



Medyczna Racja Stanu

Honorowy Patronat Ks. Kardynała Kazimierza Nycza

Wartości w Medycynie Czego uczy nas światowy kryzys zdrowia Debata online 25 września 2020 r.

Zdrowie, Ile cię trzeba cenić, ten tylko się dowie, Kto cię stracił. (Adam Mickiewicz, Pan Tadeusz)

Zdrowie jest stanem dobrego samopoczucia zarówno fizycznego, psychicznego, jak i społecznego. To zdolność do pełnienia ról społecznych, adaptacji do zmian środowiska oraz radzenia sobie z tymi zmianami. Zdrowie jest nie tylko celem samym w sobie, lecz także środkiem pozwalającym na wykorzystanie swojego osobistego potencjału oraz poprawy jakości życia. Jest wartością, dzięki której jednostka lub grupa społeczna może realizować swoje aspiracje, zaspokajać potrzebę osiągnięcia satysfakcji, zmieniać otaczające środowisko oraz umiejętnie sobie z nim radzić (WHO). Pandemia COVID-19 pokazała nam, jak ogromny wpływ na wartość Zdrowia mają takie zjawiska jak: globalizacja, solidaryzm społeczny, czy poczucie odpowiedzialności jednostek.

W Polsce, każdy obywatel ma prawo do ochrony zdrowia i niezależnie od sytuacji materialnej powinien mieć dostęp do świadczeń opieki zdrowotnej finansowanej ze środków publicznych (Konstytucja RP, Art.68). Wartości, które Polacy uważają za najważniejsze w swoim życiu to szczęście rodzinne i zdrowie (CBOS). Z Narodowego Testu Zdrowia Polaków, przeprowadzonego wśród ponad 400 tys. osób, wynika, że tylko ok. 13 % obywateli naszego kraju regularnie dba o swoje zdrowie. Najwyższy skok w trosce o swoje zdrowie zauważalny jest u osób po 55. roku życia. Widać również zróżnicowanie ze względu na takie czynniki jak: płeć, miejsce zamieszkania i wykształcenie (Medonet).

Ochrona zdrowia jest coraz bardziej kosztowna, a budżet na zdrowie ograniczony, należy więc dążyć do takich rozwiązań, które optymalizują efekty zdrowotne (wyleczenie, złagodzenie

przebiegu choroby, zapobieganie powikłaniom choroby). Model ochrony zdrowia nakierowany na wartość (ang. Value Based Healthcare, VBHC) mierzy i wybiera działania przynoszące największe efekty zdrowotne (wyniki) za racjonalne koszty, z uwzględnieniem jakości i satysfakcji pacjenta.

W modelu opieki zdrowotnej nakierowanym na wartość, najważniejsze są efekty leczenia (wyniki), a nie ilość wykonanych procedur medycznych (Porter). Model płacenia za wynik powinien być wdrażany na każdym poziomie ścieżki diagnostyczno-terapeutycznej pacjenta – zarówno w szpitalnictwie, ambulatoryjnej opiece specjalistycznej, jak i podstawowej opiece zdrowotnej (Strategia NFZ 2019-2023).

Bardzo ważne w budowaniu systemu ochrony zdrowia zorientowanego na wartość jest ustalanie priorytetów zdrowotnych. Ze względu na epidemiologię są to choroby: sercowo-naczyniowe, nowotwory, cukrzyca, choroby układu oddechowego, choroby zakaźne i choroby psychiczne. Ze względu na solidaryzm społeczny – choroby rzadkie.

Choroby sercowo-naczyniowe

Dominującą przyczyną zgonów w Polsce są choroby układu krążenia, prawie co drugi zgon jest spowodowany tymi chorobami. W 2017 r. z powodu chorób sercowo-naczyniowych zmarło ok. 167 tys. osób. W wyniku choroby niedokrwiennej serca zmarło ok. 45 tys. osób (w tym na ostry zawał serca zmarło ok. 12 tys.), w wyniku niewydolności serca zmarło ok. 37 tys. osób, udaru mózgu – ok. 31 tys., miażdżycy – ok. 33 tys., nadciśnienia tętniczego – ok. 7 tys. osób. Począwszy od 1992 r. udział chorób układu krążenia w ogólnej liczbie zgonów obniżył się z poziomu 52% do 40% w 2017 r. Niewątpliwym wpływem na obserwowane zmiany ma coraz większa świadomość znaczenia profilaktyki zdrowotnej, dbałość o dobrą kondycję fizyczną oraz zmiana złych nawyków żywieniowych w kierunku diety bogatszej w warzywa i owoce. Bardzo istotny wpływ na spadek natężenia zgonów, których przyczyną są choroby układu krążenia, ma poprawa leczenia choroby niedokrwiennej serca i jej następstw. Bardzo ważne jest wdrożenie Narodowego Programu Chorób Układu Krążenia, którego celem będzie obniżenie śmiertelności z powodu chorób sercowo-naczyniowych. Program ma się składać z kilku elementów, wśród których jest prewencja pierwotna, prewencja wtórna, dostęp do nowoczesnych terapii kardiologicznych, a także skoordynowana opieka nad pacjentem, który powinien mieć wytyczoną jedną, prostą ścieżkę diagnostyczno-terapeutyczną. Narodowy program będzie konsolidował funkcjonujące już programy koordynowanej opieki: KOS-zawał, tromboektomii mechanicznej w leczeniu udaru niedokrwiennej mózgu oraz program KONS – Program Kompleksowej Opieki nad Pacjentami z Niewydolnością Serca.

