



Honorowy Patronat Ks. Kardynała Kazimierza Nycza

## I Spotkanie Rady Ekspertów ds. Chorób Autoimmunologicznych Medycznej Racji Stanu

**19 marca 2021, godz. 13.00 – 16.00**

tryb online

### Informacja prasowa

Rada Ekspertów ds. Chorób Autoimmunologicznych Medycznej Racji Stanu zbiera się po raz pierwszy, w rok po rozpoczęciu pandemii COVID-19. Choroby autoimmunologiczne to grupa chorób, w których układ immunologiczny (odpornościowy) organizmu niszczy własne komórki i tkanki. Istotne są w ich przypadku predyspozycje genetyczne oraz mutacje powodujące upośledzenie działania układu odpornościowego. Czynnikiem wpływającym na rozwój chorób autoimmunologicznych jest również zakażenie bakteryjne lub wirusowe. Objawy mogą być ledwo zauważalne, ale też mogą prowadzić do zagrożenia życia. Jest to zależne od zaawansowania choroby, od tego czy dotyczy ona jednego narządu, czy też występuje w postaci uogólnionej. Konsekwencją wielu ze schorzeń autoimmunologicznych jest postępująca niepełnosprawność. Szacuje się, że choroby te dotyczą ok. 3,5 proc. populacji, przy czym aż 2-3 razy częściej chorują na nie kobiety, niż mężczyźni. Cechą chorób autoimmunologicznych jest również pojawianie się pierwszych objawów przed 30. rokiem życia.

Do chorób autoimmunologicznych należy wiele jednostek chorobowych, które mogą obejmować różne narządy i układy w organizmie: przewód pokarmowy, układ nerwowy, tkankę łączną, skórę, czy też gruczoły wydzielania wewnętrznego. Do chorób autoimmunologicznych z zakresu gastroenterologii zalicza się nieswoiste zapalenia jelit - chorobę Leśniowskiego-Crohna oraz wrzodziejące zapalenie jelita grubego. Chorobami autoimmunologicznymi, które dotyczą układu nerwowego są: miastenia, stwardnienie rozsiane, zespół Guillaina-Barrego oraz ostre rozsiane zapalenie mózgu i rdzenia. Endokrynologia i diabetologia jest reprezentowana przez niedoczynność tarczycy (ch. Hashimoto), nadczynność tarczycy (ch. Gravesa-Basedova), pierwotną niedoczynność kory nadnerczy (ch. Addisona) oraz cukrzycę typu 1 (insulinozależną). Łuszczyca oraz łysienie plackowate dotyczą skóry. Choroby autoimmunologiczne, które obejmują tkankę łączną, to między innymi: toczeń

rumieniowaty układowy, twardzina, układowe zapalenie naczyń, reumatoidalne zapalenie stawów, młodzieńcze idiopatyczne zapalenie stawów, zeszywniające zapalenie stawów kręgosłupa oraz łuszczycowe zapalenie stawów. Do chorób autoimmunologicznych należy również niedokrwistość Addisona-Biermera oraz sarkoidoza. Leczenie chorób autoimmunologicznych ma na celu odbudowę systemu odpornościowego (leki biologiczne), ograniczenie aktywności układu odpornościowego i złagodzenie objawów choroby (leki immunosupresyjne), leczenie niedoborów (insulina – cukrzyca, kortyzol i aldosteron - niedoczynność kory nadnerczy, lewotyroksyna - niedoczynność tarczycy) lub pobudzanie układu odpornościowego (leki immunomodulujące). W ostatnich latach dokonał się prawdziwy przełom w leczeniu chorób autoimmunologicznych, szczególnie w aspekcie dostępu do biologicznych oraz syntetycznych celowanych leków modyfikujących przebieg choroby. Niezmiernie istotna jest indywidualizacja terapii uwzględniająca m.in.: wiek, choroby współistniejące, czy też płeć pacjenta, a także jego preferencje, plany zawodowe oraz potrzeby, np. związane z planowaniem rodziny.

Kluczowy dla chorych na choroby autoimmunologiczne jest czas, który upływa od wystąpienia pierwszych objawów, do rozpoczęcia leczenia. W przypadku przewlekłych chorób autoimmunologicznych kluczowa jest szybka diagnoza i rozpoczęcie leczenia chorego. W tym aspekcie ścieżka diagnostyczno-terapeutyczna pacjenta w Polsce musi ulec optymalizacji w zakresie przyspieszenia diagnozy, dostępu do skutecznego leczenia i pomiaru efektów tych działań. Bardzo ważna w tym procesie jest świadomość społeczeństwa i wiedza o chorobach autoimmunologicznych. Fundamentalnym jest, aby w procesie diagnostyczno-terapeutycznym traktować pacjenta jak partnera. Po rozpoznaniu choroby, która będzie towarzyszyła choremu przez całe życie, lekarz powinien opracować wspólnie z pacjentem plan leczenia. Musi wytłumaczyć pacjentowi, dlaczego na określonych etapach należy włączać konkretne terapie, które gwarantują zachowanie sprawności i remisję choroby. Często pomijanym aspektem przewlekłych chorób zapalnych są szczególne wyzwania i różnice w leczeniu związane z płcią. Przykładowo, niektóre kobiety z określonymi schorzeniami są znacznie później, niż mężczyźni trafnie zdiagnozowane pod kątem ich choroby, co może wpłynąć na wynik ich leczenia. Niektóre przewlekłe choroby zapalne mogą również powodować u kobiet większy ból, stres i zmęczenie, niż u mężczyzn z takimi samymi schorzeniami. Ponadto, kobiety cierpiące na przewlekłe choroby zapalne mogą mieć różne obawy zdrowotne, np. dotyczące planowania rodziny, a jednocześnie mogą nie czuć się wystarczająco pewnie, by zadać właściwe pytania swojemu lekarzowi prowadzącemu. Należy pamiętać, że pacjenci chorujący na takie choroby jak - łuszczycyca, łuszczycowe zapalenie stawów, reumatoidalne zapalenie stawów, czy spondyloartropatie osiowe często borykają się ze stygmatyzacją i wykluczeniem.

Choroby autoimmunologiczne to problem nie tylko medyczny, ale również społeczny. Z racji na postępujący przebieg, choroby te nie leczone prowadzą do inwalidztwa i śmierci. Biorąc pod uwagę, że diagnoza dotyczy ludzi młodych prawidłowe leczenie pozwala na zahamowanie choroby i utrzymanie aktywności rodzinnej, zawodowej i społecznej. Z punktu widzenia interesu społecznego skuteczne leczenie osób w wieku produkcyjnym, chorujących na przewlekłe choroby autoimmunologiczne, to uzasadniona inwestycja po stronie systemu ochrony zdrowia. Dzięki zahamowaniu progresji choroby pacjenci są skutecznie leczeni, utrzymują wysoką jakość życia, wykazują mniej absencji w pracy oraz nie przechodzą na rentę, co przekłada się na mniejsze wydatki państwa. Na przewlekłe choroby autoimmunologiczne chorują młode osoby, które nie chcą wypadać z rynku pracy i tracić swoich ról społecznych. Gospodarce nie opłaca się „tracić” tych obywateli, dlatego ich leczenie powinno być traktowane jako inwestycja. Należy więc na problemy

chorych na przewlekłe choroby autoimmunologiczne spojrzeć szerzej, nie tylko przez pryzmat wydatków na ich leczenie, ale również korzyści klinicznych i ekonomicznych wynikających z wcześniejszego rozpoczęcia terapii i zahamowania dalszego postępu choroby.

