

# Zespół Koordynacyjny ds. leczenia chorych z dystrofią mięśniową Duchenne'a

Przewodnicząca Zespołu  
Prof dr hab. med.  
Anna Kostera-Pruszczyk

Zastępca Przewodniczącej  
Dr hab. med.  
Maria Jędrzejowska

Sekretarz  
Prof dr hab. med.  
Barbara Steinborn

Członkowie Zespołu  
Dr hab. med.  
Sławomir Kroczyk

Prof. dr hab. med.  
Ewa Emich-Widera

## Sprawozdanie z posiedzenia Zespołu w dn. 10.10.2024r

Prowadząca zebranie: Przewodnicząca Zespołu — prof. dr hab. n. med. Anna Kostera-Pruszczyk

Obecni Członkowie Zespołu: Dr hab. med. Maria Jędrzejowska, prof. dr hab. med. Sławomir Kroczyk


Zaproszeni goście: Pani Iwona Rogalska NFZ, Pani Katarzyna Ochnio – sekretariat Zespołu

1. Na wstępie prof. Anna Kostera-Pruszczyk powitała zebranych, potwierdziła kworum dla podjęcia decyzji Zespołu.

2. W drugiej części posiedzenia przystąpiono do kwalifikacji chorych do leczenia. Rozpatrzono łącznie 6 wniosków. Czterech pacjentów zakwalifikowano do leczenia bez uwag. U jednego chłopca przyczyną odmowy kwalifikacji była mutacja niemożliwa do korygowania lekiem wnioskowanym. U pacjentki z mutacją nonsensowną genu DMD opis kliniczny i niski poziome CK wskazuje jedynie na stan nosicielstwa dystrofinopatii, a nie na DMD. Po dyskusji z członkami Zespołu podjęto jednogłośnie decyzję o odmowie kwalifikacji do leczenia atalurenem.

3. Pani Iwona Rogalska poinformowała o uzupełnieniu w systemie SMPT pozwalającym na potwierdzenie w kolejnych punktach kontrolnych, że pacjent chodzi samodzielnie, a więc spełnia kryterium kontynuacji leczenia.

3. Termin kolejnego spotkania zostanie ustalony w trybie obiegowym, kiedy wpłyną kolejne wnioski.

KIEROWNIK  
Klinika Neurologii  
Centralny Szpital Kliniczny UCK WUM  
  
prof. dr hab. n. med. Anna Kostera-Pruszczyk