Tętnicze nadciśnienie płucne (TNP)

Tętnicze nadciśnienie płucne jest chorobą rzadką. Może pojawić się w każdym wieku, ale średni wiek pacjenta to 35 lat. Kobiety chorują dwa razy częściej niż mężczyźni. W Polsce zapada na TNP około 38-70 osób rocznie, a choruje ok. 1 tys. Objawy wskazujące na tętnicze nadciśnienie płucne są często mylone z objawami typowymi dla innych schorzeń sercowo-płucnych. Pierwszym

objawem choroby jest duszność podczas wysiłku fizycznego. Najlepszą metodą rozpoznania choroby w stosunkowo wczesnym jej okresie jest echokardiografia serca. W najbardziej zaawansowanych stadiach TNP, czyli III i IV klasie czynnościowej NYHA, aktywność fizyczna jest mocno ograniczona. Przy progresji choroby, w IV klasie aktywność fizyczna jest już niemożliwa, a niewydolność serca może prowadzić do śmierci pacjenta. Wprowadzenie w ostatnich dwóch dekadach terapii farmakologicznych, znacząco poprawiło rokowanie w tętniczym nadciśnieniu płucnym. Dalej jednak kluczowym problemem w przypadku chorych pozostaje zbyt późne podjęcie optymalnego leczenia. Zgodnie z wytycznymi klinicznymi powinna to być terapia trójlekowa. Tylko 12% pacjentów w Polsce przyjmuje terapię trójlekową, która jest obecnie standardem dla pacjentów z TNP, jeśli zastosowane leczenie dwulekowe nie przynosi poprawy. Pomimo progresywnego charakteru tętniczego nadciśnienia płucnego terapia trójlekowa wpływa znacząco na zmniejszenie kosztów związanych z: zastosowaniem prostacyklin dożylnych i podskórnych, hospitalizacjami wskutek pogorszenia TNP, a także ze stosowaniem inwazyjnych i kosztownych terapii ostatecznych (takich jak: przeszczep płuc, balonowa septosomia przedsiolkowa). Wysoka skuteczność terapii trójlekowej pozwala na poprawę rokowania, a nawet powrót do ról społecznych zarówno pacjentów chorujących na TNP, jak również ich opiekunów.

Środowisko pacjentów i klinicystów oczekuje obecnie na refundację publiczną seleksypagu. Seleksypag jest pierwszym i jedynym lekiem działającym na szlaku prostacykliny, który podawany jest doustnie. Seleksypag skierowany jest dla chorych z TNP w III klasie czynnościowej według WHO. Jest to pacjent z dużym zaawansowaniem choroby i trudnościami w funkcjonowaniu w codziennym życiu oraz u którego nie udało się osiągnąć poprawy rokowania terapią dwulekową. Szczególną korzyść z terapii doustnej odniosą pacjenci z przeciwwskazaniami do terapii pozajelitowej czy podawanej w formie inhalacji. Wcześniejsze zastosowanie terapii trójlekowej z seleksypagiem opóźnia progresję choroby, przez co poprawia rokowanie pacjenta oraz opóźnia w czasie podanie leków drogą parenteralną. Seleksypag ma potwierdzoną skuteczność w terapii trójlekowej w największym w historii chorób rzadkich badaniu klinicznym (1 156 pacjentów) z istotnym klinicznie punktem końcowym potwierdzającym skuteczność w opóźnieniu progresji choroby. Doustna terapia trójlekowa z włączeniem seleksypagu w porównaniu do leków podawanych w iniekcjach poprawia skuteczność, komfort i bezpieczeństwo leczenia – szczególnie w warunkach pandemii koronawirusa. Wprowadzenie seleksypagu do obecnego programu lekowego nie spowoduje wzrostu wydatków NFZ, gdyż wkomponuje się on w stosowane w ramach programu schematy leczenia.

Nowotwory złośliwe

Na choroby nowotworowe zapada rocznie ponad 160 tysięcy Polaków, a ok. 100 tysięcy umiera z ich powodu. W 2017 r. z powodu raka płuca zmarło ok. 23 tys. osób, z powodu raka żołądka – ok. 5 tys. osób, raka jelita grubego i odbytu – ok. 12 tys., raka trzustki - ok. 5 tys. osób, raka piersi – ok. 7 tys., z powodu nowotworów żeńskich narządów płciowych – ok. 7 tys. kobiet, nowotworów układu moczowego – ok. 7 tys., nowotworów mózgu – ok. 3 tys. oraz białaczek –

ok. 3 tys. osób. W Polsce żyje około 1 milion osób, u których zdiagnozowano lub wyleczono nowotwór, a prognozy wskazują, że w ciągu najbliższych 5 lat liczba pacjentów onkologicznych może wzrosnąć o 15%, zaś w perspektywie 10 lat o 28%. Narodowa Strategia Onkologiczna (NSO) to program wieloletni na lata 2020-2030, wprowadzający kompleksowe zmiany w polskiej onkologii. Celem nadrzędnym NSO jest wzrost odsetka osób przeżywających 5 lat od zakończenia terapii onkologicznej, a także zwiększenie wykrywalności nowotworów we wczesnych stadiach oraz poprawa jakości życia w trakcie i po ukończonym leczeniu. Dla pacjenta onkologicznego fundamentalne znaczenie ma dostęp do kompleksowej i koordynowanej opieki medycznej – w tym do technologii medycznych zalecanych przez standardy kliniczne polskich towarzystw naukowych. Należy podkreślić poprawę w dostępie refundacyjnym do nowych terapii onkologicznych, jaka dokonana się w latach 2018-2020.