#### **Program I Spotkania Rady Ekspertów ds. Chorób Autoimmunologicznych Medycznej Racji Stanu:**

- 13.00 – 13.05 Powitanie uczestników  
red. Iwona Schymalla i przedstawiciele MRS
- 13.05 – 13.15 Wprowadzenie do dyskusji  
prof. Grażyna Rydzewska, Prezes Polskiego Towarzystwa Gastroenterologii,
- 13.15 – 13.25 Choroby autoimmunologiczne przewodu pokarmowego  
prof. Grażyna Rydzewska, Prezes Polskiego Towarzystwa Gastroenterologii  
prof. Jarosław Reguła, Konsultant Krajowy w dziedzinie Gastroenterologii
- 13.25 – 13.40 Choroby autoimmunologiczne w reumatologii  
prof. Marek Brzosko, Konsultant Krajowy w dziedzinie Reumatologii  
prof. Zbigniew Żuber, Kierownik Katedry Pediatrii KAAFm  
prof. Brygida Kwiatkowska, Z-ca Dyrektora Narodowego Instytutu Geriatrii,  
Reumatologii i Rehabilitacji w Warszawie
- 13.40 – 13.55 Choroby autoimmunologiczne w dermatologii  
prof. Joanna Narbutt, Konsultant Krajowy w dziedzinie Dermatologii i Wenerologii  
prof. Irena Walecka, Kierownik Kliniki Dermatologii CSK MSWiA  
prof. Witold Owczarek, Kierownik Kliniki Dermatologii WUM
- 13.55 – 14.05 Choroby autoimmunologiczne w neurologii  
prof. Agnieszka Słowik, Konsultant Krajowy w dziedzinie Neurologii  
prof. Jarosław Sławek, Prezes Polskiego Towarzystwa Neurologicznego
- 14.05 – 14.20 Choroby autoimmunologiczne w diabetologii  
prof. Małgorzata Myśliwiec, Kierownik Katedry i Kliniki Pediatrii, Diabetologii  
i Endokrynologii GUM  
prof. Leszek Czupryniak, Kierownik Kliniki Diabetologii WUM, współzałożyciel MRS  
prof. Mieczysław Walczak, Konsultant Krajowy w dziedzinie Endokrynologii i  
Diabetologii Dziecięcej
- 14.20 – 14.25 Choroby autoimmunologiczne w pulmonologii  
prof. Wojciech Piotrowski, Kierownik Oddziału Klinicznego Pulmonologii i Alergologii  
Uniwersyteckiego Szpitala Klinicznego im. Norberta Balickiego UMŁ
- 14.25 – 14.30 Choroby autoimmunologiczne w onkologii  
dr Janusz Meder, Prezes PUO, współzałożyciel MRS
- 14.30 – 14.35 Pacjent z chorobą autoimmunologiczną w gabinecie lekarza rodzinnego  
dr Michał Sutkowski, Rzecznik Kolegium Lekarzy Rodzinnych w Polsce, współzałożyciel  
MRS
- 14.35 – 14.50 Wyzwania systemowe chorób autoimmunologicznych  
Maciej Miłkowski, Wiceminister Zdrowia
- 14.50 – 15.00 Postęp w leczeniu chorób autoimmunologicznych. Ocena dostępności  
dr Roman Topór-Mądry, Prezes AOTMiT
- 15.00 – 15.15 Świadomość chorób autoimmunologicznych – perspektywa parlamentarzystów  
dr Beata Małecka-Libera, Przewodnicząca Senackiej Komisji Zdrowia

- dr Tomasz Latos, Przewodniczący Sejmowej Komisji Zdrowia  
prof. Paweł Kowal, Członek Sejmowej Komisji Zdrowia, współzałożyciel MRS
- 15.15 – 15.25 Choroby autoimmunologiczne – perspektywa RPP i RPO  
dr Bartłomiej Chmielowiec, Rzecznik Praw Pacjenta  
mec. Piotr Mierzejewski, Zespół ds. Zdrowia, Biuro Rzecznika Praw Obywatelskich
- 15.25 – 15.35 Wnioski i rekomendacje  
dr Jakub Gierczyński, MBA, ekspert systemu ochrony zdrowia
- 15.35 – 15.40 Podsumowanie MRS.

**Poniżej przedstawiono wybrane choroby autoimmunologiczne oraz propozycje rozwiązań systemowych w zakresie optymalizacji opieki medycznej nad chorymi.**

### **Łuszczyca**

Łuszczyca (ang. *psoriasis*) jest przewlekłym, niezakaźnym, zapalno-proliferacyjnym schorzeniem o podłożu genetycznym i o trudnym do przewidzenia przebiegu. Objawy najczęściej dotyczą skóry, nieco rzadziej u ok. 35% chorych stawów. Należy podkreślić, że proces zapalny w łuszczyce ma charakter ogólnoustrojowy. Łuszczyca najczęściej występuje rodzinie. Ryzyko zachorowania u dzieci obojga rodziców chorujących na łuszczycę sięga 70%. W przypadku gdy choruje jeden rodzic, istnieje ok. 15% prawdopodobieństwa, że zachoruje ich dziecko.

Na całym świecie choruje około 180 mln ludzi. W Polsce około 2–3% populacji, a każdego roku grono chorych powiększa się o 1000–1500 osób.<sup>1</sup> Szacuje się, że w Polsce żyje od 700 tys. do 1,2 mln pacjentów z łuszczycą o różnym stopniu nasilenia. Badania epidemiologiczne dowodzą częstszego współistnienia u chorych na łuszczycę zaburzeń metabolicznych – insulinooporności, dyslipidemii, nadciśnienia tętniczego i chorób układu sercowo-naczyniowego. Ponad dwukrotnie częstsze jest też występowanie otyłości o ciężkim przebiegu, które wpływa na rozwój dalszych zaburzeń metabolicznych. Skutkuje to większą zapadalnością na choroby układu sercowo-naczyniowego oraz zwiększoną śmiertelnością z tego powodu. Łuszczycę należy więc traktować, jako ogólnoustrojowy proces zapalny, a obowiązkiem dermatologa jest nie tylko leczenie zmian skórnych, lecz także diagnostyka i monitorowanie współistniejących zaburzeń. Łuszczyca wywiera również wielopłaszczyznowy negatywny wpływ na jakość życia pacjentów. Ma olbrzymi wpływ na psychikę, stan fizyczny i socjalny chorych. Ogranicza ich życie zawodowe, społeczne, osobiste i seksualne. Chorzy na łuszczycę muszą stawiać czoła stygmatyzacji społecznej i ryzyku wykluczenia, co w dużej mierze wynika z wciąż pokutującego, choć fundamentalnie błędnego przekonania, że łuszczycą można się zarazić. Schorzenie to może też, czego dowodzą obserwacje ostatnich lat, powodować zwiększoną śmiertelność chorujących na nią osób.

