta a Spinrazat, itthon épp befogadták a gyógyszert és az 5. kezelést már Budapesten kapta, ezért örökké hálásak leszünk.

Ő az a kisfiú, aki az első adag előtt, már csak a kezeit és a lábait mozgatta, ma pedig már túl 14 dózis után hihetetlen eredményeket mutat. Minden területen, kivéve a nyelést. És pont ezért kérvényeztük a váltást. Ő az a kisfiú, aki már az állást gyakorolja a gyógytornászával, az állítóban 2-3 órát áll és úgy közlekedik a lakásban, stabilan ül, és egyedül lefekszik ülésből. Ő az a kisfiú, akiről megmondták, hogy sosem fog tudni beszélni, hisz egy SMA 1-es beteg nem tud, ma pedig megszámlálhatatlan logopédia órán túl, folyamatosan beszél, be sem áll a kis szája, mint az egészséges kortársainak, viszont rengetegszer félrenyel. Minden étkezésnél rettegünk, hogy félrenyel-e, hogy fel tudja-e köhögni, hogy ha egyedül nem megy, mi időben tudunk-e rajta segíteni, vagy itt a vége. Darabosan étkezik, hisz igénye van rá, kell a fogainak, az ínyének, hogy gyakorolja a rágást, de a Spinraza ezen a területen már nem segít, hisz 14 injekció után is toporgunk e-téren. A mai napig fekvve iszik cumisüvegből, mert ülve nem tud.

Ez az a pont, ahol váltani szeretnénk, dacára a Spinraza eredményeinek minden más téren, mert a Zolgensmáról bizonyított, hogy átjut a véragyagáton és ezáltal jobban hat a nyelést szabályzó agyidegekre. Mindig azon az állásponton voltunk, hogy inkább álljon 1-2 évvel később, de a nyelés, lélegzetvétel biztonságos legyen, mert az elengedhetetlen az élethez.

Számtalanszor hallottuk ellenérvnek, hogy nincs rá még hivatalos összefoglaló. Tudjuk, hogy nem is lesz 1-2 éven belül, mert kevés a gyermek. Tudjuk, hogy ezt a korcsoportot egy éve kezdték oltani Németországban és mostanában Olaszországban. Viszont Tomikának nincs ideje megvárni a hivatalos adatokat, mint ahogy a Spinrazanal sem volt. Hiába látjuk pár év múlva, hogy igenis hatásos, neki már késő lesz. Ő most 16 kg és 4 éves 10 hónapos. Ezt a 16 kg-ot pedig kemény diétával, megtartóztatással tudjuk kordában tartani, egy ideig, hisz nem éhezethetjük, mert azzal az

ellenkező eredményt váltanánk ki. Hiszen az izmainak szüksége van a megfelelő tápanyagra.

Viszont látjuk a kezelt családokon, hogy igenis van eredmény, csak még nincs publikálva.

Amióta kijött ez első publikáció a génterápiáról, azóta követjük. Tudjuk, érezzük, hogy ez a mi utunk. Elolvassuk minden publikációt és keressük a lehetőségeket, hogy bekerüljünk bárhol a világon egy kísérleti programba. Amikor a Strong programot leállították egy világ dőlt össze bennünk. Amikor az Európai Gyógyszerügyi Bizottság 21-kg-ban állapította meg a határt, a világ újra kinyílt előttünk. Az elmúlt pár hónapot azzal töltöttem, hogy begyűjtöttem a világ összes orvosának az elérhetőségét, aki oltott idősebb és nagyobb súllyal rendelkező gyerekeket és elküldtem a neurológusunknak. Azt a választ kaptam, hogy én, mint anya nem vehetem fel a kapcsolatot, hisz orvosi eredményeket úgysem kaphatnék, de megnyugtató, hogy a NEAK felveszi a kapcsolatot Németországgal hivatalosan.

Kérjük, adja meg az esélyt Tomikának, a minél teljesebb élethez, mert már ő négy éve nap, mint nap felnőtteket meghazudtoló akarattal küzd a gyógytornákon, fejlesztéseken, zokszó nélkül túri a korzettet, az állítót, megtanult kerekesszéssel és a Tommy runnal közlekedni, megtanult beszélni, pedig akkor még orvosilag esélyt sem adtak neki.

Kérjük, ne Ön legyen a harmadik személy, aki nem adja meg az esélyt és lemond róla, kérjük, hagy kaphassa meg a mi kisfiunk is Zolgensma kezelést!

Tisztelettel: Galó Tamás Dominik, Hornischer Anikó és Galó Tamás"

Kérdezem Tisztelt Miniszter Urat, számíthat-e a család pozitív elbírálásra, megkaphatja-e az ötéves gyermek az említett Zolgensma kezeléshez szükséges állami támogatást?

Miután a kezelés megkezdéséhez szükséges idő vészesen fogy, kérem, hogy a választ mielőbb - nem megvárva a 11 napos határidőt - elküldeni szíveskedjen. Bízom a pozitív elbírálásban, és az ennek megfelelő pozitív válaszadásban.