

**Председатель Всеукраинской общественной организации
«Объединение инвалидов – больных болезнью Гоше»**

Елена Мартыненко

Болезнь Гоше в Украине: лечение, проблемы

Болезнь Гоше – одна из наиболее распространенных генетических лизосомных болезней накопления.

Основным методом лечения является ферментозаместительная терапия. С 1994 года для ферментозаместительной терапии используют имиглюцеразу (Церезим). Церезим имеет показания для использования в качестве **пожизненной** ферментозаместительной терапии у пациентов с болезнью Гоше 1 и 3 Типа. В Украине препарат Церезим зарегистрирован и разрешен к применению с 2003 года.

Лечение болезни Гоше в Украине – В ноябре 2002 года была создана и зарегистрирована в Министерстве юстиции Украины Всеукраинская общественная организация «Объединение инвалидов – больных болезнью Гоше», которая заняла активную позицию в украинском обществе для защиты прав своих членов. В состав вошли первичные организации 14 областей Украины и АР Крым. Членами организации являются пациенты с болезнью Гоше их родители, родственники. На сегодня организация насчитывает более 60 членов.

Основная задача организации – защита одной из социально незащищенных категорий – пациентов-инвалидов с болезнью Гоше, их родителей и родственников путем объединения интересов и усилий, привлечение общественного внимания к проблемам таких пациентов, оказание помощи больным, а также информирование их о современных возможностях лечения и реабилитации.

С 2003 года Организация является членом Европейского Гоше Альянса, который объединяет организации пациентов 35 стран.

Благодаря усилию и настойчивости членов Организации в декабре 2004 года Кабинетом Министров Украины было выдано распоряжение «О финансировании медикаментозного обеспечения детей с болезнью Гоше», в январе 2006 года Министерство здравоохранения обеспечило финансирование лечения 5 детей.

На сегодняшний день в Украине зарегистрировано 52 пациента с болезнью Гоше (19 детей и 33 взрослых). 5 детей получают лечение по бюджетной программе медикаментозного обеспечения (КПКВ 2301400). 20

пациентов (16 взрослых и 4 детей) получают гуманитарное лечение благодаря компании «Джензайм». До 2013 года бюджетное финансирование составляло 5,3 млн.грн., что было недостаточно для лечения всех детей. В 2013 году бюджетное финансирование увеличено до 15,3 млн.грн., что даст возможность всем детям получать лечение.

Действующие нормативные акты, регламентирующие предоставление медицинской помощи за средства государственного бюджета Украины, предназначены только детям, то есть пациентам до 18 лет. В Украине нет законодательной базы о редких заболеваниях. И если такая законодательная база не будет притята, то постепенно дети перейдут в категорию взрослых пациентов и останутся без лечения. Так двое пациентов, Долгова Ирина и Борщевская Екатерина, которым в 2009 году исполнилось 18 лет, были исключены из программы государственного финансирования, и на сегодняшний день не имеют лечения.

Однако проблема лечения остаётся достаточно острой, 17 взрослых пациентов в возрасте от 27 до 70 лет не получают лечения. Согласно ст.49 раздела 2 Конституции Украины каждый гражданин Украины имеет право на медицинскую помощь.

Еще одна проблема, с которой сталкиваются пациенты, это ежегодное подтверждение инвалидности. Все пациенты имеют статус инвалида с момента постановки диагноза болезнь Гоше и находятся на инвалидности более 10 лет. При этом должны ежегодно подтверждать инвалидность. В редких случаях группу дают на 2 года. Для подтверждения инвалидности, чтобы не было перерыва, необходимо пройти определенное медицинское обследование, поэтому через каждые 10 месяцев, пациент должен посещать лечебное учреждение, а это создает определенные трудности. В некоторых областях врачи медико-социальных экспертных комиссий некорректно относятся к пациентам. Они считают, если пациент приходит на двух ногах и может работать, то инвалидность ему не положена и с их слов, дарят группу на 1год.

Я хочу обратиться к представителям Министерства охраны здоровья, органов государственной власти обратить особое внимание вопросам совершенствования законодательной базы, диагностики, лечения, социальной защиты больных с болезнью Гоше и другими редкими заболеваниями.