Celem leczenia łuszczycy jest nie tylko spowodowanie ustąpienia zmian skórnych, ale także poprawa jakości życia pacjentów, przywrócenie choremu zdolności do wykonywania pracy zarobkowej oraz ograniczenia ryzyka wystąpienia chorób jej towarzyszących. W leczeniu większości przypadków łagodnych postaci łuszczycy zwykłej, ze zmianami o niewielkim nasileniu (BSA < 10%, PASI < 10 pkt., DLQI < 10 pkt.) podstawową rolę odgrywają przede wszystkim leki miejscowe, a w razie, gdy nie zapewnią one wystarczającej kontroli przebiegu choroby – także fototerapia. W terapii łuszczycy

---

<sup>1</sup> Kobosz T., Łuszczyca – Fakty, ekonomia, człowiek. Instytut Ochrony Zdrowia, 2018 <https://www.ioz.org.pl/raporty>

umiarkowanej do ciężkiej leki miejscowe stosowane są uzupełniająco, a podstawową rolę odgrywają: fototerapia lub fotochemioterapia, leczenie ogólne lekami klasycznymi oraz lekami biologicznymi [2].

Leki biologiczne są jedną z najważniejszych innowacji w dermatologii. Aktualnie w Polsce terapia biologiczna jest realizowana w wybranych ośrodkach klinicznych, w ramach programów lekowych Narodowego Funduszu Zdrowia. W ubiegłym roku zostały zaimplementowane istotne zmiany dotyczące leczenia pacjentów w programie lekowym B.47 „Leczenie łuszczycy plackowatej o przebiegu umiarkowanym i ciężkim”. Wprowadzono nowe leki, zniesiono bariery administracyjne oraz umożliwiono pacjentom ze zmianami łuszczycowymi, zajmującymi miejsca szczególnie wrażliwe, jak paznokcie i skórę głowy lub okolice anogenitalną, włączenie do programu lekowego, co było krokiem w kierunku leczenia zgodnie z rekomendacjami. Niewątpliwie uległa poprawie dostępność do leczenia biologicznego, w z związku z tym znacząca poprawa jakości życia pacjentów z łuszczycą. Jednakże w Polsce czas leczenia biologicznego łuszczycy w programie lekowym jest nadal ograniczony, a przerwanie terapii biologicznej i ponowne rozpoczęcie kolejnego cyklu doprowadza do częstego występowania lekooporności i konieczności szukania innej terapii. Ograniczenie czasu leczenia do 96 tygodni dla innowacyjnych terapii nadal jest sporym wyzwaniem terapeutycznym dla lekarza prowadzącego i wiąże się z ogromnym stresem ze strony pacjenta. Każdorazowo konieczność przerwania terapii po 96 tygodniach efektywnego leczenia u pacjentów z łuszczycą ciężką (PASI >18) jest dalekie od oczekiwań środowiska klinicznego i pacjentów. Jednak zgodnie z wytycznymi europejskimi, a także PTD, istnieje konieczność dłuższej terapii. Leczenie powinno być długotrwałe, jeśli uzyskiwane korzyści przeważają nad ewentualnym ryzykiem długoterminowej terapii biologicznej. Decyzję o przerwaniu lub zakończeniu leczenia biologicznego, podobnie jak w przypadku innych metod terapii przeciw łuszczycowej, powinien podejmować lekarz prowadzący w porozumieniu z pacjentem.<sup>2</sup>

Jak wynika z informacji zawartych w „Analizie zmian w dostępie do terapii w ramach programu lekowego dla łuszczycy w Polsce”<sup>3</sup> dane AOTMiT wskazują, że rocznie terapię ze względu na kryteria administracyjne może przerywać do 30 proc. pacjentów. Jak podano, w opinii ekspertów przerwa w leczeniu pacjenta - co jest bardzo istotne dla analizy - wynosi średnio około 4 miesiące. Wspomniana analiza zawiera oszacowanie wpływu wprowadzenia zmian w programie lekowym poprzez zniesienie przerwy po 96 tygodniach leczenia u pacjentów z łuszczycą plackowatą. Taka zmiana w opisie programu indukuje oczywiście obawy przed zwiększeniem wydatków NFZ. Autorzy analizy dochodzą do wniosku, że gdyby chorzy obecnie przerywający terapię na okres do 4 miesięcy kontynuowali leczenie, nie spowodowałoby to zwiększenia wydatków NFZ na refundację. Jak bowiem uzasadniają, kwalifikacja chorego do programu generuje wydatki z powodu konieczności powtórzenia diagnostyki kwalifikacyjnej do terapii. W przypadku zachowania ciągłości leczenia, ta diagnostyka nie byłaby konieczna, nie będzie również konieczności ponownego podawania dawek nasycających leków, jak to ma miejsce przy rozpoczęciu terapii.

### **Atopowe zapalenie skóry**

Atopowe zapalenie skóry (AZS) jest przewlekłą, nawrotową i nieuleczalną dermatozą, która występuje zarówno u dzieci, jak i dorosłych. Do rozwoju tej choroby dochodzi wskutek współdziałania czynników

---

<sup>2</sup> Łuszczycy. Rekomendacje diagnostyczno-terapeutyczne Polskiego Towarzystwa Dermatologicznego. Część 2 Dermatol Rev/Przeł Dermatol 2020, 107, 110–137 DOI: <https://doi.org/10.5114/dr.2020.95259>

<sup>3</sup> Analiza zmian w dostępie do terapii w ramach programu lekowego dla łuszczycy w Polsce CEESTAHC, wrzesień 2020; link: [https://www.ceestahc.org/pliki/nasze\\_publicacje/programy\\_zdrowotne/analiza\\_luszczycy\\_2020.pdf](https://www.ceestahc.org/pliki/nasze_publicacje/programy_zdrowotne/analiza_luszczycy_2020.pdf)

genetycznych, środowiskowych, uszkodzenia bariery skórnej i zaburzeń układu immunologicznego. AZS związane jest z szeregiem schorzeń współistniejących i powikłań, do których zalicza się m. in. wyprysk rąk i powiek, częste i nawracające zakażenia skóry (bakteryjne, wirusowe, grzybicze), alergiczny nieżyt nosa, astmę, nietolerancję pokarmową czy choroby oczu, w tym zaćmę oraz zapalenia spojówek i rogówki. Te ostatnie, jeśli mają charakter przewlekły, mogą prowadzić do upośledzenia wzroku.

