



Honorowy Patronat Ks. Kardynała Kazimierza Nycza

II Spotkanie Rady Ekspertów ds. Chorób Autoimmunologicznych

30 marca 2023, godz. 11.00 – 14.45

Pałac Staszica, Sala Okrągłego Stołu, Warszawa, ul. Nowy Świat 72
tryb hybrydowy

Informacja prasowa

Rada Ekspertów ds. Chorób Autoimmunologicznych Medycznej Racji Stanu zbiera się po raz drugi w trzy lata po rozpoczęciu pandemii COVID-19.

Choroby autoimmunologiczne to grupa ponad 80 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. Zależy to od tego, jak zaawansowana jest choroba oraz czy dotyczy jednego narządu, czy też jest uogólniona. Konsekwencją wielu z tych chorób jest postępująca niepełnosprawność. Szacuje się, że choroby te dotyczą ok. 3,5 proc. populacji. Dotykają kobiet aż 2-3 razy częściej niż mężczyźni, czyli ok. 75% chorych to kobiety. Cechą chorób autoimmunologicznych jest to, że pojawiają się przed 30. rokiem życia. Wg raportu Parlamentu Europejskiego pt. „Autoimmune Diseases – Modern Diseases” odnotowuje się znaczny wzrost chorób autoimmunologicznych zdiagnozowanych w ciągu ostatniej dekady, spowodowanych czynnikami genetycznymi lub środowiskowymi. Skala problemu zdrowia publicznego jest znacząca, więc lepsze zrozumienie przyczyn tych chorób ma kluczowe znaczenie dla poprawy ich diagnozowania, profilaktyki i leczenia.¹

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 gravis, stwardnienie rozsiane, zespół Guillaina-Barrego oraz ostre rozsiane zapalenie mózgu i rdzenia.

¹ Autoimmune Diseases – Modern Diseases. European Parliament's Committee on Environment, Public Health, and Food Safety. 2017 [https://www.europarl.europa.eu/cmsdata/133620/ENVI%202017-09%20WS%20Autoimmune%20diseases%20%20PE%20614.174%20\(Publication\).pdf](https://www.europarl.europa.eu/cmsdata/133620/ENVI%202017-09%20WS%20Autoimmune%20diseases%20%20PE%20614.174%20(Publication).pdf)

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 należą 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, lewotyrosyna - 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. Wg raportu PhRMA, „Medicines in Development for Autoimmune Diseases” w 2016 r. było ok. 300 opracowywanych nowych leków na choroby autoimmunologiczne w różnych fazach badań klinicznych - w tym 76 nowych leków stosowanych w autoimmunologicznych zapaleniach stawów; 58 leków w nieswoistych zapaleniach jelit; 39 leków w toczeniu; 34 leki w cukrzycy typu 1 i 32 leki w stwardnieniu rozsianym.²

W chorobach autoimmunologicznych 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. Istotny dla chorych na choroby autoimmunologiczne jest czas, który mija od 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 łuszczyca, łuszczycowe zapalenie stawów, reumatoidalne zapalenie stawów czy spondyloartropatie osiowe często borykają się ze stygmatyzacją i wykluczeniem. Choroby autoimmunologiczne to problem nie tylko medyczny, lecz także społeczny. Z racji na postępujący

² <https://catalyst.phrma.org/new-phrma-report-new-medicines-in-development-for-autoimmune-diseases-offer-patients-hope-for-brighter-futures>

przebieg, choroby te nieleczone 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 wysoka 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 swoich ról społecznych. Gospodarce nie opłaca się „tracić” tych obywateli, dlatego ich leczenie powinno być traktowane jako inwestycja. Należy więc na problemy zdrowotne chorych na przewlekłe choroby autoimmunologiczne spojrzeć szerzej, zarówno przez pryzmat wydatków na ich leczenie, jak i korzyści klinicznych i ekonomicznych wynikających z wcześniejszego rozpoczęcia terapii i zahamowania dalszego postępu choroby.

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

Spis treści

Atopowe zapalenie skóry	3
Łuszczyca	4
Reumatoidalne Zapalenie Stawów i Młodzieńcze Idiopatyczne Zapalenie Stawów	5
Stwardnienie rozsiane	7
Miastenia gravis	7
Nieswoiste zapalenia jelit: wrzodziejące zapalenie jelita grubego oraz choroba Leśniowskiego-Crohna	8
Śródmiąższowa choroba płuc związana z twardziną układową	9
Toczeń Rumieniowaty Układowy	9
Cukrzyca typu 1	13

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 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.