Rak płuca

Jak wskazują statystyki, 40% pacjentów z rakiem płuca to osoby w wieku produkcyjnym (poniżej 65 roku życia). Co roku z powodu raka płuca umiera ok. 23 tys. chorych, co stanowi ok. 24% wszystkich zgonów w następstwie nowotworów. Liczba zgonów w następstwie raka płuca jest równa łącznej liczbie zgonów z powodu 5 najczęstszych nowotworów, na leczenie których przeznaczona jest najwyższa liczba środków budżetowych państwa. Zalicza się do nich: raka piersi, czerniaka, raka jelita grubego, szpiczaka mnogiego oraz raka nerki. Łącznie na ich leczenie w ramach programów lekowych NFZ w 2020 r. ma przeznaczyć ok. 1,4 mld PLN. Tymczasem na program lekowy raka płuca w 2020 r. NFZ planuje przeznaczyć 6 razy mniej, czyli ok. 240 mln PLN. Tylko ok. 3-4 tysiące pacjentów z rakiem płuca jest rocznie leczonych w ramach programu lekowego, co odpowiada zaledwie 15-17% rocznej liczby zachorowań. To w najlepszy sposób obrazuje ogromną potrzebę dodania nowych innowacyjnych cząsteczek, a co za tym idzie wzrostu finansowania w ramach tego programu lekowego.

Większość pacjentów z rakiem płuca w Polsce diagnozowana jest w zaawansowanym IV stadium choroby. Do tej pory dla tych pacjentów możliwe było jedynie leczenie paliatywne, ale od jakiegoś czasu dostępne są także innowacyjne leki, umożliwiające znaczne wydłużenie życia. W ich przypadku podstawą leczenia nadal jest tylko i wyłącznie chemioterapia. Od lat 70. XX w. do 2012 roku, wskaźnik 5-letnich przeżyć w przypadku raka płuca wzrósł z poziomu 12% do zaledwie 19%. 80% chorych z rakiem płuca to pacjenci w IV stadium zaawansowania choroby. Choć Ministerstwo Zdrowia stara się refundować nowe cząsteczki stosowane w terapii raka płuca, to ze względu na ograniczony zakres refundacji, leczeniem objęto wyłącznie bardzo wąskie grupy pacjentów (pacjentów z obecnymi mutacjami EGFR czy ALK stanowiących zaledwie do 15% wszystkich chorych w tym stadium). Występują znaczne nierówności w zakresie dostępu do innowacyjnych rozwiązań terapeutycznych pomiędzy I a II linią leczenia u chorych z IV stadium zaawansowania raka płuca. W przypadku II linii leczenia wszyscy pacjenci mają dostęp do przynajmniej jednej innowacyjnej terapii (immunoterapii). W przypadku I linii ok. 66% chorych (6-7 tys. z 11 tys.) nadal pozbawionych jest dostępu do immunoterapii (innowacyjnego rozwiązania terapeutycznego). Refundacja immunochemii w I linii zapewni dostęp do innowacyjnej terapii dla nawet 3,5 tys. chorych z rakiem płuca, obecnie całkowicie pozbawionych dostępu do

nowoczesnych terapii lekowych. Nowa opcja terapeutyczna – pembrolizumab w połączeniu z chemioterapią w ramach I linii leczenia - może wydłużyć średnią medianę przeżycia o dodatkowe 12 miesięcy. Terapia pembrolizumabem w połączeniu z chemioterapią jest finansowana z budżetu płatnika publicznego już w 25 krajów europejskich, a od 1 sierpnia 2020 r., zarówno typ niepłaskonabłonkowy jak i płaskonabłonkowy niedrobnokomórkowego raka płuca został objęty refundacją w Republice Czeskiej oraz w Grecji. W ostatnich decyzjach refundacyjnych Ministra Zdrowia we wrześniu 2020 r. w raku płuca refundacją został objęty nivolumab - dla pacjentów w II linii leczenia niedrobnokomórkowego raka płuca o typie niepłaskonabłonkowym, jednak należy pamiętać, że zaledwie 30-40% dożywa II linii leczenia. W wielu obszarach terapeutycznych leczenie I linii jest znacznie skuteczniejsze niż terapia w ramach kolejnych linii leczenia.

Rak nerki

Rak nerkowokomórkowy jest nowotworem złośliwym wywodzącym się w większości przypadków z nabłonka cewek krętych bliższych, rzadko z innych struktur nerki. Jest trzecim pod względem zachorowalności nowotworem złośliwym układu narządów moczowo-płciowych. Odsetek przeżyć 5-letnich wśród chorych z rakiem nerkowokomórkowym wyniósł w Polsce 53,8% (badanie EURO CARE-4). Leki nowej generacji znacząco poprawiły rokowanie chorych z rakiem nerki. Jednak obserwowana toksyczność związana z daną terapią wymusza kontynuację prac nad identyfikacją nowych leków o wyższej specyficzności, powodujących mniej działań niepożądanych. Dlatego też istnieje potrzeba refundacji pozostałych leków zawartych w standardach klinicznych. Potrzebne są znaczące zmiany opisu programu lekowego w raku nerki i objęcie finansowaniem nowych terapii. Obecnie finansowane ze środków publicznych w Polsce są: aksytynib, kabozantynib, ewerolimus, niwolumab, pazopanib, sorafenib, sunitynib, temsyrolimus. Dostępność poszczególnych leków jest ograniczona przez kryteria włączenia do obowiązującego programu lekowego „Leczenie raka nerki (ICD-10 C64).” Minister Zdrowia zrefundował w terapii raka nerki w latach 2012-2020 dwa nowe leki: niwolumab oraz cabozantinibum. Leki te zostały objęte refundacją od 01.05.2018 r. w ramach istniejącego już programu lekowego „Leczenie raka nerki (ICD-10 C 64)”, jako kolejne opcje terapeutyczne.