Atopowe zapalenie skóry, to choroba, która upośledza funkcjonowanie zarówno w życiu społecznym, jak i zawodowym. W najtrudniejszej sytuacji są dorośli pacjenci z ciężkim przebiegiem AZS, którzy doświadczają uczucia świądu i bólu przez 24 godziny na dobę, 7 dni w tygodniu. Wyczerpali oni już wszystkie możliwości terapeutyczne dostępne w Polsce, czyli leczenie objawowe polegające na stosowaniu miejscowych glikokortykosteroidów (mGKS) lub miejscowych inhibitorów kalcyneuryny (mIK), które w ich przypadku okazały się nieskuteczne, a choroba powróciła ze zdwojoną siłą. Jedynym ratunkiem dla tej grupy chorych jest dupilumab, wysoce skuteczne przeciwciało monoklonalne, które w krótkim czasie pozwala zredukować uciążliwy świąd i przejąć kontrolę nad chorobą. Na tę terapię czekają w Polsce zarówno pacjenci, jak i lekarze. Istnieje wyraźna potrzeba indywidualizacji leczenia chorych z AZS. Choroba ta odznacza się wysokim stopniem stygmatyzacji społecznej i dodatkowo ma swoje potężne konsekwencje finansowe w związku z dodatkowymi kosztami pośrednimi. Dostosowanie odpowiedniej terapii dla każdego pacjenta ma tutaj kluczowe znaczenie.

Dupilumab został uznany przez Amerykańską Agencję Żywności i Leków za terapię przełomową i jest pierwszym zarejestrowanym w Unii Europejskiej w dniu 26 września 2017 r. lekiem biologicznym o wysokim profilu bezpieczeństwa. Dupilumab otrzymał w dniu 18 sierpnia 2020 r. pozytywną rekomendację Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.<sup>4</sup> Szacuje się, że w tej chwili natychmiastowego wdrożenia terapii biologicznej wymaga około 250-500 pacjentów. Terapia dupilumabem refundowana jest w większości krajów Unii Europejskiej. Niestety, polscy pacjenci z ciężką postacią AZS, jako nieliczni w Europie, nie mają do niej dostępu refundacyjnego - w ramach programu lekowego. Każdy dzień oczekiwania na decyzję w sprawie refundacji dupilumabu – to ogromny ból i niewyobrażalne dla zdrowego człowieka cierpienie. Refundacja tej terapii u pacjentów z najcięższą postacią AZS pozwoli nie tylko zredukować koszty związane z liczbą hospitalizacji, zwolnień lekarskich i kosztów związanych z rentami, czy leczeniem powikłań AZS, ale również pozwoli na utrzymanie produktywności chorych oraz ich zdolności do pracy, wreszcie przywróci ich do życia.

Kolejną najnowszą opcją terapii AZS jest baricytinib, selektywny inhibitor kinaz JAK1 i JAK2. Baricytinib został zarejestrowany w Unii Europejskiej w leczeniu AZS o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego w dniu 16 września 2020 r.<sup>5</sup> Jest to pierwszy celowany lek syntetyczny w formie doustnej, co jest bardzo ważne w dobie pandemii COVID-19. Jego skuteczność i bezpieczeństwo zostały potwierdzone w badaniach randomizowanych. Lek ten, jest już refundowany w Polsce w terapii reumatoidalnego zapalenia stawów (RZS).

### **Reumatoidalne Zapalenie Stawów**

Zgodnie z rekomendacjami towarzystw naukowych choroby zapalne stawów powinny być diagnozowane w jak najkrótszym czasie. W przypadku reumatoidalnego zapalenia stawów (RZS) zaleca się postawienie diagnozy maksymalnie w ciągu 12 tygodni od wystąpienia objawów, a w przypadku

---

<sup>4</sup> [http://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia\\_mz/2020/059/REK/RP\\_47\\_2020\\_Dupixent.pdf](http://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2020/059/REK/RP_47_2020_Dupixent.pdf)

<sup>5</sup> <https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/h1170.htm>

łuszczycowego zapalenia stawów (ŁZS) - maksymalnie w ciągu 6 miesięcy.<sup>6</sup> Tyle czasu wynosi tzw. okno możliwości terapeutycznych - *window of opportunity*, pozwalające na zahamowanie postępującej choroby, przy jednoczesnym zachowaniu sprawności pacjenta. Tymczasem w Polsce RZS jest diagnozowane średnio po upływie 35 tygodni, a tylko 10-20% chorych ma ustalone rozpoznanie i włączone leczenie w ciągu 12 tygodni. W przypadku chorych na ŁZS postawienie rozpoznania trwa nawet 7-8 lat. Dlatego istotne jest, aby system ochrony zdrowia promował wczesne rozpoznanie chorób zapalnych stawów. Dzięki takim standardom młodzi ludzie mogą pozostać na rynku pracy i co najważniejsze, nie umierają przedwcześnie z powodu zawałów, udarów i innych schorzeń rozwijających się na podłożu nieleczzonego procesu zapalnego. Kompleksowa opieka nad pacjentem z zapaleniem stawów wymaga opracowania przez ekspertów ścieżki diagnostyczno-terapeutycznej pacjenta pozwalającej na wczesną diagnostykę i umożliwienie wczesnego rozpoczęcia skutecznej terapii. Indywidualizacja terapii ma tu ogromne znaczenie. Dlatego istotne jest ujednoczenie i uproszczenie zapisów odpowiednich programów lekowych z udostępnieniem podobnych schematów leczenia.

W przypadku leków będących inhibitorami kinaz JAK1 oraz JAK2 baricytynib powinien być osiągalny nie tylko w I linii leczenia, ale również w II linii (tak, jak jest to w przypadku innego produktu w tej grupie leków). Baricytynib jest zarejestrowany w leczeniu czynnego reumatoidalnego zapalenia stawów o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego u dorosłych pacjentów, u których odpowiedź na terapię lekami modyfikującymi przebieg choroby (DMARDs) jest niewystarczająca, lub którzy nie tolerują takiego leczenia.<sup>7</sup>

### **Nieswoiste zapalenia jelit**

Nieswoiste zapalenia jelit (NZJ) to choroby zapalne przewodu pokarmowego o przewlekłym charakterze, rozwijające się w jelicie cienkim lub grubym. Za najczęstsze w tej grupie uważa się wrzodziejące zapalenie jelita grubego (WZJG) oraz chorobę Leśniowskiego-Crohna (Ch L-C). Szczyt zachorowań na NZJ przypada w młodym wieku, czyli między 15. a 35. rokiem życia, ale zapadają na nie również małe dzieci jak i osoby starsze. Szacuje się, że w Polsce na NZJ choruje nawet do 50 tys. osób, w tym 10-15 tys. na chorobę Leśniowskiego-Crohna (Ch L-C) i 35-40 tys. na wrzodziejące zapalenie jelita grubego (WZJG).<sup>8</sup> Leczenie NZJ zależy od stopnia nasilenia objawów. W przypadku, gdy leczenie klasycznymi lekami jest niewystarczające, konieczna jest intensyfikacja terapii. Taką możliwość stwarzają leki biologiczne dostępne w programach lekowych. Niestety ta forma leczenia ma swoje ograniczenia wynikające z limitu czasu uczestniczenia w ww. programach do roku (WZJG) lub dwóch lat (Ch L-C). Po upływie tego czasu pacjenci nie mogą kontynuować refundowanego leczenia biologicznego, co niekiedy może skutkować pogorszeniem stanu ich zdrowia. Chorzy mogą ponownie zostać włączeni do programu lekowego dopiero wówczas, gdy nastąpi nawrót choroby i ciężkie nasilenie jej objawów. Niejednokrotnie, w razie nieskuteczności na nowo rozpoczętej terapii lekiem biologicznym, konieczna jest interwencja chirurgiczna, polegająca na usunięciu części lub całości jelita cienkiego lub całości jelita grubego, co w efekcie prowadzi do wyłonienia sztucznego odbytu na powłoki brzucha, czyli stomii. W wielu krajach terapia lekami biologicznymi nie jest ograniczona