Koszty leczenia chorych na AZS są istotne. Na podstawie danych NFZ szacować można, że roczny koszt leczenia jednego chorego wynosił w 2017 roku od 155 PLN do 394 PLN (w zależności od województwa). Wskazane koszty zostały przedstawione z perspektywy NFZ, nie obejmuje ona kosztów ponoszonych przez pacjentów, w tym przykładowo kosztu emolientów, prywatnych konsultacji z lekarzami. Główną kategorię kosztową stanowi ambulatoryjna opieka specjalistyczna, jednak koszt hospitalizacji można uznać za porównywalny. Zgodnie z raportem European Federation of Allergy and Airways (EFA) z 2018 r., jedynie 5% pacjentów z AZS nie ponosi dodatkowych kosztów związanych z chorobą. Średni koszt ponoszony przez pacjenta wynosił aż 927,12 EUR rocznie. W Polsce należy zwrócić uwagę na kolejny problem – związany z dostępem do lekarzy. Do wskazanych kosztów należy zatem dodać koszt wizyt lekarskich finansowanych przez chorych z powodu utrudnionego dostępu do świadczeń ambulatoryjnych finansowanych z budżetu płatnika publicznego. W raporcie oceniającym sytuację chorych na AZS wskazano, że aż 35% badanych korzystało wyłącznie z leczenia prywatnego, zaś 7% z abonamentów lub dodatkowych ubezpieczeń. Leczenie mieszane częściowo na NFZ, a częściowo prywatnie realizowało 40% respondentów. Zaledwie 20% badanych korzystało wyłącznie z opieki finansowanej przez płatnika publicznego.³ W chwili obecnej, dostęp do terapii innowacyjnej mają pacjenci z ciężką postacią choroby, natomiast korzyści kliniczne z terapii mogłoby odnieść również pacjenci z umiarkowaną postacią choroby, gdyby można było zastosować u nich terapię innowacyjną. Najnowszą opcją terapii AZS jest barycytinib, selektywny inhibitor kinaz JAK1 i JAK2. Barycytinib został zarejestrowany w Unii Europejskiej w leczeniu AZS o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego 16 września 2020 r.⁴ Jest to pierwszy celowany lek syntetyczny w formie doustnej, co jest bardzo ważne w dobie pandemii COVID-19 oraz ambulatoryzacji opieki medycznej w Polsce. Jego skuteczność i bezpieczeństwo zostały potwierdzone w badaniach randomizowanych. Od listopada 2022 r. barycytinib i upadacytinib zostały zrefundowane w ramach programu lekowego B.124.LECZENIE CHORYCH Z CIĘŻKĄ POSTACIĄ ATOPOWEGO ZAPALENIA SKÓRY (ICD-10: L20) dla pacjentów od 18. roku życia z ciężką postacią atopowego zapalenia skóry (EASI \geq 20), upadacytinib dla młodzieży w wieku 12-17 lat, a dupilumab dla dzieci w wieku 6-11 lat. Klinicyści i pacjenci wnioskuje o złagodzenie kryteriów programu lekowego o postać umiarkowaną AZS, tak jak to wprowadzono od 1 marca 2023 r. w programie lekowym B.47. LECZENIE UMIARKOWANEJ I CIĘŻKIEJ POSTACI ŁUSZCZYCY PLACKOWATEJ (ICD-10: L40.0).

Łuszczyca

Łuszczyca plackowata, jako przewlekła ogólnoustrojowa choroba zapalna, związana jest z występowaniem chorób współistniejących takich jak: łuszczycowe zapalenie stawów, zespół metaboliczny, otyłość czy depresja. Co ważne, każde zaostrzenie występujące w przebiegu łuszczycy

³ <https://e-medycyna.pl/wp-content/uploads/2021/04/Atopowe-Zapalenie-Skory-Raport.pdf>

⁴ <https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/h1170.htm>

wiąże się u chorych również z pogorszeniem chorób współistniejących. Łuszczyca ma zatem wpływ na cały organizm. Ma też bardzo negatywny wpływ na zdrowie psychiczne pacjentów, ponieważ ze względu na zmiany skórne i niepełnosprawność, która może być wynikiem ŁZS, jest chorobą silnie stygmatyzującą. Choroba u większości pacjentów ma ogromny wpływ na wszystkie obszary życia – od rodzinnego po zawodowe. Jest chorobą, która determinuje całe życie chorego. Ważne zatem, aby w leczeniu łuszczycy lekarze mieli możliwość indywidualizacji terapii i dostosowania jej do potrzeb danego chorego, tak aby w możliwie największym stopniu wyeliminować wpływ choroby na życie pacjenta. Aktualnie w programie lekowym B.47. LECZENIE UMIARKOWANEJ I CIĘŻKIEJ POSTACI ŁUSZCZYCY PLACKOWATEJ (ICD-10: L40.0) refundowanych jest 11 substancji czynnych, a od 1 marca 2023 r. nastąpiły szerokie zmiany realizujące w pełni postulaty klinicystów i pacjentów. Rozszerzono wskazania refundacyjne o umiarkowaną postać łuszczycy plackowatej dla leków dotychczas dostępnych w ciężkiej postaci łuszczycy, zniesiono limit czasu leczenia oraz obniżono wiek leczenia adalimumabem do pacjentów powyżej 4 roku życia i leczenia ustekinumabem, iksekizumabem, sekukinumabem do pacjentów powyżej 6 roku życia. Dodatkowo wprowadzono monitorowanie skuteczności leczenia przez Zespół Koordynacyjny, możliwość przeprowadzenia wizyty w programie w formie zdalnej konsultacji oraz uregulowano sprawę leczenia w warunkach domowych.

Reumatoidalne Zapalenie Stawów i Młodzieńcze Idiopatyczne Zapalenie Stawów

Autorzy raportu pt. „Mapa najgroźniejszych zapalnych chorób reumatycznych. Droga pacjenta od objawów do rozpoznania” sygnalizują, że jeszcze w tym roku – pacjent, którego lekarz po raz pierwszy skieruje do reumatologa z podejrzeniem jednej z 15 zapalnych chorób reumatycznych przebiegających z objawami wczesnego zapaleniem stawów – skorzysta – z „szybkiej ścieżki” realizowanej w ramach kompleksowej opieki. Tym samym pacjent skróci swoją drogę od momentu pojawienia się pierwszych objawów rozpoznania choroby o wiele miesięcy, a niekiedy nawet o kilka do kilkunastu lat. Wśród 15 chorób, które zostały zakwalifikowane do nowego projektu świadczenia zdrowotnego „kompleksowej opieki nad pacjentem z wczesnym zapaleniem stawów KOWZS” należy wymienić: odczynowe zapalenie stawów (zespół Reitera), serododatnie reumatoidalne zapalenie stawów, inne reumatoidalne zapalenie stawów, artropatie łuszczycowe i towarzyszące chorobom jelit, łuszczycę stawową, dnę moczanową, inne zapalenie stawów, guzkowe zapalenie tętnic i chorób pokrewnych, zapalenie skórnomięśniowe, twardzinę układową, tocznia rumieniowatego układowego, inne układowe zajęcia tkanki łącznej, zeszywniające zapalenie stawów kręgosłupa, inne zapalne choroby kręgosłupa i zapalenie mięśni. Na zapalne choroby reumatyczne chorują ludzie młodzi, którzy często łączą pierwsze objawy choroby z niewielkim urazem związanym z ich normalną aktywnością fizyczną, a zapalne bóle kręgosłupa z jego przeciążeniem. W ciągu pierwszych tygodni trwania objawów zapalenia stawów znaczna część chorych nie spełnia kryteriów kwalifikacyjnych i diagnostycznych dla konkretnej choroby reumatycznej. Zapalenie takie określa się jako: wczesne zapalenie stawów, które może rozwinąć się m.in. w reumatoidalne zapalenie stawów (RZS)⁵. Ministerstwo Zdrowia oczekuje, że zmiana pozwoli na szybszą diagnostykę pacjentów, a także poprawi koordynację opieki nad chorymi. Do konsultacji skierowano właśnie projekt rozporządzenia ws. pilotażu. Z szacunków resortu wynika, że z modułu diagnostycznego skorzysta nawet 4,5 tys. pacjentów, natomiast z modułu opieki 2,5 tys. Zmiana spojrzenia na organizację opieki nad chorymi z zapalnymi chorobami reumatycznymi - to główny cel wdrożenia pilotażu kompleksowej opieki specjalistycznej nad pacjentami z wczesnym zapaleniem