25 marca 2020 r. Prezes AOTMiT wydał pozytywną rekomendację w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego: Tiwozanib w ramach programu lekowego: „Leczenie raka nerki (ICD-10: C.64)” pod warunkiem pogłębienia instrumentu dzielenia ryzyka. Zarejestrowane wskazanie dla tiwozanibu to leczenie pierwszego rzutu u pacjentów dorosłych z zaawansowanym rakiem nerkowokomórkowym oraz u pacjentów dorosłych bez wcześniejszej inhibicji szlaku VEGFR i mTOR z dalszą progresją choroby po jednej wcześniejszej terapii zaawansowanego raka nerkowokomórkowego z zastosowaniem cytokiny. Wskazanie refundacyjne jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. Wnioskowane w procesie refundacyjnym wskazanie dla tiwozanibu w I linii leczenia jest takie samo, jak dla sunitynib i pazopanib finansowanych w ramach programu lekowego u chorych z korzystnym i pośrednim rokowaniem. W oparciu o wyniki dostępnych badań oryginalnych oraz metaanaliz sieciowych tiwozanib należy uznać za opcję terapeutyczną równorzędną pod względem skuteczności klinicznej wobec dostępnych w ramach istniejącego

programu lekowego technologii medycznych, takich jak sunitynib i pazopanib, stosowanych w I linii leczenia w grupie chorych z korzystnym rokowaniem. W odróżnieniu od wymienionych powyżej inhibitorów kinazy tyrozynowej, tiwozanib charakteryzuje się korzystniejszym od nich profilem bezpieczeństwa rozumianym jako mniejszy odsetek działań niepożądanych i lepsza tolerancja leczenia, co przekłada się na poprawę jakości życia grupy chorych leczonych tiwozanibem i uproszczone zarządzanie leczeniem. Mniejszy odsetek chorych doświadcza przerw w leczeniu, redukcji dawki czy dyskontynuacji leczenia wymaganych w celu złagodzenia skutków ubocznych. Przy wyborze leku należy uwzględnić stan kliniczny pacjenta oraz perspektywę kolejnych linii leczenia. Pacjenci z progresją wymagają stosowania następnych linii leczenia, zatem mając perspektywę kolejnych terapii pojawia się potrzeba stosowania leków nie tylko skutecznych, ale też i najbezpieczniejszych, a taką opcją może być tiwozanib. Tiwozanib stanowi zatem ważną alternatywną opcję terapeutyczną w leczeniu I linii terapii celowanej pacjentów z rakiem nerkowokomórkowym, z uwagi na wysoką skuteczność kliniczną i korzystny profil bezpieczeństwa, mogący zmniejszyć uciążliwość terapii dla pacjentów. Największą korzyść z leczenia tiwozanibem mogą odnieść chorzy z zaawansowanym i przerzutowym rakiem nerki, po wykonanej nefrektomii, dobrze rokujący, w szczególności z grupy, wobec której decyzja o włączeniu leczenia lekiem z grupy TKI ulega początkowemu odroczeniu.

Przewlekła białaczka limfocytowa (PBL)

Przewlekła białaczka limfocytowa jest wolno postępującym nowotworem krwi, powstającym w wyniku mutacji komórki jednego rodzaju limfocytów, zwanych limfocytami B. Jest to najczęściej występująca postać białaczki, która odpowiada za około 1/3 nowych rozpoznań. W Polsce umiera o 20 % więcej chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową (PBL) niż w innych krajach Europy. Choroba ta może mieć różny przebieg, uznaje się że około 30% pacjentów powinno być leczonych od momentu jej rozpoznania. W przypadku pacjentów, u których istnieją wskazania do rozpoczęcia terapii, wyniki leczenia I linii są w większości przypadków korzystne. Stosuje się u nich tzw. immunochemioterapię w połączeniu z chemioterapią. W najtrudniejszej sytuacji są jednak chorzy z agresywną postacią choroby oraz postacią nawrotową i lekooporną, którzy nie mają delecji 17p, ani mutacji TP53. W 2019 r. zrefundowano wenetoklaks dla pacjentów z przewlekłą białaczką limfocytową bez mutacji TP53 lub delecji 17p. Pacjenci bez zaburzeń genetycznych z przeciwwskazaniami do wenetoklaksu lub po terapii wenetoklaksem nie mają obecnie możliwości leczenia optymalną terapią, taką jak ibrutynib. Ibrutynib jest lekiem o przełomowej skuteczności, a także jest lekiem bezpiecznym, rekomendowanym do stosowania w terapii przewlekłej białaczki limfocytowej przez światowe, europejskie i polskie wytyczne kliniczne. Skuteczność ibrutynibu została potwierdzona w wyjątkowo długich obserwacjach klinicznych (do 7 lat badanie RESONATE), co wyróżnia ibrutynib na tle pozostałych nowych opcji terapeutycznych. Terapia ibrutynibem gwarantuje przewidywalny w czasie, długotrwały efekt terapeutyczny (czas do progresji choroby – PFS wynosi 44,1 miesiąca. Eksperti zagranicznych i polskich towarzystw naukowych (Europejskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej – ESMO, Europejskiego Stowarzyszenia Hematologicznego – EHA, Amerykańskiego Towarzystwa Hematologicznego – ASH, Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów – PHiT,

Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej) w dobie trwającej pandemii COVID-19 wskazują na konieczność dostosowania prowadzonej terapii w taki sposób, aby ograniczyć liczbę wizyt w szpitalach. Według ekspertów ograniczeniu wizyt szpitalnych sprzyja stosowanie terapii doustnych. Terapia ibrutynibem to jedyna, w pełni doustna terapia w PBL, która ogranicza konieczność częstych wizyt pacjenta w szpitalu i tym samym zwiększa bezpieczeństwo pacjenta w dobie trwającej pandemii COVID-19.

