

Tom Philipp: Nové možnosti léčby Friedreichovy ataxie a naděje na lepší terapii

6.3.2025 - | KDU-ČSL

Friedreichova ataxie je neurodegenerativní onemocnění, které se obvykle objevuje již v dětství či dospívání. Postupně dochází k poruše koordinace pohybů (ataxií), ztrátě rovnováhy, svalové slabosti, poruchám řeči (dysartrii), srdečním komplikacím a dalším zdravotním obtížím. Onemocnění je progresivní a v pozdějších stádiích může vést k plné ztrátě schopnosti chůze a dalším omezením. V současnosti neexistuje kauzální léčba, nicméně vědecký pokrok přináší nové naděje.

Společným cílem je rychlejší diagnostika a lepší dostupnost léčby

V České republice se 18 pacientů léčí inovativním lékem omaveloxolon, který vykazuje slibné výsledky v potlačení progresu onemocnění. Kromě toho probíhá intenzivní výzkum genové terapie a dalších experimentálních přístupů, které by mohly přinést průlom v léčbě této nemoci.

„Friedreichova ataxie je vzácná, ale její dopad na život pacientů je drtivý. Proto musíme spojit síly a zajistit rychlejší diagnostiku i lepší dostupnost inovativní léčby,“ říká poslanec a lékař Tom Philipp (KDU-ČSL), organizátor kulatého stolu v Poslanecké sněmovně PČR. „Máme pacienty, u nichž léčba omaveloxolonem už dnes zpomaluje progresi nemoci. Ale nestačí jen sledovat vývoj – musíme aktivně prosazovat, aby se nové terapie dostaly k lidem včas. Čím dříve jednáme, tím více pacientů udržíme v pohybu a zachráníme jim kvalitní život,“ dodává.

„Jménem naší Pacientské organizace FRIEDA jsme moc rádi, že jsme se mohli účastnit kulatého stolu a tím učinit další krok k rozšíření povědomí o FRIEDA ve společnosti. Zároveň věříme, že se k našim pacientům dostanou co nejdříve nové inovativní léky a terapie. Doufáme, že také společně zefektivníme proces vstupu nových léků v rámci České republiky,“ sdílí svůj pohled Vladimír Houška, zakladatel a manager FRIEDA.

Naše společné úsilí se bude nadále soustředit na:

- 1. Zlepšení diagnostiky** – časnější rozpoznání nemoci může zpomalit progresi.
- 2. Dostupnost inovativní léčby** – podpora schvalování moderních terapií.
- 3. Podpora výzkumu** – investice do genové terapie a dalších nadějných postupů.

Odborné a pacientské příspěvky

Na kulatém stole vystoupili jak odborníci, tak pacienti a jejich rodiny.

- **Doc. Martin Vyhnálek z Neurologické kliniky 2. LF UK a FN Motol** přiblížil klinické aspekty Friedreichovy ataxie, současné terapeutické možnosti i výzvy, kterým čelí lékaři i pacienti.
- **Rodina Houškových, zakladatelé organizace Frieda**, představili její poslání – propojovat pacienty, poskytovat podporu rodinám a přinášet nejnovější informace o léčbě a výzkumu.
- **Slečna Ruth**, mladá **pacientka** s Friedreichovou ataxií, otevřeně sdílela svůj každodenní boj s

nemocí, stejně jako své naděje do budoucna.

<https://www.kdu.cz/aktualne/zpravy/tom-philipp-nove-moznosti-lechy-friedreichovy-atax>