<sup>6</sup> Wczesna diagnostyka chorób reumatycznych – ocena obecnej sytuacji i rekomendacje zmian. IRGiR, 2014  
[https://spartanska.pl/wp-content/uploads/raport\\_wczesna\\_diagnostyka\\_ChR.pdf](https://spartanska.pl/wp-content/uploads/raport_wczesna_diagnostyka_ChR.pdf)

<sup>7</sup> [https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2017/20170213136870/anx\\_136870\\_pl.pdf](https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2017/20170213136870/anx_136870_pl.pdf)

<sup>8</sup> Raport „Analiza kosztów ekonomicznych i społecznych ze szczególnym uwzględnieniem choroby Leśniowskiego-Crohna i wrzodziejącego zapalenia jelita grubego”; 2017 rok; Instytut Zarządzania w Ochronie Zdrowia, Uczelnia Łazarskiego. Raport dostępny jest na: [https://izwoz.lazarski.pl/fileadmin/user\\_upload/Raport\\_-\\_Gastroenterologia\\_-\\_scalony.pdf](https://izwoz.lazarski.pl/fileadmin/user_upload/Raport_-_Gastroenterologia_-_scalony.pdf)



czasowo i może być kontynuowana tak długo, jak jest potrzebna i dopóki jest skuteczna. Decyzja o długości leczenia leży wyłącznie w gestii lekarza i nie jest warunkowana względami administracyjnymi. Pacjenci i lekarze apelują o zastosowanie podobnego rozwiązania, także w Polsce. Wskazują w nim na potrzebę wprowadzenia poniższych zmian: szybszej diagnostyki i włączania do programu lekowego na wcześniejszym etapie choroby; kontynuacji programu lekowego tak długo, jak jest to konieczne, o czym powinien decydować lekarz w porozumieniu z pacjentem; włączania do leczenia w ramach programów lekowych wszystkich tych pacjentów, którzy zgodnie z uznanymi międzynarodowymi wytycznymi, mają wskazania do zastosowania leku biologicznego oraz skutecznej edukacji na temat programów lekowych, jako opcji terapeutycznej.

Poniżej przedstawiono kluczowe wnioski z badania jakościowego przeprowadzonego w ramach projektu edukacyjnego w obszarze NZJ „Dla zapaleńca czas ma znaczenie”. Korzyści związane z możliwością korzystania z programów lekowych mają wymiar zarówno racjonalny, jak i emocjonalny. Rozpatrując sferę racjonalną, główną korzyścią dla pacjentów jest możliwość normalnego funkcjonowania – regularna praca zawodowa, studia, realizowanie swoich pasji, udział w życiu społecznym i rodzinnym. Na poziomie emocjonalnym uczestnictwo w programie lekowym daje pacjentom poczucie bezpieczeństwa i spokoju, wraca im wiara w to, że mogą być pełnoprawnymi członkami społeczeństwa, a nie tylko stanowić jego obciążenie. Pacjenci liczą na szybkie wprowadzenie zmian w programach lekowych, które znacząco mogą poprawić jakość ich życia. Nieswoiste choroby zapalne jelit generują istotne i rosnące koszty społeczno-ekonomiczne, które obniżyć można jedynie poprzez wdrożenie kompleksowych zmian systemowych w zakresie organizacji i efektywnego finansowania diagnostyki oraz specjalistycznego leczenia NChZJ w Polsce. Niezbędne jest uwzględnienie postulatu klinicyстів w zakresie zniesienia obostrzeń czasowego stosowania terapii. Przerwanie terapii u pacjentów z powodów administracyjnych, bez przesłanek medycznych powoduje koszty, których można uniknąć, np. związane z koniecznością ponownych hospitalizacji przy zaostrzeniu choroby, interwencji chirurgicznych, dodatkowego leczenia, absencji w pracy etc. Gwarancja dostępu do terapii przewidzianej w standardach leczenia, to inwestycja w jakość życia chorych, ale też szansa na podniesienie efektywności ekonomicznej opieki zdrowotnej w tym obszarze.<sup>9</sup>

### **Śródmiąższowa choroba płuc związana z twardziną układową**

Śródmiąższowa choroba płuc w przebiegu twardziny układowej, to przewlekła choroba płuc powodująca bliznowacenie tkanek (włóknienie) i/lub stan zapalny, które tworzą się w ścianach pęcherzyków płucnych pacjentów ze sklerodermią.<sup>10</sup> Jest ona główną przyczyną śmiertelności wśród chorych na twardzinę układową, odpowiadającą za około 35% zgonów związanych z tą chorobą.<sup>11</sup> Pierwsze objawy twardziny układowej pojawiają się zwykle w młodym wieku,

---

<sup>9</sup> Główne wnioski opracowane przez KnowPR Ewa Godlewska-Sowa w oparciu o wyniki badania jakościowego przeprowadzonego w marcu 2020 r. przez firmę IRCenter (autor Katarzyna Krzywicka-Zdunek) na potrzeby projektu edukacyjnego w obszarze nieswoistych zapaleń jelit „DLA ZAPALEŃCA CZAS MA ZNACZENIE” finansowanego przez Takeda. Wyniki badania dostępne będą od 29.10.2020 na stronach internetowych stowarzyszeń pacjentów zaangażowanych w projekt.

<sup>10</sup> Pulmonary Fibrosis Foundation. Scleroderma-associated interstitial lung disease (SSc-ILD). Dostępne na stronie: [https://www.pulmonaryfibrosis.org/docs/default-source/disease-education-brochures/pf-fact-sheet-series---ssc-ild\\_digital.pdf?sfvrsn=ae99918d\\_2\(link is external\)](https://www.pulmonaryfibrosis.org/docs/default-source/disease-education-brochures/pf-fact-sheet-series---ssc-ild_digital.pdf?sfvrsn=ae99918d_2(link%20is%20external))

<sup>11</sup> Tyndall AJ i wsp. Causes and risk factors for death in systemic sclerosis: a study from the EULAR Scleroderma Trials and Research (EUSTAR) database. *Ann Rheum Dis* 2010;69:1809–1815.



między 25. a 55. rokiem życia, a ILD może rozwijać się we wczesnym stadium u pacjentów z SSc – dlatego regularne badania przesiewowe mają kluczowe znaczenie.<sup>12,13</sup>

Nintedanib został zatwierdzony do stosowania przez Komisję Europejską w leczeniu śródmiąższowej choroby płuc związanej z twardziną układową (SSc-ILD) u osób dorosłych w dniu 17 kwietnia 2020 r.<sup>14</sup> Ponieważ jest to pierwsza i jedyna zatwierdzona opcja leczenia dostępna dla chorych na SSc-ILD, rejestracja stanowi przełom w obszarze niezaspokojonych potrzeb zdrowotnych. Nintedanib jest inhibitorem kinazy tyrozynowej działającym na kluczowe receptory w szlakach sygnalizacyjnych, które prowadzą do włóknienia płuc. Lek został już dopuszczony w ponad 75 krajach do leczenia pacjentów z idiopatycznym włóknieniem płuc (IPF) – przewlekłą i ostatecznie śmiertelną chorobą w przebiegu której dochodzi do postępującego pogorszenia czynności płuc. Szacuje się, że ponad 80 tys. osób z IPF otrzymało leczenie nintedanibem – zalecanym do stosowania u pacjentów z IPF przez międzynarodowe wytyczne. Zatwierdzenie leku przez Komisję Europejską w leczeniu śródmiąższowej choroby płuc związanej z twardziną układową opiera się na wynikach SENSICIS – prowadzonego metodą podwójnie ślepej próby badania III fazy z zastosowaniem grupy kontrolnej otrzymującej placebo – w którym oceniano skuteczność i bezpieczeństwo nintedanibu u pacjentów ze śródmiąższową chorobą płuc związaną z twardziną układową (SSc-ILD). Pierwszorzędnym punktem końcowym było roczne tempo pogarszania się natężonej pojemności życiowej (FVC) oceniane w okresie 52 tygodni. Wyniki badania wykazały, że nintedanib spowalnia tempo pogarszania się czynności płuc o 44% (41 ml/rok) w stosunku do placebo, na podstawie wartości FVC mierzonych w okresie 52 tygodni. Ponadto wyniki wykazały, że profil bezpieczeństwa i tolerancji nintedanibu jest podobny do obserwowanego u pacjentów z idiopatycznym włóknieniem płuc (IPF).

### **Stwardnienie rozsiane**

Stwardnienie rozsiane (SM) to choroba o podłożu autoimmunologicznym, której istotą jest wieloogniskowe uszkodzenie ośrodkowego układu nerwowego (OUN). W Polsce łącznie wg szacunków na SM choruje ok. 43-45 tys. osób (chorobowość wynosi ok. 120/100 tys.<sup>15</sup>), a co roku przybywa od 1 500 do 1 750 nowych pacjentów.

SM u każdego pacjenta przebiega inaczej, ale można wyróżnić trzy główne postaci: rzutowo-remisyjna (RRMS), wtórnie postępująca (SPMS) oraz pierwotnie postępująca (PPSM). Postać wtórnie postępująca stwardnienia rozsianego (SPMS) jest konsekwencją postaci rzutowo-remisyjnej. W przypadku SPMS objawy nie ustępują całkowicie w okresach remisji, a jedynie stabilizują się. Rzuty lub aktywne zmiany widoczne w obrazach rezonansu magnetycznego pojawiają się z mniejszą częstotliwością, jednak postęp niepełnosprawności ruchowej połączony z wystąpieniem zaburzeń funkcji poznawczych ma charakter stały.

Z inicjatywy Polskiego Towarzystwa Stwardnienia Rozsianego i Fundacji SM – walcz o siebie, powstał pierwszy w Polsce, oparty na najnowszej wiedzy medycznej, raport poświęcony postaci stwardnienia

<sup>12</sup> Solomon JJ i wsp. European Respiratory Update: Scleroderma lung disease. Eur. Respir. Rev. 2013; 22: 127, 6–19.

<sup>13</sup> Scleroderma Foundation. What is scleroderma? Dostępne na stronie:

[http://www.scleroderma.org/site/PageNavigator/patients\\_what\\_is.html#.V%20hgSaPIViko](http://www.scleroderma.org/site/PageNavigator/patients_what_is.html#.V%20hgSaPIViko) (link is external). Stan na kwiecień 2020 r.

<sup>14</sup> <https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/h979.htm>

<sup>15</sup> Kapica-Topczewska K. et al. Mult Scler Relat Disorder., 2018; 21:51-55

rozszianego (SPMS).<sup>16</sup> Raport przedstawia najważniejsze aspekty postaci wtórnie postępującej stwardnienia rozszianego z perspektywy klinicznej, społeczno-ekonomicznej oraz oczekiwań pacjentów.

Opieka nad chorymi na stwardnienie rozsziane powinna opierać się na dwóch filarach: realnym i szybkim dostępie chorych do diagnozy, a także do modyfikujących chorobę, zalecanych przez europejskie standardy terapii oraz optymalizacji modelu opieki w kierunku jej kompleksowości i koordynacji. Niestety, dostęp do leczenia w Polsce jest stosunkowo późny. Według najnowszych publikacji, mediana czasu od wystąpienia pierwszych objawów choroby do rozpoznania SM wynosi 7,4 miesiąca, a od rozpoznania SM do rozpoczęcia leczenia w ramach programów lekowych 18,5 miesiąca.<sup>17</sup> W sumie czas od pojawienia się pierwszych objawów SM do rozpoczęcia leczenia wynosi średnio w Polsce ok. 26 miesięcy, czyli ponad 2 lata. To obszar wymagający szybkiej poprawy, ponieważ w leczeniu stwardnienia rozszianego odpowiednio wczesne wdrożenie skutecznego leczenia hamuje progresję choroby.<sup>18</sup>

Mimo, że w ostatnich latach dokonał się znaczny postęp, a dostęp do leczenia dla pacjentów ze stwardnieniem rozszianym w Polsce znacznie się polepszył, w praktyce klinicznej okazuje się, że nie wszystkie grupy pacjentów są równie dobrze zaopatrzone. Pacjenci z wtórnie postępującą postacią stwardnienia rozszianego SPMS, to ostatnia grupa chorych z SM, która na chwilę obecną nie ma dostępu do leczenia w Polsce, mimo że istnieje nowoczesna skuteczna terapia dedykowana tej grupie chorych. Refundowane w ramach programów lekowych terapie modyfikujące przebieg choroby w postaci rzutowo-remisyjnej nie wykazują skuteczności u pacjentów z postacią wtórnie postępującą stwardnienia rozszianego (SPMS).<sup>19</sup> Natomiast rozszerzenie programów lekowych o wskazanie SPMS przy użyciu interferonu, leku stosowanego od wielu lat w pierwszej linii RRMS, również nie zaspokoi potrzeb terapeutycznych pacjentów z SPMS, gdyż większość z nich (77,6%) była już tym lekiem leczona.<sup>20</sup> Jedynym dostępnym lekiem o udowodnionej i powszechnie uznanej skuteczności w terapii wtórnie postępującej postaci stwardnienia rozszianego jest siponimod. Siponimod został zarejestrowany w Unii Europejskiej w dniu 13 stycznia 2020 r.<sup>21</sup>, a w dniu 29 października 2020 r. uzyskał pozytywną rekomendację Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.<sup>22</sup>

Siponimod istotnie zmniejsza postęp niepełnosprawności u pacjentów z SPMS (opóźnienie o 4-5 lat wystąpienia pogorszenia deficytu neurologicznego), spowalnia progresję choroby i zapobiega pogorszeniu funkcji poznawczych.<sup>23,24</sup> Na ten przełom, pacjenci z wtórnie postępującą postacią

---

<sup>16</sup> Optymalizacja opieki nad pacjentami z postacią wtórnie postępującą stwardnienia rozszianego (SPMS) w Polsce, Grudzień 2020, dostęp: [www.konferencja-spms.pl/raport.pdf](http://www.konferencja-spms.pl/raport.pdf) ([konferencja-spms.pl](http://www.konferencja-spms.pl))

<sup>17</sup> Kapica-Topczewska K. et al. Clinical and epidemiological characteristics of multiple sclerosis patients receiving disease-modifying treatment in Poland, Polish Journal of Neurology and Neurosurgery, 2020, Volume 54, DOI:10.5603/PJNNS.a2020.002, dostęp: [Clinical and epidemiological characteristics of multiple sclerosis patients receiving disease-modifying treatment in Poland | Kapica-Topczewska | Neurologia i Neurochirurgia Polska \(viamedica.pl\)](https://doi.org/10.5603/PJNNS.a2020.002)

<sup>18</sup> Cerquiera JJ. et al. Time matters in multiple sclerosis: can early treatment and long-term follow-up ensure everyone benefits from the latest advances in multiple sclerosis?, Neurol Neurosurg Psychiatry, 2018; 89:844-840, [Time matters in multiple sclerosis: can early treatment and long-term follow-up ensure everyone benefits from the latest advances in multiple sclerosis? | Journal of Neurology, Neurosurgery & Psychiatry \(bmj.com\)](https://doi.org/10.1136/nnp-2017-024444)

<sup>19</sup> M. Adamczyk-Sowa, prof. dr hab. n. med., Terapie modyfikujące chorobę oraz wskaźniki ich efektywności klinicznej, w: Optymalizacja opieki nad pacjentami z postacią wtórnie postępującą stwardnienia rozszianego (SPMS) w Polsce, Grudzień 2020.

<sup>20</sup> Kapica-Topczewska K et al. The effectiveness of interferon beta versus glatiramer acetate and natalizumab versus fingolimod in a Polish real-world population, October 2019

<sup>21</sup> <https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/h1414.htm>

<sup>22</sup> [https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia\\_mz/2020/205/REK/77\\_2020\\_Mayzent.pdf](https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2020/205/REK/77_2020_Mayzent.pdf)

<sup>23</sup> Kappos L. et. al., Lancet, 2018

<sup>24</sup> D.L. Arnold, et.al. oral presentation etECTRIMS, 2019

stwardnienia rozsianego (SPMS) czekali od lat. Jest to grupa 1 000 - 1 500 pacjentów, która wymaga jak najszybciej dostępu do terapii. Pacjenci z aktywną postacią wtórnie postępującą SM, to często osoby nadal aktywne zawodowo i społecznie, które chciałby jak najdłużej pozostać w pełni samodzielne, zachować sprawność fizyczną i umysłową, pracować i cieszyć się życiem. Każdy miesiąc zwłoki w dostępie do terapii o udowodnionej klinicznie wysokiej skuteczności, to nieodwracalne zmiany i mniejsza szansa na zachowanie sprawności. Na chwilę obecną siponimod jest refundowany w 11 krajach Unii Europejskiej min. w Czechach i Chorwacji. Optymalizacja opieki nad pacjentami z SPMS w tym dostęp do skutecznych nowoczesnych terapii, pozwoli nie tylko na zahamowanie progresji choroby, utrzymanie jak najdłuższej sprawności pacjenta, zachowanie jego samodzielności i aktywności zawodowej, ale również znacznie poprawi jego jakość życia oraz przełoży się na mniejsze koszty dla systemu ubezpieczeń społecznych i ochrony zdrowia w Polsce.

### **Cukrzyca typu 1**

Cukrzyca to grupa chorób metabolicznych charakteryzująca się hiperglikemią wynikającą z defektu wydzielania i/lub działania insuliny. Przewlekła hiperglikemia wiąże się z uszkodzeniem, zaburzeniem czynności i niewydolnością różnych narządów, zwłaszcza oczu, nerek, nerwów, serca i naczyń krwionośnych. Cukrzyca typu 1 jest chorobą autoimmunologiczną, która na skutek zniszczenia komórek  $\beta$  trzustki prowadzi zwykle do bezwzględnego niedoboru insuliny, hormonu peptydowego o działaniu ogólnoustrojowym, niezbędnego do metabolizmu węglowodanów, a także białek i tłuszczów. Typ 1 występuje u 10–20% wszystkich chorych na cukrzycę. Historycznie cukrzyca typu 1 była nazywana „cukrzycą młodzieńczą”, gdyż najczęściej rozpoznaje się ją u dzieci albo młodych dorosłych. Spadek zachorowalności na cukrzycę typu 1 obserwuje się w 3. dekadzie życia, ale może ona wystąpić u osób w każdym wieku. Po 35. r.ż. obserwuje się jednak powolniejszy rozwój choroby, mniej nasilone objawy kliniczne.<sup>25</sup> Chorobowość w Polsce szacuje się na 0,3%. Zapadalność (w przeliczeniu na 100 tys. osób na rok) w Polsce, podobnie, jak w większości krajów, zwiększa się od połowy lat 90-tych. W latach 1989-2004 zapadalność na cukrzycę typu 1 wynosiła średnio 10,2 i wykazywała wyraźny trend wzrostowy. W Polsce ponad 3 mln osób dorosłych choruje na cukrzycę (około 8% ludności). Na cukrzycę typu 1 choruje ok. 6,4 tys. dzieci w wieku 0-14 lat oraz ok. 180 tys. osób powyżej 14. r.ż.<sup>26</sup> Dobra kontrola glikemii może poprawić rokowanie dzięki zapobieganiu powikłaniom przewlekłym lub hamowaniu ich rozwoju. Zmniejszenie odsetka HbA1c o 1% zmniejszyło ryzyko retinopatii o 45%. Zalecany modelem leczenia jest intensywna funkcjonalna insulinoterapia przy zastosowaniu wielokrotnych, podskórnych dawek insuliny lub ciągłego podskórnego wlewu insuliny (CSII) prowadzonego za pomocą osobistej pompy insulinowej. U chorych na cukrzycę typu 1 preferowane jest stosowanie analogów insuliny ze względu na mniejsze ryzyko hipoglikemii i większy komfort życia.<sup>27</sup> Insulina deglutec została zrefundowana od 1 maja 2019 r. we wskazaniu: Cukrzyca typu 1 u dorosłych; Cukrzyca typu 2 u dorosłych pacjentów leczonych insuliną NPH od co najmniej 6 miesięcy i z HbA1c  $\geq 8\%$  oraz cukrzyca typu 2 u dorosłych pacjentów leczonych insuliną NPH od co najmniej 6 miesięcy i z udokumentowanymi nawracającymi epizodami ciężkiej lub nocnej

<sup>25</sup> AWA AOTMiT. Data ukończenia: 5 lutego 2021 r.

[https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia\\_mz/2020/319/AWA/319\\_OT.4330.19.2020\\_Tresiba\\_BIP.pdf](https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2020/319/AWA/319_OT.4330.19.2020_Tresiba_BIP.pdf)

<sup>26</sup> [https://e2368fae-89c4-422c-b5c6-1d7220f21c82.filesusr.com/ugd/e91ac2\\_fc0a3c8757704a1a86fb820cc28c340a.pdf](https://e2368fae-89c4-422c-b5c6-1d7220f21c82.filesusr.com/ugd/e91ac2_fc0a3c8757704a1a86fb820cc28c340a.pdf)

<sup>27</sup> Zalecenia kliniczne dotyczące postępowania u chorych na cukrzycę 2020, PTD 2020

[https://cukrzyca.info.pl/zalecenia\\_kliniczne/zalecenia\\_kliniczne\\_dotyczace\\_postepowania\\_u\\_chorych\\_na\\_cukrzyce\\_2020](https://cukrzyca.info.pl/zalecenia_kliniczne/zalecenia_kliniczne_dotyczace_postepowania_u_chorych_na_cukrzyce_2020)

hipoglikemii oraz cukrzyca o znanej przyczynie (zgodnie z definicją wg WHO).<sup>28</sup> Wniosek o objęcie refundacją insuliny degludec, poszerzony o populację dzieci i młodzieży, we wskazaniach: cukrzyca typu 1 u dorosłych, młodzieży i dzieci powyżej 1. roku życia; cukrzyca typu 2 u pacjentów leczonych insuliną NPH od co najmniej 6 miesięcy i z HbA1c $\geq$ 8% oraz cukrzyca typu 2 u pacjentów leczonych insuliną NPH od co najmniej 6 miesięcy z udokumentowanymi nawracającymi epizodami ciężkiej lub nocnej hipoglikemii oraz cukrzyca o znanej przyczynie (zgodnie z definicją wg WHO) uzyskał w dniu 12.02.2021 r. pozytywną, bezwarunkową, rekomendację Prezesa AOTMiT.<sup>29</sup>

Od stycznia 2020 r. są również refundowane inkretyny - analogi GLP-1: semaglutyd oraz dulaglutyd. Inkretyny powodują nie tylko zmniejszenie stężenia glukozy we krwi, ale mają też wpływ na zmniejszenie masy ciała i obniżenie ryzyka sercowo-naczyniowego. Cukrzyca typu 2, u pacjentów przed włączeniem insuliny, leczonych co najmniej dwoma doustnymi lekami hipoglikemizującymi od co najmniej 6 miesięcy, z HbA1c  $\geq$  8 %, z otyłością definiowaną jako BMI  $\geq$ 35 kg/m<sup>2</sup> oraz bardzo wysokim ryzykiem sercowo-naczyniowym rozumianym jako: 1) potwierdzona choroba sercowo-naczyniowa, lub 2) uszkodzenie innych narządów objawiające się poprzez: białkomocz lub przerost lewej komory lub retinopatię, lub 3) obecność 2 lub więcej głównych czynników ryzyka spośród wymienionych poniżej: - wiek  $\geq$  55 lat dla mężczyzn,  $\geq$ 60 lat dla kobiet, dyslipidemia, nadciśnienie tętnicze, palenie tytoniu.

Rekomendowane jest obniżenie kryterium refundacyjnego dla BMI do 30 oraz możliwość stosowania GLP-1 razem z insuliną lub zamiast insuliny.

Bardzo obiecujące w terapii cukrzycy typu 1 są badania nad szczepionką hamującą cukrzycę typu 1 z wykorzystaniem limfocytów T-regulatorowych, prowadzone przez konsorcjum naukowe TREG (Prof. Małgorzatę Myśliwiec, Prof. Natalie Marek-Trzonkowską, Prof. Piotra Trzonkowskiego).<sup>30</sup> Cukrzyca typu 1, to choroba autoimmunologiczna, która rozwija się w wyniku zniszczenia przez własny układ odpornościowy pacjenta komórek beta trzustki produkujących insulinę. Znaczny niedobór insuliny prowadzi do rozwoju objawów klinicznych cukrzycy typu 1. Terapia wykorzystuje własne komórki pacjenta do przeciwdziałania temu procesowi. Izoluje się z krwi chorego tzw. limfocyty regulatorowe (Tregs), które potrafią zatrzymać proces niszczenia komórek produkujących insulinę przez układ odpornościowy. Terapia TREG prowadzona jest w Uniwersyteckim Centrum Klinicznym w Gdańsku w modelu „Hospital Exemption”, przy pełnym wsparciu zaplecza szpitalnego wraz z laboratorium o najwyższym stopniu czystości w standardzie GMP. Wytwarzanie Preparatu TREG rozpoczyna się od pobrania próbki krwi żyłnej pacjenta pod opieką lekarza przeprowadzającego terapię. Terapia jest autologiczna, zatem dawca krwi i odbiorca gotowego preparatu, to jedna i ta sama osoba. Komórki nie są poddawane manipulacjom genetycznym, jedynie ich ilość – naturalnie niska lub o niższej aktywności u pacjentów z cukrzycą typu 1 – zostaje pomnożona w warunkach laboratoryjnych, przed ponownym przetoczeniem choremu. W przeciwieństwie do standardowo stosowanych leków immunosupresyjnych, komórki Tregs nie osłabiają ogólnej odporności pacjenta, a u chorych, którzy je otrzymali, nie obserwuje się istotnych działań niepożądanych. Terapia nie regeneruje i nie odnawia

<sup>28</sup> <https://www.gov.pl/web/zdrowie/obwieszczenie-ministra-zdrowia-z-dnia-18-lutego-2021-r-w-sprawie-wykazu-refundowanych-lekow-srodkow-spozywczych-specjalnego-przeznaczenia-zywniowego-oraz-wyrobow-medycznych-na-1-marzec-2021-r>

<sup>29</sup>

[https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia\\_mz/2020/298/REK/Rekomendacja\\_nr%2014\\_2021\\_Ozempic.pdf](https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2020/298/REK/Rekomendacja_nr%2014_2021_Ozempic.pdf)

<sup>30</sup> <http://poltreg.tech/o-nas/zespol/>

komórek beta trzustki, które już zostały zniszczone. Chroni tylko te, które jeszcze pozostały. Najwięcej na terapii komórkami Tregs mogą skorzystać osoby, u których cukrzyca została jak najwcześniej rozpoznana i jest włączona w pierwszych trzech miesiącach od diagnozy. Najlepiej byłoby poddać terapii limfocytami T-regulatorowymi pacjentów będących w trakcie prediabetes, czyli w stanie przedcukrzycowym.<sup>31</sup>

Kontakt: Anna Jasińska – Rzecznik Medycznej Racji Stanu,  
tel. +48 734 439 122,  
e-mail: [jasinska@greencomm.pl](mailto:jasinska@greencomm.pl)

Partnerzy:



---

<sup>31</sup> Treg szansą na pierwszy polski oryginalny lek. Świat Lekarza, 2016 <https://swiatlekarza.pl/treg-szansa-na-pierwszy-polski-oryginalny-lek/>