Chłoniaki rozlane z dużych komórek B (DLBCL)

Chłoniaki to choroby nowotworowe wywodzące się z komórek tkanki chłonnej, charakteryzujące się klonalnym rozrostem komórek limfoidalnych odpowiadających różnym stadiom zróżnicowania prawidłowych limfocytów B, T lub naturalnych komórek cytotoksycznych. Chłoniaki rozlane z dużych komórek B (DLBCL) to grupa nowotworów układu chłonnego wywodząca się z dojrzałych, obwodowych limfocytów B. Jest to najczęściej występująca grupa chłoniaków spośród wszystkich nowotworów układu chłonnego (ok. 35%), w tym chłoniaków agresywnych (ok. 80%). Chłoniaki rozlane z dużych komórek B (DLBCL) należą do chłoniaków agresywnych — przeżycie chorych bez skutecznego leczenia wynosi od kilku do kilkunastu miesięcy. Początek choroby zwykle obejmuje pojedynczy region węzłowy lub pozawęzłowy, ale taka zmiana nieleczona szybko szerzy się drogą naczyń krwionośnych i limfatycznych do odległych węzłów chłonnych i innych narządów. Standardem postępowania u większości chorych na DLBCL jest zastosowanie immunochemioterapii, lub alternatywnej chemioterapii. Immunochemioterapia pozwala u większości pacjentów (ok. 65%) uzyskać całkowitą remisję choroby. Niestety, chorzy z pierwotną opornością na ten schemat leczenia, lub ci u których wystąpił nawrót choroby mają złe rokowania. W takim przypadku najczęściej stosuje się wysokodawkową chemioterapię z przeszczepieniem autologicznych komórek macierzystych (auto-HSCT). Losy pacjentów w III i kolejnej linii leczenia, analizowane były w badaniu SCHOLAR-1. Wyniki wskazują, że uzyskanie obiektywnej odpowiedzi jest możliwe jedynie u 26% z tych pacjentów, a całkowitą remisję uzyskano tylko u 7% z nich. Mediana całkowitego przeżycia wynosi w tej populacji 6,3 miesiąca. Z uwagi na bardzo złe rokowanie tej grupy chorych, koniecznym wydaje się zaproponowanie innego leczenia ratunkowego. Takim leczeniem ratunkowym i jednocześnie nową nadzieją na zdrowie jest procedura CAR-T, polegająca na pobraniu od pacjenta jego własnych limfocytów T, które są następnie genetycznie modyfikowane w warunkach *ex vivo* metodą transdukcji retrowirusowej w celu uzyskania ekspresji chimerowego receptora antygenowego (ang. chimeric antigen receptor, CAR). Limfocyty CAR-T anty-CD19 są następnie namnażane i z powrotem wprowadzane za pomocą infuzji do organizmu pacjenta, gdzie mogą rozpoznawać i eliminować komórki docelowe prezentujące antygen CD19, znajdujący się między innymi na komórkach chłoniaka. Skuteczność terapii CAR-T jest niewspółmiernie wyższa, niż dotychczas stosowane leczenie. To szansa dla chorych, którzy stracili już nadzieję. Pierwsi polscy pacjenci uzyskali już możliwość leczenia tą innowacyjną metodą na przełomie 2019 i 2020 roku, a wyniki ich leczenia są bardzo dobre. Terapie te udostępnione zostały przez jedną z dwóch firm, które do tej pory zarejestrowały leczenie. Technologia CAR-T wciąż jednak nie jest finansowana w ramach koszyka świadczeń gwarantowanych, a więc

w Polsce pacjenci wciąż nie mają do niej dostępu. Polska należy dziś obok Słowacji do ostatnich krajów Unii Europejskiej, w których CAR-T nie jest finansowane. Standardowe podejście wskazywałoby na refundację w ramach programu lekowego, jednak specyfika technologii CAR-T, jak choćby jej sposób wytwarzania oparty na materiale biologicznym pacjenta, oraz inne aspekty powodują wątpliwości. CAR-T diametralnie zmienia podejście do postępowania z pacjentem, zamiast cyklicznego leczenia, mamy do czynienia z pojedynczą procedurą (jeden 30-minutowy wlew). Aby jednak sprostać wymogom zarówno szpital, jak i zatrudniony w nim personel medyczny musi spełniać ściśle określone warunki, a to wymaga edukacji i stałego podnoszenia kwalifikacji - tego aspektu nie zabezpieczy standardowy program lekowy. Z myślą o zaspokojeniu wskazanej potrzeby, a w szczególności mając na względzie możliwość niesienia pomocy oczekującym pacjentom, grupa polskich ekspertów hematologicznych pod wodzą prof. Ewy Lech-Marańdy, konsultant krajowej w dziedzinie hematologii opracowała i złożyła do Ministra Zdrowia projekt programu polityki zdrowotnej, który umożliwiłby w przyszłości stosowanie tej ratującej życie terapii u polskich pacjentów, zabezpieczając wszystkie aspekty specyfiki CAR-T.

Choroby metaboliczne

Choroby metaboliczne z roku na rok stają się coraz większym wyzwaniem dla systemów ochrony zdrowia w Polsce i na świecie. Do głównych schorzeń metabolicznych zalicza się: otyłość, cukrzycę typu 2, zespół metaboliczny oraz dyslipidemie. Choroby te stanowią ważny sprawdzian z perspektywy zdrowia publicznego, polityki zdrowotnej oraz zasobów systemu ochrony zdrowia.