⁵ Mapa najgroźniejszych zapalnych chorób reumatycznych. Droga pacjenta od objawów do rozpoznania. Raport opracowany przez Narodowy Instytut Geriatrii, Reumatologii i Rehabilitacji w Warszawie, Konsultanta Krajowego w dziedzinie reumatologii, Fundację Ekspertów dla Zdrowia. Warszawa, 8 lipca 2022 roku

stawów. Pacjenci uczestniczący w pilotażu będą mogli liczyć na trwającą rok opiekę wielospecjalistycznego zespołu. W ramach programu pilotażowego diagnozowani będą wszyscy świadczeniobiorcy z określonym rozpoznaniem ICD–10 oraz z objawami zapalenia stawów. Program pilotażowy KOWZS składa się z dwóch modułów (Moduł I etap diagnostyczny i Moduł II etap kompleksowej opieki). Do modułu opieki kwalifikowani będą pacjenci jedynie z łuszczycowym zapaleniem stawów (ŁZS), zeszywniającym zapaleniem stawów kręgosłupa (ZZSK), reumatoidalnym zapaleniem stawów (RZS) oraz chorzy z spondyloartropatią (SpA). Pozostali chorzy zostaną skierowani na dalszą diagnostykę i leczenie poza programem pilotażowym.⁶

We wszystkich zapalnych chorobach reumatycznych istotne jest jak najwcześniejsze rozpoznanie i włączenie skutecznego leczenia. Zła organizacja opieki nad pacjentem z zapalną chorobą reumatyczną powoduje opóźnienia diagnostyczne.⁷ 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 łuszczycowego zapalenia stawów (ŁZS) - maksymalnie w ciągu 6 miesięcy.⁸ 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 nieleczonego 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 tak istotne było ujednoczenie i uproszczenie zapisów odpowiednich programów lekowych z udostępnieniem podobnych schematów leczenia. Baricytynib, selektywny inhibitor kinaz JAK1 i JAK2 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.⁹ Baricytynib jest refundowany publicznie od 1 września 2019 r. w I linii terapii, a od 1 stycznia 2022 r. w II i kolejnych liniach terapii w ramach programu lekowego B.33. LECZENIE AKTYWNEJ POSTACI REUMATOIDALNEGO ZAPALENIA STAWÓW I MŁODZIEŃCZEGO IDIOPATYCZNEGO ZAPALENIA STAWÓW. Duża aktywność choroby powinna być udokumentowana w trakcie dwóch badań lekarskich w odstępie 1-3 miesięcy. Dużą aktywność choroby stwierdza się, gdy jest spełnione jedno z poniższych kryteriów: wartość DAS 28 – większa niż 5,1 albo wartość DAS – większa niż 3,7 albo wartość SDAI – większa niż 26. Jest kluczowe, aby pacjenci mieli dostęp do innowacyjnych metod leczenia już w niskim stopniu zaawansowania chorób zapalnych stawów. Jest duże ryzyko, że pacjenci z umiarkowaną aktywnością choroby, nieleczeni lekami innowacyjnymi (leki biologiczne oraz leki syntetyczne celowane) w niedługim czasie rozwiną bardziej zaawansowane stadium chorobowe z dużą aktywnością

⁶ <https://cowzdrowiu.pl/aktualnosci/post/pilotaz-opieki-nad-pacjentami-z-zapaleniem-stawow-juz-wkrotce>

⁷ <https://www.mzdrowie.pl/medycyna/reumatologia-raport-otwarcia-i-plany-zmian-systemowych/>

⁸ Wczesna diagnostyka chorób reumatycznych – ocena obecnej sytuacji i rekomendacje zmian. IRGiR, 2014

https://spartanska.pl/wp-content/uploads/raport_wczesna_diagnostyka_ChR.pdf

⁹ https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2017/20170213136870/anx_136870_pl.pdf

choroby. Gdy zastosuje się u nich leczenie innowacyjne możliwe jest zatrzymanie choroby i normalne funkcjonowanie. Dlatego klinicyści i pacjenci wnioskuje o umożliwienie dostępu do tych terapii pacjentów z umiarkowaną aktywnością choroby zapalnej stawów.

Stwardnienie rozsiane

Stwardnienie rozsiane (SM) to jedna z najczęściej występujących w światowej populacji chorób układu immunologicznego, która dotyka ośrodkowego układu nerwowego (czyli mózgu i rdzenia kręgowego). Stwardnienie rozsiane ma trzy główne postaci: rzutowo-remisyjną (ang. relapsing-remitting MS, RRMS), pierwotnie postępującą (ang. primary progressive MS, PPMS) oraz wtórnie postępującą (ang. secondary progressive MS, SPMS). SM charakteryzuje się dużą różnorodnością objawów, u każdej osoby z SM mogą pojawiać się inne z nich, o różnym nasileniu i czasie wystąpienia.¹⁰ W Polsce wg szacunków NFZ na SM choruje ok. 45 tys. osób, a co roku przybywa ok. 2 tys. nowych pacjentów.

W leczeniu pacjentów z SM, czas odgrywa kluczową rolę, dlatego istotne jest zatrzymanie rozwoju choroby przez włączenie skutecznego leczenia jak najszybciej po postawieniu diagnozy. Obecnie w ramach programu lekowego B.29 jest leczonych ok. 20 tys. pacjentów w 129 ośrodkach klinicznych. W programie lekowym B.29.LECZENIE CHORYCH NA STWARDNIENIE ROZSIANE (ICD-10: G35) od 1 listopada 2022 r. jest refundowane publicznie leczenie stwardnienia rozsianego 15 substancjami czynnymi: postać rzutowo - remisyjna (RRMS) w I linii leczenia: interferon beta-1a, interferon beta-1b, peginterferon beta-1a, octan glatirameru, fumaran dimetylu, teryflunomid, ozanimod, ponesimod, ofatumumab; postać rzutowo - remisyjna (RRMS) w II linii leczenia: okrelizumab, fingolimod, natalizumab, alemtuzumab, kladrybina; szybko rozwijająca się, ciężka postać choroby (RES RRMS): fingolimod, natalizumab, alemtuzumab, kladrybina; postać pierwotnie postępująca (PPMS): okrelizumab; postać wtórnie postępująca (SPMS): interferon beta-1b, siponimod. Istnieje potrzeba refundacji publicznej okrelizumabu od I linii leczenia postaci rzutowo - remisyjnej stwardnienia rozsianego (RRMS).

Miastenia gravis

Miastenia gravis jest chorobą autoimmunologiczną części postsynaptycznej złącza nerwowo-mięśniowego, której przebieg kliniczny charakteryzuje duża zmienność objawów. Nasilenie objawów waha się od łagodnych objawów ocznych po zagrażający życiu stan, jakim jest przełom miasteniczny. Najważniejszymi objawami miastenii są osłabienie i męczliwość różnych grup mięśniowych. Z reguły choroba zaczyna się od objawów ocznych, takich jak opadanie powieki lub powiek oraz stałe lub nawracające podwójne widzenie. U ponad połowy pacjentów w okresie od kilku dni do 2 lat od wystąpienia objawów ocznych dochodzi do uogólnienia objawów. Dochodzi wtedy do, zaburzeń mowy, gryzienia i połykania, osłabienia mięśni kończyn górnych i dolnych, osłabienia mięśni oddechowych prowadząc do duszności w związku z wysiłkiem fizyczny, czy nawet do niewydolności oddechowej. Algorytm postępowania terapeutycznego w miastenii nie jest jednoznacznie zdefiniowany, a decyzje terapeutyczne powinny uwzględniać nasilenie objawów, wiek czy inne problemy zdrowotne pacjenta. Aktualnie dostępna w Polsce standardowa terapia obejmująca steroidy, immunosupresanty, czy leki immunomodulujące może nie być wystarczająca do trwałej kontroli objawów choroby, a dodatkowo może wiązać się z obciążającymi działaniami niepożądanymi. Nieprawidłowa aktywacja układu dopełniacza jest jednym z mechanizmów patogenezy u pacjentów z miastenią. U większości pacjentów z MG (ok. 85%) występują przeciwciała przeciw receptorowi acetylocholin (ang. anti-acetylcholine receptor, AChR). Wiązanie przeciwciał anty-AChR prowadzi do aktywacji klasycznej kaskady układu

¹⁰ <https://ptsr.org.pl/strona/4,czym-jest-sm>

dopełniacza, utworzenia kompleksu atakującego błonę (MAC, ang. membranę attack complex), a w konsekwencji zniszczenia błony postsynaptycznej złącza nerwowo-mięśniowego. Rawulizumab to przeciwciało monoklonalne, które w sposób swoisty wiąże się z białkiem C5 dopełniacza, hamując w ten sposób jego rozkład na białko C5a i C5b, zapobiegając utworzeniu kompleksu atakującego błonę, który to u pacjentów z miastenią powstaje na połączeniu nerwowo-mięśniowym i prowadzi do upośledzenia przewodzenia nerwowo-mięśniowego. To pierwszy i jak do tej pory jedyny zarejestrowany przez EMA w 2019 r. długodziałający inhibitor C5, który zapewnia szybką, kompletną i długotrwałą inhibicję układu dopełniacza.¹¹ Rawulizumab wskazany jest do stosowania jako terapia dodatkowa do standardowego leczenia dorosłych pacjentów z uogólnioną miastenią gravis (gMG), u których występują przeciwciała przeciw receptorowi acetylocholinyl. Rawulizumab, dzięki celowanemu mechanizmowi działania i hamowaniu nieprawidłowej aktywności układu dopełniacza, zapewnia wczesne i długotrwałe leczenie gMG anty-AChR bez uciążliwych działań niepożądanych często obserwowanych w przypadku innych metod leczenia. Leczenie rawulizumabem charakteryzuje się przewidywalnym i korzystnym schematem dawkowania. Lek podawany jest w infuzji dożylniej co 8 tygodni w fazie podtrzymującej leczenia, co przekłada się na jedynie 6-7 podań w ciągu roku. Skuteczność i bezpieczeństwo rawulizumabu w leczeniu pacjentów z gMG i anty-AChR oceniana była w ramach wielośrodkowego, randomizowanego, podwójnie zaślepionego badania klinicznego III fazy CHAMPION MG. Dodatkowo długoterminowa skuteczność rawulizumabu została potwierdzona w przedłużonej fazie badania. U pacjentów z gMG wykazano istotną klinicznie poprawę w zakresie objawów miastonii w skali oceny czynności dnia codziennego w miastonii (ang. Myasthenia Gravis Activities of Daily Living, MG-ADL) oraz w ilościowej skali oceny nasilenia klinicznych objawów miastonii (QMG), a także w zakresie jakości życia. Poprawa wyników następowała już po 1 tygodniu od rozpoczęcia leczenia i utrzymywała się w ciągu całego okresu obserwacji. Jednocześnie stosowanie rawulizumabu pozwoliło na ograniczenie stosowania kortykosteroidów u pacjentów z gMG. Terapia rawulizumabem charakteryzowała się także korzystnym profilem bezpieczeństwa. Szybki początek działania leku i długi odstęp pomiędzy kolejnymi dawkami odróżnia rawulizumab od innych terapii stosowanych w leczeniu miastonii. Dla pacjentów z gMG szybka poprawa w zakresie MG-ADL odzwierciedla zdolność do szybkiego odzyskania sprawności w rutynowych czynnościach. Trwała skuteczność rawulizumabu, w tym korzystny wpływ na zmniejszenie częstości występowania pogorszenia stanu klinicznego i stosowania terapii ratunkowej może zmniejszyć obciążenie chorobą. Trwała poprawa kliniczna osiągnięta dzięki stałemu i przewidywalnemu dawkowaniu pomaga radzić sobie z nieprzewidywalnością przewlekłej, zmiennej choroby i obciążeniem związanym z chorobą i może prowadzić do zwiększenia aktywności pacjentów oraz ich opiekunów.

Nieswoiste zapalenia jelit: wrzodziejące zapalenie jelita grubego oraz choroba Leśniowskiego-Crohna

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). 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).¹² Leczenie NZJ zależy od

¹¹ <https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/h1371.htm>

¹² 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

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 (WZIG) lub dwóch lat (Ch L-C). Po upływie tego czasu pacjenci nie mogą kontynuować refundowanego leczenia biologicznego, co niekiedy z upływem czasu 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. Pacjenci i lekarze apelują o wprowadzenie szybszej diagnostyki i włączanie 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.

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.¹³ Jest ona główną przyczyną śmiertelności wśród chorych na twardzinę układową, odpowiadającą za około 35% zgonów związanych z tą chorobą.¹⁴ Od lipca 2022 r. jest refundowana publicznie pierwsza celowana terapia dla pacjentów z chorobą śródmiąższową płuc związaną z twardziną układową - nintedanib w ramach programu lekowego B.135. LECZENIE NINTEDANIBEM CHOROBY ŚRÓDMIĄŻSZOWEJ PŁUC ZWIĄZANEJ Z TWARDZINĄ UKŁADOWĄ (ICD-10: M34, J.99.1).

Toczeń Rumieniowaty Układowy

Toczeń rumieniowaty układowy (TRU) to choroba autoimmunologiczna, która rozwija się w wyniku złożonych zaburzeń układu odpornościowego, prowadząc do przewlekłego stanu zapalnego wielu tkanek i narządów¹⁵. TRU to choroba, w której układ odpornościowy atakuje zdrową tkankę¹⁶. W Europie na TRU choruje około 250 000 osób, większość z nich to kobiety, u których rozpoznanie stawiane jest pomiędzy 15 a 45 rokiem życia¹⁷. Blisko 2/3 zachorowań występuje między 16. a 55. r.ż. Umieralność wśród chorych na TRU jest 3 razy większa niż w populacji ogólnej. Przyczyną zgonu we wczesnym okresie choroby są najczęściej zakażenia oraz ciężkie zmiany narządowe (zajęcie ośrodkowego układu nerwowego, układu sercowo-naczyniowego, ostre toczniowe zapalenie płuc, ciężka nefropatia), a później – powikłania leczenia (zakażenia), następstwa przyspieszonej miażdżycy oraz zakrzepicą. Za mające wpływ na rozwój tocznia uznawane są czynniki: genetyczne, hormonalne, środowiskowe i złożone zaburzenia immunologiczne, w tym wyróżnia się: infekcje wirusowe

¹³ 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 is external))

¹⁴ 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.

¹⁵ Musiał J, Hruby Z. 3. Toczeń rumieniowaty układowy. W: *Interna Musiał 2021a*. VII Choroby reumatyczne. D. Choroby tkanki łącznej. Medycyna Praktyczna Kraków 2021; 2065- 2075.

¹⁶ Bruce IN, et al. Factors associated with damage accrual in patients with systemic lupus erythematosus: results from the systemic lupus international collaborating Clinics (SLICC) inception cohort. *Ann Rheum Dis*. 2015; 74: 1706-1713.

¹⁷ Cornet A, et al. Living with systemic lupus erythematosus in 2020: a European patient survey. *Lupus Sci Med*. 2021; 8: e000469.

(przypisuje się im największe znaczenie), stosowanie leków, promieniowanie słoneczne, styl życia. Objawy ogólne, występujące zwykle u 50-100% chorych, obejmują: osłabienie, męczliwość, stan podgorączkowy lub gorączkę, utratę masy ciała. Rozwojowi TRU sprzyjają także: depresja, niedokrwistość, miopatia spowodowana przewlekłym przyjmowaniem glikokortykosteroidów (GKS) i zakażenia. Najbardziej charakterystyczne/najczęstsze objawy toczenia dotyczą skóry (rumień na twarzy w kształcie motyla, lub rumień pojawiający się na innych częściach ciała, np. pod wpływem słońca) oraz stawów (ból stawów)¹⁸.

Objawy toczenia nie są charakterystyczne, u każdego pacjenta choroba może przebiegać inaczej, dlatego rozpoznanie TRU może trwać długo. Toczeń jest trudny do leczenia z powodu różnorodnego przebiegu¹⁹. Konieczne jest zróżnicowanie objawów TRU od innych jednostek chorobowych, m.in. innych chorób autoimmunologicznych, chorób krwi, zakażeń czy trądziku różowatego (Musiał, 2021). Rozpoznanie TRU powinno być ustalane na podstawie typowych objawów klinicznych oraz wyników badań pomocniczych (zgodnie z kryteriami klasyfikacyjnymi TRU z 2019 r., opracowanymi przez American College of Rheumatology (ACR) i European League Against Rheumatism (EULAR), m.in. badań krwi, celem potwierdzenia obecności przeciwciał ANA (miano przeciwciał przeciwdądrowych > 1:80 w teście na ludzkich komórkach nabłonkowych)²⁰.

Celem leczenia TRU jest kontrola objawów pacjenta i poprawa jakości życia, w tym minimalizacja uszkodzeń narządów oraz ograniczenie śmiertelności²¹. Obecnie w ramach terapii toczenia wykorzystywane są leki przeciwmalaryczne, immunosupresyjne oraz glikokortykosteroidy, których stosowanie wiąże się z ryzykiem występowania poważnych skutków ubocznych. Rozwiązaniem jest zastosowanie leczenia biologicznego – anifrolumabu, w ramach terapii uzupełniającej, które jest jednak wciąż niedostępne dla polskich pacjentów. Standardy opieki nad chorymi z TRU w ciągu ostatnich 60 lat nie uległy bardzo radykalnej zmianie²². Leczenie toczenia, z uwagi na przebieg tej jednostki, ma charakter zindywidualizowany i uwzględnia w dużej mierze zakres i lokalizację zmian²³. Zgodnie z aktualnymi wytycznymi praktyki klinicznej leczenie TRU powinno skutkować remisją lub niską aktywnością choroby, a także zapobiegać jej zaostrzeniom, przy stosowaniu najniższych skutecznych dawek glikokortykosteroidów²⁴. W przypadku stosowania glikokortykosteroidów u około 70% chorych dochodzi do ponownego zaostrzenia choroby, mimo osiągnięcia wstępnego stanu remisji lub małej aktywności choroby²⁵. Stosowanie glikokortykosteroidów prowadzi do uszkodzenia narządów, które są już dotknięte w następstwie toczącej się choroby²⁶. Mimo stosowania dostępnego leczenia, TRU

¹⁸ Musiał J, Hruby Z. 3. Toczeń rumieniowaty układowy. W: Interna Musiał 2021a. VII Choroby reumatyczne. D. Choroby tkanki łącznej. Medycyna Praktyczna Kraków 2021; 2065- 2075.

¹⁹ Dąca A, Bryl E. Toczeń rumieniowaty układowy — kryteria diagnostyczne i kliniczne skale oceny aktywności choroby — rys historyczny. Forum Medycyny Rodzinnej 2013; 7(5): 225-243

²⁰ Aringer M, et al. 2019 European League Against Rheumatism/American College of Rheumatology Classification Criteria for Systemic Lupus Erythematosus. Arthritis Rheumatol. 2019;71(9):1400-1412.

²¹ Kaul A. i wsp. Toczeń rumieniowaty układowy. Nature Reviews Disease Primer, tom 2, czerwiec 2016

²² Dominik Samotij, Leczenie toczenia rumieniowatego układowego — wyzwania i perspektywy na przyszłość. Forum Dermatologicum 2018, tom 4, nr 2, 70–77.

²³ Gordon C, Amisshah-Arthur MB, Gayed M, et al. The British Society for Rheumatology guideline for the management of systemic lupus erythematosus in adults. Rheumatology (Oxford). Jan 1 2018;57(1):e1-e45.

²⁴ Gordon C, Amisshah-Arthur MB, Gayed M, et al. The British Society for Rheumatology guideline for the management of systemic lupus erythematosus in adults. Rheumatology (Oxford). Jan 1 2018;57(1):e1-e45.

²⁵

https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2022/112/AW/112%20AW%20OT.4231.64.2022%20Saphnelo%20APD_REOPTR.pdf

²⁶ Dominik Samotij, Leczenie toczenia rumieniowatego układowego — wyzwania i perspektywy na przyszłość. Forum Dermatologicum 2018, tom 4, nr 2, 70–77.

cehuje wysoki wskaźnik chorobowości, co wpływa negatywnie na jakość życia chorych, a dodatkowo zwiększa wykorzystanie zasobów opieki zdrowotnej²⁷. Istnieje nowoczesne leczenie biologiczne – anifrolumab, możliwe do stosowania w ramach leczenia uzupełniającego (może być dodane do już istniejącego schematu leczenia chorego, pozwalając osiągnąć remisję lub niską aktywność choroby oraz zapobiec zaostrzeniom z użyciem najniższych skutecznych dawek glikokortykosteroidów)²⁸. Anifrolumab jest w pełni ludzkim przeciwciałem monoklonalnym, które wiąże się z podjednostką 1 receptora IFN typu I, blokując aktywność biologiczną IFN typu I²⁹ oraz pierwszym nowym lekiem od ponad 10 lat w terapii toczenia rumieniowatego układuowego. Od lat nie odnotowano żadnego przełomu w leczeniu toczenia, ponieważ nadal w pełni nie rozumiemy patogenezy tej choroby³⁰. W Polsce na ten moment, w odróżnieniu od większości krajów EU, nie ma dostępu do leczenia biologicznego toczenia. W stanowisku Polskiego Towarzystwa Reumatologicznego z dnia 22 czerwca 2022 r. wyrażono nadzieję na objęcie refundacją leczenia anifrolumabem, który stanowi terapię oczekiwaną zarówno przez pacjentów, jak i lekarzy (PTR 2022). Anifrolumab w 2022 r. został zarejestrowany w Unii Europejskiej jako leczenie uzupełniające u dorosłych pacjentów z aktywnym, seropozytywnym toczeniem rumieniowatym układowym o postaci umiarkowanej do ciężkiej, pomimo stosowania standardowego leczenia³¹. W badaniach klinicznych u większej liczby pacjentów otrzymujących anifrolumab odnotowano zmniejszenie ogólnej aktywności choroby w różnych układach narządów i trwałą redukcję dawek doustnych glikokortykosteroidów (GKS) w porównaniu z placebo³². Pośród korzyści, jakie odnoszą pacjenci leczeni anifrolumabem wymienia się: obniżenie aktywności choroby, redukcję liczby zaostrzeń, poprawę jakości życia, poprawę w zakresie układów narządów oraz skóry i stawów. Możliwa jest także redukcja dawki glikokortykosteroidów³³. Aktualnie prowadzone jest postępowanie o objęcie refundacją anifrolumabu w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych z aktywną postacią toczenia rumieniowatego układuowego (TRU, SLE) (ICD-10: M32)”. W Rekomendacji nr 18/2023 z dnia 21 lutego 2023 r. Prezes Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nie rekomenduje objęcia refundacją anifrolumabu we wnioskowanym wskazaniu, co oznacza, że aktualnie pacjenci nie mogą skorzystać z terapii nawet w trybie ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL)³⁴. Ratunkowy dostęp do technologii lekowych (RDTL) to system wydawania indywidualnych zgód na leczenie pacjentów, dla

²⁷ Ibidem

²⁸ Fanouriakis A, Kostopoulou M, Alunno A, Aringer M, Bajema I, Boletis JN, Cervera R, Doria A, Gordon C, Govoni M, Houssiau F, Jayne D, Kouloumas M, Kuhn A, Larsen JL, Lerstrøm K, Moroni G, Mosca M, Schneider M, Smolen JS, Svenungsson E, Tesar V, Tincani A, Troldborg A, van Vollenhoven R, Wenzel J, Bertsias G, Boumpas DT. 2019 update of the EULAR recommendations for the management of systemic lupus erythematosus. *Ann Rheum Dis*. 2019;78(6):736-745.

²⁹ Furie R, et al. Anifrolumab, an Anti-Interferon- α Receptor Monoclonal Antibody, in Moderate-to-Severe Systemic Lupus Erythematosus. *Arthritis Rheumatol*. 2017; 69 (2) :376-386.

³⁰ Dominik Samotij, Leczenie toczenia rumieniowatego układuowego — wyzwania i perspektywy na przyszłość. *Forum Dermatologicum* 2018, tom 4, nr 2, 70–77.

³¹ FDA. Drug Approval Package: SAPHNELO. Dostęp on-line pod adresem:

https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/nda/2021/761123Orig1s000TOC.cfm Data ostatniego dostępu: 23.06.2022 r

³² Morand EF, et al. Trial of Anifrolumab in Active Systemic Lupus Erythematosus. *N Engl J Med*. 2020;382(3):211-221.

Furie R, et al. Type I interferon inhibitor anifrolumab in active systemic lupus erythematosus (TULIP-1): a randomised, controlled, phase 3 trial. *Lancet Rheumatol*. 2019; 1 (4): e208-e219. Furie R, et al. Anifrolumab, an Anti-Interferon- α Receptor Monoclonal Antibody, in Moderate-to-Severe Systemic Lupus Erythematosus. *Arthritis Rheumatol*. 2017; 69 (2) :376-386.

³³ Tanaka Y, Tummala R. *Mod Rheumatol*. 2020;1–12;doi:10.1080/14397595.2020.1812201

Furie RA, et al. *Lancet Rheumatol*. 2019;1:e208-219. Morand EF,

³⁴ Rekomendacja nr 18/2023 z dnia 21 lutego 2023 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie oceny leku Saphnelo (anifrolumab) w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych z aktywną postacią toczenia rumieniowatego układuowego (TRU, SLE) (ICD-10: M32)”, dostęp on-line pod adresem:

https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2022/112/REK/2023%2002%2021%20BP%20RP%20nr%2018_2023%20Saphnelo%20publikacja_BIP%20REOPTR.pdf

których wyczerpano wszystkie dostępne opcje terapeutyczne finansowane ze środków publicznych. Leki finansowane w ramach RDTL są dostępne bezpłatnie dla pacjentów, a ich koszt pokrywa Narodowy Fundusz Zdrowia. Chociaż nie ma listy leków, które można sfinansować w ramach RDTL, Ministerstwo Zdrowia cyklicznie publikuje listę terapii, dla których nie można uzyskać finansowania w tym trybie. Znajdują się na niej leki, dla których w konkretnych wskazaniach: wydano negatywną decyzję w ramach postępowania o objęcie refundacją bądź wydano negatywną rekomendację Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w ramach postępowania o objęcie refundacją³⁵.

Aspekt społeczny i ekonomiczny zasługują na szczególną uwagę, bowiem TRU dotyka głównie kobiet w wieku produkcyjnym i reprodukcyjnym. Co istotne, większość chorych nie podejmuje dalszej edukacji i pracy zawodowej lub jest zmuszona z nich zrezygnować, z uwagi na obniżoną jakość życia i duże nasilenie objawów chorobowych. Dodatkowo, wśród pacjentek z TRU znacznie częściej występują trudności z zajęciem w ciężę oraz jej powikłania. To wszystko przekłada się na obciążenie systemu społeczno-ekonomicznego. Zniesienie uciążliwych objawów chorobowych, możliwość kontynuacji nauki i życia zawodowego są kluczowe dla odciążenia systemu opieki społecznej i poprawy jakości życia pacjentów. Ze względu na charakter choroby oraz zajęcie wielu narządów TRU może wpływać na wszystkie aspekty jakości życia pacjenta³⁶. Przewlekły charakter i ograniczenia wynikające z uszkodzeń narządowych, zmuszają chorych do podejmowania trudnych decyzji życiowych dotyczących pracy zawodowej, planowania potomstwa i zmiany stylu życia. To szczególnie istotne, gdyż większość chorych na TRU to młode kobiety w wieku rozrodczym, dla których plany prokreacyjne są ważnym aspektem życia, mającym również wpływ na decyzję o podejmowanym leczeniu oraz na ich jakość życia³⁷. W badaniu przeprowadzonym wśród chorych na TRU z 35 państw europejskich (w tym z Polski) spośród 1492 respondentów, u których zdiagnozowano TRU przed 25 rokiem życia, ponad połowa (50,7%) zadeklarowała, że TRU wpłynął na przebieg ich studiów. Wśród uczestników, którzy określili swój status zatrudnienia, 57,9% zgłosiło negatywny wpływ TRU na ich karierę zawodową, a 14,7% zadeklarowało, że zaprzestali pracy z powodów medycznych³⁸. W polskiej kohorcie z międzynarodowego badania SESAME dotyczącego epidemiologii TRU w trzech krajach Europy Środkowej (Rumunii, Polsce i na Węgrzech), w którym uwzględniono 269 pacjentów z sześciu polskich ośrodków reumatologicznych wykazano, że jedynie 28,6% pacjentów pozostawało aktywnych zawodowo w pełnym czasie pracy, a około 30% pobierało renty z tytułu niezdolności do pracy³⁹. Progresa TRU łączy się z uszkodzeniem narządów, co w konsekwencji prowadzi do większej liczby hospitalizacji i zwiększenia kosztów opieki zdrowotnej⁴⁰. W badaniu Cornet 2021, 49,7% respondentów wskazywało na średnie do wysokiego obciążenie chorobą w zakresie zdolności do wykonywania normalnych codziennych czynności (tj. nauka, praca, prace domowe, wypoczynek czy udział w życiu rodzinnym), a 1,8% było całkowicie niezdolnymi do ich wykonywania. Prawie 80% (76,1%) ankietowanych stwierdziło, że TRU ma znaczący wpływ na ich życie emocjonalne i seksualne, zwykle

³⁵ <https://alivia.org.pl/wiedza-o-raku/ratunkowy-dostep-do-technologiei-lekowych-rdtl-poradnik-dla-pacjentow/>

³⁶ Zalewska-Puchała J, Nowakowska M, Majda A, Bodys-Cupak I. The quality of life the patients with systemic lupus erythematosus. *Nursing Topics* 2014; 22(2): 202-208.

³⁷ Ibidem

³⁸ Cornet A, Andersen J, Myllys K, Edwards A, Arnaud L. Living with systemic lupus erythematosus in 2020: a European patient survey. *Lupus Sci Med.* 2021;8(1):e000469.

³⁹ Leszczyński P, Majdan M, Kucharz EJ, Sierakowski S, Wiland P, Kisiel B, Dziurda D, Giemza T. Characteristics of Polish patients with systemic lupus erythematosus obtained from the SESAME registry. Activity of the disease, degree of impairment, and availability of social care. *Reumatologia* 2013; 51(5): 332-341.

⁴⁰ Murimi-Worstell IB, Lin DH, Kan H, Tierce J, Wang X, Nab H, Desta B, Alexander GC, Hammond ER. Healthcare Utilization and Costs of Systemic Lupus Erythematosus by Disease Severity in the United States. *J Rheumatol.* 2021;48(3):385-393.

negatywny (38,2%) lub niejednoznaczny (36,2%)⁴¹. Kobiety z TRU często mają trudności z zajściem w ciążę oraz występują u nich poronienia, co może mieć wpływ na planowanie rodziny⁴². Obserwuje się, że ryzyko porodu przedwczesnego i stanu przedrzucawkowego u kobiet w ciąży z SLE jest pięciokrotnie wyższe niż w przypadku populacji ogólnej⁴³. Oszacowanie całkowitych kosztów ponoszonych przez społeczeństwo jest trudne ze względu na strukturę rzeczywistego obciążenia społeczno-ekonomicznego. TRU jest przyczyną uciążliwych objawów i prowadzi do znacznego upośledzenia sprawności chorych, co z kolei przekłada się na przedwczesne zakończenie pracy zarobkowej. Zniesienie uciążliwych objawów chorobowych, możliwość kontynuacji nauki i życia zawodowego są kluczowe dla odciążenia systemu opieki społecznej, a przede wszystkim polepszenia jakości życia pacjentów.

Cukrzyca typu 1

Cukrzyca typu 1 jest chorobą autoimmunologiczną, która na skutek zniszczenia komórek β trzustki prowadzi zwykle do bezwzględnego niedoboru insuliny, hormonu peptydowego o działaniu ogólnoustrojowym, niezbędnego do metabolizmu węglowodanów, a także białek i tłuszczów. Na cukrzycę typu 1 choruje ok. 6,4 tys. dzieci w wieku 0-14 lat oraz ok. 180 tys. osób powyżej 14. r.ż.⁴⁴ Zalecanym 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.⁴⁵ W Polsce dzięki konsekwentnym decyzjom refundacyjnym Ministra Zdrowia oraz aktywności klinicystów i pacjentów, dla chorych na cukrzycę typu 1 refundowane są nowoczesne insuliny, systemy monitorowania glikemii (FGM i CGM) oraz pompy insulinowe (te jeszcze z ograniczeniem do 26 r.ż.).

KONTAKT:

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

Grażyna Mierzejewska - ekspert Medycznej Racji Stanu, tel. 734 437 337, e-mail: mierzejewska@greencomm.pl

SPONSORZY/PARTNERZY:



⁴¹ Cornet A, Andersen J, Myllys K, Edwards A, Arnaud L. Living with systemic lupus erythematosus in 2020: a European patient survey. *Lupus Sci Med.* 2021;8(1):e000469.

⁴² Petrocchi V, Visintini E, De Marchi G, Quartuccio L, Palese A. Patient experiences of systemic lupus erythematosus: Findings from a systematic review, meta-summary and meta-synthesis. *Arthritis Care Res (Hoboken).* 2021 Jun 16. doi: 10.1002/acr.24639. Epub ahead of print.

⁴³ Barnado A, Hubbard J, Green S, Camai A, Wheless L, Osmundson S. Systemic Lupus Erythematosus Delivery Outcomes Are Unchanged Across Three Decades. *ACR Open Rheumatol.* 2022 Jun 6. doi: 10.1002/acr.2.11447. Epub ahead of print.

⁴⁴ https://e2368fae-89c4-422c-b5c6-1d7220f21c82.filesusr.com/ugd/e91ac2_fc0a3c8757704a1a86fb820cc28c340a.pdf

⁴⁵ Zalecenia kliniczne dotyczące postępowania u osób z cukrzycą 2023 Stanowisko Polskiego Towarzystwa Diabetologicznego. <https://ptdiab.pl/zalecenia-ptd/zalecania-aktywni-czlonkowie-2023>