Otyłość

Otyłość jest chorobą przewlekłą, z tendencją do nawrotów, charakteryzującą się nadmiernym gromadzeniem tkanki tłuszczowej, która zwiększa ryzyko rozwoju wielu chorób, a w konsekwencji prowadzi do poważnych skutków zdrowotnych, społecznych i ekonomicznych. Według najnowszych prognoz, w Polsce w ciągu najbliższych 25 lat z powodu otyłości średnia długość życia spadnie o 3,9 roku. Pomimo rosnącej liczby osób otyłych, choroba nadal nie jest dostatecznie często diagnozowana, ani leczona. Średni czas jej zdiagnozowania wynosi 5 lat i dotyczy zaledwie 55 % chorujących na otyłość. Otyłość jest problemem interdyscyplinarnym, a objawy z nią związane mogą dotyczyć różnych narządów i układów. Liczba powikłań związanych z otyłością, to ponad 200 chorób. Nadmierna masa ciała bardzo często prowadzi do rozwoju cukrzycy typu 2. U kobiet z BMI >35 kg/m² ryzyko rozwoju cukrzycy wzrasta 90-krotnie. Przy BMI >35 kg/m² ryzyko to jest zwiększone o 9000 %. Innym istotnym powikłaniem otyłości jest nadciśnienie tętnicze, którego ryzyko przy BMI >30 kg/m² wzrasta 8-krotnie. Szacuje się, że blisko 50 % wszystkich przypadków nadciśnienia tętniczego wynika z nadmiernej masy ciała danej osoby. Otyłość prowadzi, także do rozwoju miażdżycy i jej klinicznych konsekwencji — zawału mięśnia sercowego, udaru mózgu i miażdżycy tętnic obwodowych. Otyłość jest także niezależnym czynnikiem ryzyka wielu chorób nowotworowych. Szacuje się, że ponad 100 tys. nowotworów rozpoznawanych w UE jest skutkiem wyłącznie nadmiernej masy ciała. Na pacjenta chorującego na otyłość trzeba spojrzeć holistycznie. Podstawowym krokiem powinno być wdrożenie postępowania niefarmakologicznego, którego efekt oceniamy po 3-6 miesiącach. W przypadku

braku jego skuteczności należy rozważyć farmakoterapię. Leczenie farmakologiczne powinno być indywidualnie dostosowane, aby chronić pacjenta przed rozwojem klasycznych powikłań. Jednym z leków stosowanych w farmakoterapii otyłości jest liraglutyd, który kontroluje łaknienie, zwiększając uczucie sytości i pełności przy jednoczesnym zmniejszeniu uczucia głodu. Bezpieczeństwo stosowania i skuteczność liraglutylu w odniesieniu do kontroli masy ciała, w połączeniu ze zmniejszeniem podaży kalorii i zwiększeniem wysiłku fizycznego, oceniano w 4 randomizowanych, podwójnie zaślepionych, kontrolowanych placebo badaniach. Średnia redukcja masy ciała w 12-miesięcznej obserwacji wynosiła 8,4 kg. Jednocześnie potwierdzono wiele korzyści kardio-metabolicznych, wykraczających poza efekt spadku masy ciała. [Bogdański]

Bardzo ważne z perspektywy profilaktyki i leczenia otyłości jest wprowadzenie w Polsce opłaty cukrowej, która wejdzie w życie od 1 stycznia 2021 r. Pozyskane środki finansowe (około 2 mld zł rocznie) powinny zostać przeznaczone na dodatkowe działania w zakresie profilaktyki i leczenia nadwagi i otyłości oraz cukrzycy celem uzyskania lepszych efektów zdrowotnych. Zapisy Art. 12 c. „1. Opłata oraz dodatkowa opłata, o której mowa w art. 12 i ust. 1, stanowią w wysokości: 1) 96,5% przychód Narodowego Funduszu Zdrowia; 2) 3,5% dochód budżetu państwa, w części, której dysponentem jest minister właściwy do spraw finansów publicznych. 2. Narodowy Fundusz Zdrowia przeznacza środki, o których mowa w ust. 1 pkt 1, na działania o charakterze edukacyjnym i profilaktycznym oraz na świadczenia opieki zdrowotnej związane z utrzymaniem i poprawą stanu zdrowia świadczeniobiorców z chorobami rozwiniętymi na tle niewłaściwych wyborów i zachowań zdrowotnych, w szczególności z nadwagą i otyłością” powinny być aktywnie realizowane.

Cukrzyca

Cukrzyca typu 2 jest najczęstszą postacią cukrzycy. W Polsce według danych z raportu Narodowego Funduszu Zdrowia – w 2018 roku było blisko 2,7 mln dorosłych chorych z cukrzycą leczonych farmakologicznie, z czego blisko 90% stanowili chorzy z cukrzycą typu 2. Dodatkowo, obserwuje się stałą tendencję wzrostową – wzrost o 31% od 2013 r. (2,02 mln chorych w 2013 r.). Świadczenia finansowane przez NFZ w 2018 r. z powodu cukrzycy zostały udzielone – 1,77 mln dorosłym pacjentom. Cukrzyca jest powszechnym i istotnym problemem zdrowotnym, łącznie z kosztami pośrednimi stanowi duże obciążenie dla płatnika. Ciężar cukrzycy, jako jednostki chorobowej powinien więc być rozpatrywany razem z licznymi powikłaniami, które ona powoduje. Skalę powikłań rozwiniętych na tle cukrzycy bardzo dobrze obrazuje fakt, iż średni koszt leczenia jednego pacjenta z cukrzycą jest o 82,5% wyższy od pacjenta tej samej płci i w tym samym wieku, ale bez cukrzycy. Całkowite obciążenie budżetu NFZ kosztami cukrzycy, rozumianymi jako suma leczenia cukrzycy, jej powikłań i cięższego przebiegu chorób współistniejących – w 2017 roku wyniosło 6 073 mln zł. Kwota 3 248 mln zł (53,5%) to efekt bardziej kosztochłonnego leczenia osób z cukrzycą w porównaniu do kosztów leczenia pozostałych osób korzystających ze świadczeń finansowanych przez NFZ.

W zakresie refundacji leków przeciwcukrzycowych środowisko klinicystów oraz ekspertów systemowych, doceniając dotychczasowe pozytywne dla chorych decyzje refundacyjne rekomenduje rozszerzenie wskazań dla inkretyn (GLP-1: liraglutyd i dulaglutyd) o pacjentów z otyłością (BMI > 30), a nie tylko z dużą otyłością, jak jest obecnie (BMI >35). Grupa pacjentów

w przedziale BMI 30-35 skorzystałaby poprzez znaczne obniżenie częstości występowania udarów mózgu (o 39%) i zawałów serca. GLP-1 powinny być stosowane nie tylko po 2 lekach doustnych, ale także po insulinie lub razem z insuliną, więc zapis refundacyjny powinien brzmieć: „po 2 lekach przeciwcukrzycowych”, a nie „2 lekach doustnych”. Wkrótce będzie dostępny w Polsce w leczeniu cukrzycy typu 2, semaglutyd doustny. Jest to przełomowa technologia lekowa, która otwiera być może drogę do podawania w przyszłości innych leków biologicznych doustnie.

Choroby rzadkie

Rdzeniowy zanik mięśni (SMA)

Rdzeniowy zanik mięśni (SMA) jest najczęstszą przyczyną zgonów noworodków z powodu chorób genetycznych. Szacuje się, że obecnie w Polsce żyje ok. 800–1000 chorych na SMA, a co roku rodzi się około 40–50 dzieci, u których rozpoznaje się rdzeniowy zanik mięśni, w tym 30–40 dzieci z najcięższą postacią choroby. Rdzeniowy zanik mięśni, jest schorzeniem nerwowo-mięśniowym o podłożu genetycznym. W SMA obumierają neurony w rdzeniu kręgowym, odpowiadające za pracę mięśni, co powoduje, że mięśnie ciała słabną i stopniowo ulegają zanikowi. U noworodków, niemowląt i małych dzieci pierwsze objawy zwykle pojawiają się nagle, a stan zdrowia pogarsza się z tygodnia na tydzień. Nieleczona postać SMA typu 1 w ponad 90% przypadków prowadzi do zgonów lub konieczności stosowania ciągłej wentylacji przed drugim rokiem życia. Wczesne rozpoznanie i rozpoczęcie leczenia SMA pozwala zatrzymać nieodwracalną utratę neuronów ruchowych oraz zahamować postęp choroby.

Dlatego z inicjatywy europejskich organizacji pacjentów zawiązał się w sierpniu 2020 r. sojusz na rzecz badań przesiewowych noworodków w kierunku SMA. Celem tej inicjatywy jest uwzględnienie rdzeniowego zaniku mięśni w krajowych programach badań przesiewowych noworodków, m.in. w Polsce. Badania przesiewowe noworodków pozwalają na diagnozę zaraz po urodzeniu i podjęcie leczenia dzieci, wtedy kiedy jest ono najbardziej skuteczne, tzn. zanim dojdzie do obumarcia neuronów ruchowych. Dzięki temu pacjenci mają szansę na normalne życie. Według deklaracji Ministerstwa Zdrowia pilotaż badania przesiewowego noworodków w kierunku SMA w Polsce rozpocznie się w pierwszej połowie 2021 r.

Do czasu wprowadzenia leczenia farmakologicznego oraz nowoczesnych metod opieki oddechowej rdzeniowy zanik mięśni był najczęstszą genetyczną przyczyną śmierci dzieci do drugiego roku życia. Dzięki nowym lekom dokonał się przełom w terapii SMA. Od stycznia 2019 r. refundowany jest w Polsce w ramach programu lekowego nusinersen stosowany w terapii dzieci i dorosłych, ze wszystkimi typami SMA. W maju 2020 r. została zarejestrowana w Unii Europejskiej terapia genowa - onasemnogene abeparvovec. Stwarza ona nową opcję terapeutyczną w SMA, która pozwoli lekarzowi dobrać odpowiednie leczenie do indywidualnych potrzeb pacjenta. U pacjentów przedobjawowych terapia genowa stosowana jednorazowo (jednorazowe podanie) daje szansę na normalny rozwój dziecka, co jednocześnie przekłada się na redukcję kosztów opieki, hospitalizacji, obciążeń organizacyjnych i psychicznych rodziców.

Mukowiscydoza

Mukowiscydoza to nieuleczalna, rzadka, przewlekła choroba genetyczna, prowadząca do przedwczesnej śmierci. Odziedziczona po obojgu rodzicach, nosicielach jednej z wielu chorobotwórczych mutacji genu CFTR, uszkadza przede wszystkim układ oddechowy, ale także trawienny i rozrodczy. Gęsty śluz zakleja oskrzela i oskrzeliki, blokuje enzymy trawienne trzustki i powoduje niedrożność nasieniowodów. Chorzy walczą o każdy oddech, zmagają się z chronicznym niedożywieniem, bólem i infekcjami, które stopniowo uszkadzają tkankę płucną. Pacjenci spędzają wiele godzin dziennie na zabiegach rehabilitacyjnych, muszą stosować specjalną dietę i przyjmować ogromne ilości leków. Pod koniec życia zostają przykuci do łóżka. Najpoważniejszą konsekwencją choroby jest pogłębiająca się niewydolność oddechowa – główna przyczyna śmierci w mukowiscydozie. Szacuje się, że w Polsce żyje ok. 2 400 osób chorych na mukowiscydozę. Dzięki dobrze zorganizowanym badaniom przesiewowym noworodków, co roku wykrywanych jest ok. 80 nowych przypadków. Jednak polscy chorzy na mukowiscydozę żyją średnio tylko 24 lata, czyli o 10-15 lat krócej niż w krajach, gdzie systemy opieki działają sprawniej.

Zgodnie z europejskimi standardami, system leczenia chorych na mukowiscydozę powinien kompleksowo obejmować: rozpoznanie, hamowanie rozwoju oraz leczenie zaostrzeń choroby oskrzelowo-płucnej, a także monitoring oraz leczenie powikłań i chorób towarzyszących. Od 2012 r w UE są dostępne terapie działające bezpośrednio na defekt białka CFTR będący przyczyną mukowiscydozy. Niestety nie są dostępne dla polskiego pacjenta, który w Polsce może obecnie być leczony jedynie objawowo. W zakresie terapii stosuje się leczenie mukolityczne oraz antybiotykoterapię. Specyfika mukowiscydozy, jako choroby przewlekłej wiąże się z koniecznością prowadzenia leczenia i rehabilitacji w miejscu zamieszkania pacjenta. W tym systemie leczenia chory powinien mieć dostęp do wielospecjalistycznej opieki ambulatoryjnej, szpitalnej i domowej, które w sposób komplementarny obejmowałyby wszelkie aspekty postępowania klinicznego, a także zalecenia dietetyczne, fizjoterapeutyczne oraz opiekę psychologiczną. Centralną rolę w tym systemie powinien odgrywać ośrodek koordynujący leczenie, który, oprócz świadczenia usług ambulatoryjnych i szpitalnych, powinien koordynować całość opieki nad pacjentem, w tym także przekazywanie istotnych informacji o chorobie lekarzom podstawowej opieki zdrowotnej, wspieranie interwencji specjalistów i świadczeń realizowanych w warunkach domowych.

Pęcherz neurogenny u dzieci i młodzieży w wyniku rozszczepu kręgosłupa

Za ok. 98% przypadków pęcherza neurogennego odpowiada rozszczep kręgosłupa (spina bifida). Rozszczep kręgosłupa to choroba rzadka. Każdego roku w Polsce rodzi się około 200 dzieci z rozszczepem kręgosłupa (Polski Rejestr Wrodzonych Wad Rozwojowych). Szacuje się, że z tym schorzeniem żyje w Polsce ok. 3 tys. dzieci i młodzieży. Problemy urologiczne – z racji na ich wieloaspektowy charakter - są największym wyzwaniem w opiece nad chorym z rozszczepem kręgosłupa. W tym względzie wyprzedzają problemy ortopedyczne (tzn. niemożność chodzenia, a przez to konieczność poruszania się na wózku). Celem właściwego cewnikowania u pacjentów z pęcherzem neurogennym jest zmniejszenie śmiertelności z powodu niewydolności nerek (jeszcze w latach 80-tych połowa dzieci z rozszczepem umierała przed 18 r.ż.). Dlatego dzieci

muszą być cewnikowane zgodnie z wytycznymi klinicznymi. Cewniki hydrofilowe gotowe do użycia są zalecane przez Europejskie Towarzystwo Urologiczne i refundowane w większości krajów Unii Europejskiej. Standardem opieki urologicznej u chorych z rozszczepem kręgosłupa jest samocewnikowanie, czyli cewnikowanie przerywane. Jest to metoda terapeutyczna najbardziej zbliżona do naturalnego opróżniania pęcherza. W tym wypadku nie ma konieczności noszenia cewnika stałego, a chory cewnikuje się 5-6 razy na dobę, czyli tyle ile przeciętna osoba korzysta dziennie z toalety. Chory może samocewnikować się na trzy sposoby – używając: cewników hydrofilowych gotowych do użycia, cewników hydrofilowych wymagających aktywacji wodą oraz cewników suchych. W praktyce w Polsce refundowane są jedynie przestarzałe cewniki suche. Gotowe do użycia cewniki hydrofilowe zmniejszają ryzyko wystąpienia zakażeń układu moczowego. Są sterylne, skuteczne, bezpieczne i dużo łatwiejsze w użyciu (w stosunku do cewników suchych), co przekłada się na optymalizację opieki i preferencje chorych (dzieci i młodzież samocewnikują się w szkole). Zalecane przez Polskie Towarzystwo Urologiczne samocewnikowanie gotowymi cewnikami hydrofilowymi przełoży się nie tylko na znaczący spadek powikłań, ale również na wzrost przeżywalności z zachowaniem optymalnej jakości życia chorych. Jednocześnie stworzy solidny filar kompleksowej i koordynowanej opieki nad około 2 tys. dzieci i młodzieży z pęcherzem neurogennym w wyniku rozszczepu kręgosłupa w Polsce.

Reumatologia

Łuszczycowe zapalenie stawów (ŁZS)

Nowe rekomendacje EULAR (European League Against Rheumatism), które ukazały się parę tygodni temu, po raz pierwszy bezpośrednio potwierdzają wartość inhibitorów interleukiny 17 (IL-17) u pacjentów z łuszczycowym zapaleniem stawów (ŁZS) ze zmianami skórными. Zalecają one w Rekomendacji nr 6, aby u pacjentów z zapaleniem stawów obwodowych i z niedostateczną odpowiedzią na ≥ 1 ksLMPCh zastosować biologiczne leki - modyfikującymi przebieg choroby (bLMPCh), a w przypadku istotnego zajęcia skóry - inhibitor IL-17 lub IL-12/23. Rekomendacja nr 10 zaleca u pacjentów z dominującą i aktywną postacią osiową oraz z niedostateczną odpowiedzią na NLPZ zastosowanie biologicznego leku modyfikującego przebieg choroby (bLMPCh), którym zgodnie z obecną praktyką jest inhibitor TNF, natomiast w przypadku istotnego zajęcia skóry, może być preferowany inhibitor IL-17. Dane z badania *head to head*, a więc bezpośrednio porównującego ixekizumab z adalimumabem wykazuje statystycznie znamienne lepsze wyniki, potwierdzające skuteczność ixekizumabu, jako leczenia pierwszego rzutu w ŁZS. Odpowiedź kliniczna występuje jednocześnie ze strony stawów (zahamowanie progresji radiologicznej) i skóry. Jest to ważne, bo percepcja jest taka, że inhibitory IL-17 dobrze działają głównie na skórę, a często klinicyści zapominają o komponencie odpowiedzi stawowej. Od 1 września 2020 r. został zrefundowany tofacytynib, który jest dostępny dla pacjentów z łuszczycowym zapaleniem stawów po nieskuteczności leków biologicznych refundowanych w programie. Ixekizumab jest skuteczną opcją leczenia ŁZS, dającą chorym dostęp do skutecznego leczenia, a reumatologom i dermatologom następną ważną opcję terapeutyczną.

Kontakt: Anna Jasińska – Rzecznik Medycznej Racji Stanu,
tel. +48 734 439 122,
e-mail: jasinska@grecomm.pl

PARTNERZY:

