



**RAPORT:
WYZWANIA ZDROWIA
- POCZUCIE
BEZPIECZEŃSTWA
PERSPEKTYWA
2022/2023**

Medyczna Racja Stanu jest think tankiem powstałym z inicjatywy: Instytutu Studiów Politycznych Polskiej Akademii Nauk, Polskiej Unii Onkologii, Kolegium Lekarzy Rodzinnych w Polsce i Green Communication celem łączenia opiniotwórczych osób, środowisk i instytucji wokół wyzwań związanych z kondycją zdrowotną Polaków i wypracowywania zgody politycznej na niezbędne zmiany w systemie ochrony zdrowia.



Warszawa
16 grudnia 2022 r.

Raport pt. Wyzwania zdrowia - poczucie bezpieczeństwa. Perspektywa 2022/2023. Medyczna Racja Stanu. Warszawa, Grudzień 2022.

ISBN: 978-83-965731-3-1

Redakcja naukowa: Dr n. med. Jakub Gierczyński, MBA

Autorzy w kolejności alfabetycznej:

1. Prof. Mariusz Bidziński, Konsultant krajowy w dziedzinie ginekologii onkologicznej
2. Minister Grzegorz Błazewicz, Biuro Rzecznika Praw Pacjenta
3. Prof. Paweł Bogdański, Prezes Polskiego Towarzystwa Leczenia Otyłości
4. Dyrektor Jakub Bydłoń, Dyrektor Departamentu Dialogu Społecznego w Ministerstwie Zdrowia
5. Katarzyna Chmielewska-Wojciechowska, Pacjentka
6. Prof. Marcin Czech, Prezes Polskiego Towarzystwa Farmakoekonomicznego
7. Prof. Leszek Czupryniak, Kierownik Kliniki Diabetologii i Chorób Wewnętrznych Uniwersyteckie Centrum Kliniczne WUM
8. Ksiądz Władysław Duda, Dyrektor Archidiecezjalnego Zespołu Domowej Opieki Paliatywnej
9. Dr Małgorzata Gałązka-Sobotka, Dyrektor Instytutu Zarządzania w Ochronie Zdrowia Uczelni Łazarskiego
10. Prof. Ryszard Gellert, Konsultant krajowy w dziedzinie nefrologii
11. Dr Jakub Gierczyński, Ekspert systemu ochrony zdrowia
12. Prof. Ryszard Grenda, Kierownik Kliniki Nefrologii Transplantacji Nerek i Nadciśnienia Tętniczego Centrum Zdrowia Dziecka
13. Prof. Marek Hus, Kierownik Kliniki Hematoonkologii i Transplantacji Szpiku, UM w Lublinie
14. Prof. Joanna Jędrzejczak, Prezes Polskiego Towarzystwa Epileptologii
15. Dr Maciej Kawecki, Narodowy Instytut Onkologii Państwowy Instytut Badawczy
16. Prof. Paweł Kowal, Poseł, Profesor ISP PAN, polityk i politolog, historyk i publicysta
17. Prof. Brygida Kwiatkowska, Konsultant krajowy w dziedzinie reumatologii
18. Katarzyna Lisowska, Stowarzyszenie Hematoonkologiczni
19. Dr Krzysztof Łanda, Fundacja Watch Health Care
20. Mec. Piotr Mierzejewski, dyrektor Zespołu Prawa Administracyjnego i Gospodarczego, współprzewodniczący Komisji Ekspertów do Spraw Zdrowia, współprzewodniczący Komisji Ekspertów ds. Ochrony Zdrowia Psychicznego przy Rzeczniku Praw Obywatelskich
21. Dyrektor Joanna Parkitna, Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
22. Dyrektor Krystyna Płukis, Dyrektor Szpitala Zachodniego w Grodzisku Mazowieckim
23. Prof. Barbara Radecka, Ordynator Kliniki Onkologii Opolskiego Centrum Onkologii im. prof. Tadeusza Koszarowskiego w Opolu i Uniwersytetu Opolskiego
24. Prof. Konrad Rejda, Prezes Polskiego Towarzystwa Neurologicznego
25. Ilona Roszkowska-Rzemieniecka, Stowarzyszenie Pacjentów z PNH – Jedni na Milion
26. Prof. Piotr Rutkowski, Prezes Polskiego Towarzystwa Onkologicznego, Kierownik Kliniki Nowotworów Tkanek Miękkich, Kości i Czerniaków Narodowego Instytutu Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie – Państwowego Instytutu Badawczego w Warszawie
27. Mec. Grzegorz Rychwalski, Wiceprezes Polskiego Związku Pracodawców Przemysłu Farmaceutycznego
28. Redaktor Iwona Schymalla, Medexpress, Służba Zdrowia
29. Prezes Anna Śliwińska, Polskie Stowarzyszenie Diabetyków
30. Prof. Renata Talar-Wojnarowska, Prezes Polskiego Klubu Trzustkowego
31. Prezes Krystyna Wechmann, Polska Koalicja Pacjentów Onkologicznych
32. Prezes Violetta Zajk, Ogólnopolskie Stowarzyszenie Młodych z Zapalnymi Chorobami Tkanki Łącznej 3majmy się razem
33. Prof. Zbigniew Żuber, Kierownik Katedry Pediatrii i Reumatologii Szpitala dziecięcego Św. Ludwika w Krakowie.

Organizacja Debaty i koordynacja ze strony Medycznej Racji Stanu: Anna Jasińska, Grażyna Mierzejewska.

Wykorzystanie treści raportu pod warunkiem podania źródła: *Raport pt. Wyzwania zdrowia - poczucie bezpieczeństwa. Perspektywa 2022/2023. Medyczna Racja Stanu. Warszawa, Grudzień 2022.*

Spis treści

1. Medyczna Racja Stanu – misja i działania	3
2. Wprowadzenie, Anna Jasińska, Grażyna Mierzejewska, Medyczna Racja Stanu.....	11
3. Stanowiska ekspertów przedstawione w trakcie spotkania.....	15
Redaktor Iwona Schymalla, Medexpress, Służba Zdrowia	15
Dr Janusz Meder, prezes Polskiej Unii Onkologii, Narodowy Instytut Onkologii w Warszawie, MRS...	15
Prof. Paweł Kowal, Poseł, Profesor ISP PAN, polityk i politolog, historyk i publicysta.....	18
Prof. Leszek Czupryniak, Kierownik Kliniki Diabetologii i Chorób Wewnętrznych Uniwersyteckie Centrum Kliniczne WUM	19
Prof. Piotr Rutkowski, Prezes Polskiego Towarzystwa Onkologicznego, Kierownik Kliniki Nowotworów Tkanek Miękkich, Kości i Czerniaków Narodowego Instytutu Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie – Państwowego Instytutu Badawczego w Warszawie	20
Dyrektor Jakub Bydłoń, Dyrektor Departamentu Dialogu Społecznego w Ministerstwie Zdrowia	20
Minister Grzegorz Błażewicz, Biuro Rzecznika Praw Pacjenta	22
Mec. Piotr Mierzejewski, Dyrektor Zespołu Prawa Administracyjnego i Gospodarczego, Współprzewodniczący Komisji Ekspertów do Spraw Zdrowia, Współprzewodniczący Komisji Ekspertów ds. Ochrony Zdrowia Psychicznego przy Rzeczniku Praw Obywatelskich	23
Prezes Krystyna Wechmann, Prezes Polskiej Koalicji Pacjentów Onkologicznych.....	23
Katarzyna Chmielewska-Wojciechowska, Pacjentka.....	25
Katarzyna Lisowska, Stowarzyszenie Hematoonkologiczni.....	26
Prezes Anna Śliwińska, Polskie Stowarzyszenie Diabetyków	26
Ilona Roszkowska-Rzemieniecka, Stowarzyszenie Pacjentów z PNH – Jedni na Milion.....	27
Prezes Violetta Zajk, Ogólnopolskie Stowarzyszenie Młodych z Zapalnymi Chorobami Tkanki Łącznej 3majmy się razem.....	28
Prof. Marek Hus, Kierownik Kliniki Hematoonkologii i Transplantacji Szpiku, UM w Lublinie.....	28
Prof. Zbigniew Żuber, Kierownik Katedry Pediatrii i Reumatologii Szpitala Dziecięcego Św. Ludwika w Krakowie.....	29
Prof. Mariusz Bidziński, Konsultant krajowy w dziedzinie ginekologii onkologicznej	30
Prof. Barbara Radecka, Ordynator Kliniki Onkologii Opolskiego Centrum Onkologii im. prof. Tadeusza Koszarowskiego w Opolu i Uniwersytetu Opolskiego	32
Dr Maciej Kawecki, Narodowy Instytut Onkologii Państwowy Instytut Badawczy	33
Prof. Renata Talar-Wojnarowska, Prezes Polskiego Klubu Trzustkowego	34

Prof. Konrad Rejda, Prezes Polskiego Towarzystwa Neurologicznego.....	34
Prof. Joanna Jędrzejczak, Prezes Polskiego Towarzystwa Epileptologii.....	35
Prof. Ryszard Gellert, Konsultant krajowy w dziedzinie nefrologii	37
Prof. Ryszard Grenda, Kierownik Kliniki Nefrologii Transplantacji Nerek i Nadciśnienia Tętniczego Centrum Zdrowia Dziecka	38
Prof. Paweł Bogdański, Prezes Polskiego Towarzystwa Leczenia Otyłości.....	39
Prof. Brygida Kwiatkowska, Konsultant krajowy w dziedzinie reumatologii	40
Mec. Grzegorz Rychwalski, Wiceprezes Polskiego Związku Pracodawców Przemysłu Farmaceutycznego	41
Prof. Marcin Czech, Prezes Polskiego Towarzystwa Farmakoeconomicznego	42
Dr Krzysztof Łanda, Fundacja Watch Health Care	42
Dyrektor Joanna Parkitna, Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji	44
Ksiądz Władysław Duda, Dyrektor Archidiecezjalnego Zespołu Domowej Opieki Paliatywnej	45
Dr Małgorzata Gałązka-Sobotka, Dyrektor Instytutu Zarządzania w Ochronie Zdrowia Uczelni Łazarskiego	45
Dyrektor Krystyna Płukis, Dyrektor Szpitala Zachodniego w Grodzisku Mazowieckim	47
Dr Jakub Gierczyński, Ekspert systemu ochrony zdrowia	47
4. Wnioski i rekomendacje	48
5. Kluczowe informacje przy gotowane na debatę przez Medyczną Rację Stanu z zakresu wyzwań zdrowia i poczucia bezpieczeństwa pacjenta.....	51
Onkologia.....	51
Irynotekan liposomowy w terapii raka trzustki.....	51
Abemacyklid w leczeniu wczesnej postaci raka piersi.....	52
Pembrolizumab w leczeniu wczesnego, potrójnie ujemnego raka piersi wysokiego ryzyka	55
Trastuzumab derukstekan w leczeniu HER2-dodatniego raka piersi.....	56
Cukrzyca	57
Semaglutyd w terapii cukrzycy typu 2.....	57
Otyłość.....	58
Program pilotażowy w zakresie kompleksowej opieki specjalistycznej nad pacjentami leczonymi z powodu otyłości olbrzymiej KOS-BAR.....	58
Neurologia	58
Cenobamat w terapii padaczki lekoopornej.....	58

Nefrologia.....	60
Dapagliflozyna w terapii przewlekłej choroby nerek	60
Choroby rzadkie.....	60
Rawulizumab – pierwszy długodziałający inhibitor C5 układu dopełniacza w leczeniu nocnej napadowej hemoglobinurii (PNH) i atypowego zespołu hemolityczno-mocznicowego (aHUS)...	60
Idursulfaza w terapii zespołu Hunter’a.....	62
Chirurgia	64
Zabieg rekonstrukcji zwieraczy w terapii nietrzymania gazów i stolca, jako powikłania porodu u kobiet.....	64
Bezpieczeństwo lekowe w Polsce	65
6. Tezy dla Zdrowia.....	66
7. Siedem Zasad Doktora Janusza Medera - jak zadbać o wzajemne dobre relacje z pacjentem.....	69

1. Medyczna Racja Stanu – misja i działania

Medyczna Racja Stanu (MRS) jest *think tankiem* powstałym w 2016 r. z inicjatywy: Instytutu Studiów Politycznych Polskiej Akademii Nauk, Polskiej Unii Onkologii, Kolegium Lekarzy Rodzinnych i Green Communication celem łączenia opiniotwórczych osób, środowisk i instytucji wokół wyzwań związanych z kondycją zdrowotną Polaków i wypracowywania zgody politycznej na niezbędne zmiany w systemie ochrony zdrowia. Honorowym patronem MRS jest Ks. Kardynał Kazimierz Nycz.

Dr hab. n. społ. Paweł Kowal, profesor ISP PAN, polityk i politolog, historyk i publicysta

Jako współtwórca Medycznej Racji Stanu bardzo cieszę się z faktu, że ochrona zdrowia stała się jednym z głównych tematów kampanii politycznej, dlatego że w demokratycznych społeczeństwach to jest najlepszy sposób, żeby załatwić jakąś sprawę. Bo niezależnie od wyniku wyborów - każdy będzie musiał coś z tym zrobić. Ochrona zdrowia musi skoncentrować na sobie uwagę szerszych grup społecznych, a także polityków. A to jest najważniejsze, bo na końcu to politycy decydują. O to nam chodziło, by zainteresować polityków i to wszystkich partii. Zrozumiałem, że jeżeli tym tematem będą zajmowali się tylko eksperci od ochrony zdrowia, lekarze, nawet menadżerowie ochrony zdrowia, to zawsze temat ten będzie pozostawał w zamkniętym kręgu, ważnym, ale jednak zamkniętym kręgu specjalistów, i że trzeba rozmawiać o tym inaczej, prostszym językiem, zrozumiałem dla ludzi, którzy na co dzień nie zajmują się ochroną zdrowia, nie leczą, nie kierują szpitalami, ale którym zależy, bo widzą, że jest to najważniejszy program społeczny. I moim zdaniem, jedynym sposobem, by rozwiązać nabrzmiały problem społeczny, jest otwarcie go na inne środowiska, tak żeby zainteresować nim osoby, którym wcześniej nawet do głowy nie przyszłoby zajmować się tym tematem.



Dr n. med. Janusz Meder, Prezes Polskiej Unii Onkologii, Przewodniczący Komisji Bioetycznej Narodowego Instytutu Onkologii w Warszawie

Będąc współzałożycielem Medycznej Racji Stanu mam marzenie, aby zdrowie zakotwiczyło się na stałe w polskiej polityce, bo jest jedną z najważniejszych spraw dla Polaków. Regulamin Sejmu powinien zawierać zapis o corocznym exposé premiera, które będzie poświęcone kwestii szeroko pojętej polityki społecznej. Mogło by być wygłaszane w Światowym Dniu Chorego - 11 lutego. Miałoby się odnosić także do aktualnych wyzwań zdrowotnych. Ideą Medycznej Racji Stanu było rozpoczęcie debaty publicznej o ochronie zdrowia.

Debata prowadzącej m.in. do tego, aby polski pacjent miał dostęp do takiego leczenia, jak inni pacjenci w Unii Europejskiej. Miejmy nadzieję, że "Tezy dla Zdrowia" wypracowane przez Medyczną Rację Stanu oraz cykliczne debaty przy okrągłym stole będą wsparciem dla racjonalnej reformy systemu ochrony zdrowia w Polsce.

**Dr n. med. Michał Sutkowski, Specjalista Medycyny Rodzinnej i Chorób Wewnętrznych, Rzecznik Prasowy Kolegium Lekarzy Rodzinnych w Polsce**

Współtworząc ideę i tezy Medycznej Racji Stanu pragnę, aby dzięki konstruktywnej debacie pomiędzy wszystkimi interesariuszami systemowymi sformułować długoletnią wizję polityki zdrowotnej dla Polski. Z punktu widzenia poczucia misji i postawy obywatelskiej wydaje się zasadne, żeby odpowiedzialność państwa w zakresie ochrony zdrowia obywateli była większa. W Polsce wciąż dominuje medycyna naprawcza i nie ma dobrych programów profilaktycznych, co ma również wpływ na usytuowanie lekarza rodzinnego w systemie. Ludzie w pierwszej kolejności zwracają się właśnie do lekarzy rodzinnych, bo do nich właśnie pacjenci mają największe zaufanie, czerpią wiedzę i informacje na temat własnego zdrowia - to najłatwiejszy i najlepszy kontakt ze służbą zdrowia.

**Prof. dr hab. med. Leszek Czupryniak, Kierownik Kliniki Diabetologii i Chorób Wewnętrznych Uniwersyteckie Centrum Kliniczne WUM**

Jako inicjator działalności Medycznej Racji Stanu chciałbym, aby wspólnie zdefiniować optymalny kształt systemu ochrony zdrowia w Polsce. Ochrona zdrowia powinna stanowić taki obszar, którego konieczności rozwoju się nie kwestionuje, bo jest on kluczowy dla każdego obywatela. W tym ujęciu staje się racją stanu, mającą charakter ponadpartyjny, ponad środowiskowy i w jakimś sensie ponadczasowy. Gdybyśmy uznali, że zdrowie ma swoją rację stanu, wówczas zmieniające się ekipy rządowe, bez względu na swoją jakość kompetencyjną czy intelektualną, realizowałyby długofalowy plan rozwoju ochrony zdrowia. Inwestycje w tym obszarze muszą być najwyższej jakości i mieć charakter długofalowy. Na początku tego wieku koncentrowano się na tych dziedzinach medycyny, których reforma przynosi szybko zauważalne zmiany — kardiologia inwazyjna, medycyna ratunkowa. Teraz zaś największym wyzwaniem są choroby przewlekłe, cywilizacyjne, a w ich przypadku horyzont działań i strategii musi znacznie przekraczać cztery lata jednej kadencji parlamentarnej. Nie jest możliwe prowadzenie spójnej i racjonalnej polityki w tym zakresie bez zgody na to, co najważniejsze, czyli właśnie bez podejścia rozumianego jako racja stanu. Mówiąc o medycznej racji stanu, mamy na myśli określenie bardzo konkretnych obszarów, które w przewidywalnej przyszłości, na najbliższe 20-30 lat, będą zawsze rozwijane przez kolejne rządy, bez względu na ich barwy polityczne.



W 2019 r. powołane zostały przy Medycznej Racji Stanu: Rada Ekspertów do spraw Chorób Rzadkich oraz Rada Ekspertów ds. Chorób Metabolicznych i Przeciwdziałania Otyłości. W 2020 r. ukonstytuowała się Rada Ekspertów ds. Onkologii. W 2021 r. powołano Radę Ekspertów ds. Chorób Autoimmunologicznych. W latach 2016-2021 Medyczna Racja Stanu zorganizowała debaty, których celem było stworzenie platformy dialogu „przy okrągłym stole”, zaproponowanie rozwiązań oraz zainicjowanie konkretnych działań w przestrzeni polityki zdrowotnej w Polsce.

5 grudnia 2016 r. „Zdrowie i Bezpieczeństwo Narodowe” – tak jak niebezpieczeństwa zewnętrzne wymagają czujności i gotowości do działania, tak choroby cywilizacyjne wymagają skutecznych działań systemowych prowadzących do ograniczenia zgonów i inwalidztwa Polaków.



29 czerwca 2018 r. „Tezy dla Zdrowia” - prezentacja wypracowanych przez Radę Ekspertów propozycji pilnych rozwiązań systemowych.

17 kwietnia 2019 r.

„Zdrowie - Kapitał Narodu” - potrzeba traktowania nakładów na zdrowie, jako inwestycji, a nie tylko wydatków, szczególnie w odniesieniu do chorób przewlekłych.



10 października 2019 r. „Czas w Onkologii” - apel o świadomość ryzyka nowotworu każdego z obywateli, czujność onkologiczną lekarzy pierwszego kontaktu, szybki dostęp do nowoczesnej diagnostyki i optymalnych metod terapii.

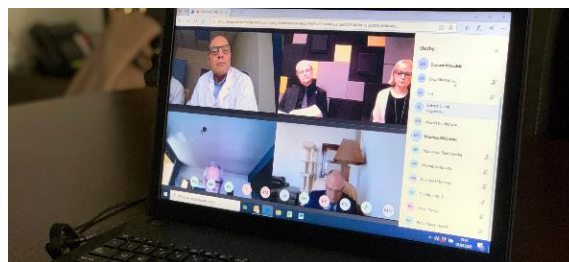
10 lutego 2020 r. „Ja Pacjent” - wymóg orientacji całego systemu ochrony zdrowia i opieki społecznej na potrzeby pacjentów. W kontekście wyzwań epidemiologicznych, klinicznych i ekonomicznych podkreślano potrzebę solidarności z chorymi oraz empatię i uwagę należną, najmniejszym nawet grupom cierpiących.





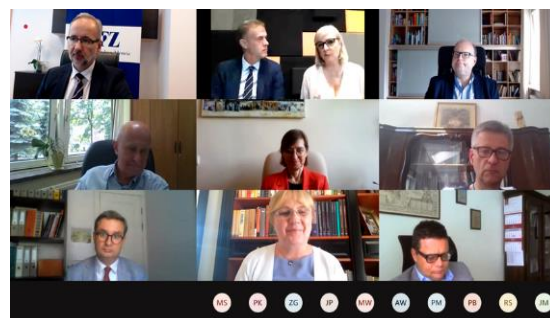
11 grudnia 2019 r. I Spotkanie Rady Ekspertów ds. Chorób Metabolicznych i Przeciwdziałania Otyłości - nadwagę i otyłość ma ponad 20 mln Polaków, na cukrzycę cierpią 3 mln. Najwyższy czas, by wprowadzić system skutecznej profilaktyki i leczenia tych schorzeń w Polsce.

8 kwietnia 2020 r. I Spotkania Online Rady Ekspertów ds. Onkologii Medycznej Racji Stanu – rak nie zna pojęcia kwarantanna. Każdego dnia diagnozuje się w Polsce nowotwór u 450 osób, a umiera z tym rozpoznaniem 270 osób.



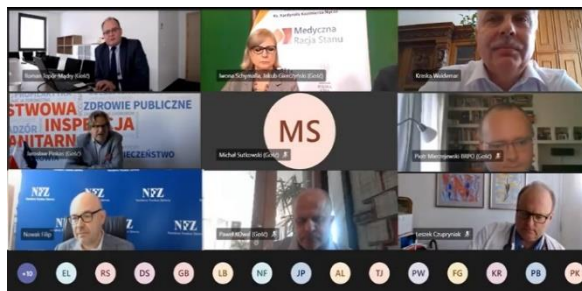
13 maja 2020 r. – III Spotkanie Rady Ekspertów ds. Chorób Rzadkich Medycznej Racji Stanu online – chorzy na choroby rzadkie wymagają szczególnej opieki w dobie pandemii oraz oczekują na Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich.

25 czerwca 2020 r. – II Spotkanie Rady Ekspertów ds. Chorób Metabolicznych i Przeciwdziałania Otyłości Medycznej Racji Stanu online – choroby metaboliczne stają się coraz większym wyzwaniem dla systemów ochrony zdrowia w Polsce i na świecie. Pandemia Covid-19 wpływa na wzrost zapadalności oraz nasila powikłania i złe rokowanie pacjentów.



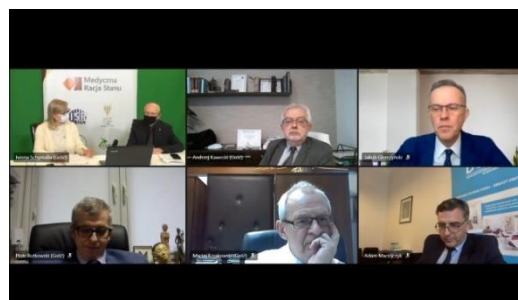
27 lipca 2020 r. – I Spotkanie Rady Ekspertów ds. Chorób Zakaźnych Medycznej Racji Stanu online – choroby zakaźne atakują i od odpowiedzialności obywatelskiej, szczepień profilaktycznych oraz dostępu do skutecznego leczenia zależy zdrowie i życie wszystkich Polaków.

25 września 2020 r. Wartości w medycynie - czego uczy nas światowy kryzys zdrowia - zdrowie jest jedną z największych wartości człowieka i społeczeństwa. Kluczowe jest budowanie świadomości wartości zdrowia oraz inwestycja w system ochrony zdrowia.



7 grudnia 2020 r. Bezpieczeństwo pacjenta onkologicznego: profilaktyka, diagnostyka, terapie, czas odchodzenia - sytuacja epidemiologiczna nie powinna być przesłanką do zahamowania diagnostyki i procesu leczenia nowotworów. Dlatego najwyższym priorytetem jest zachowanie ciągłości wielospecjalistycznego leczenia chorych na raka.

4 lutego 2021 r. Światowy Dzień Walki z Rakiem - Otwarcia dla pacjenta. Otwarcia na pacjenta - debata ekspercko-systemowa odnosząca się do wyzwań onkologii w drugim roku pandemii Covid-19.



IV Spotkanie Rady Ekspertów ds. Chorób Rzadkich

26 lutego 2021 r. IV Spotkanie Online Rady Ekspertów ds. Chorób Rzadkich Medycznej Racji Stanu - skupiło się na sytuacji chorych na choroby rzadkie w czasie pandemii Covid-19 oraz szanse poprawy opieki dzięki wprowadzeniu Narodowego Planu dla Chorób Rzadkich oraz Funduszu Medycznego.

19 marca 2021 r. I Spotkanie Online Rady Ekspertów ds. Chorób Autoimmunologicznych Medycznej Racji Stanu - było poświęcone sytuacji chorych autoimmunologicznych w dobie pandemii Covid-19





„POSTĘP TERAPEUTYCZNY – SZANSE DLA PACJENTÓW. WYZWANIA DLA SYSTEMU. PERSPEKTYWA CZASU PANDEMII”

23 kwietnia 2021 r. Debata Medycznej Rady Stanu Postęp terapeutyczny – szansa dla pacjentów. Wyzwanie dla systemu. Perspektywa czasu pandemii Covid-19 - debata ekspercko-systemowa odnosząca się do nowych możliwości terapeutycznych w medycynie.

17 czerwca 2021 r. I Spotkanie Rady Ekspertów MRS ds. Neurologii i Psychiatrii - debata ekspercko- systemowa odnosząca się do nowych możliwości terapeutycznych oraz poprawy modelu opieki w chorobach mózgu.



Spotkanie Rady Ekspertów ds. Neurologii i Psychiatrii



III Spotkanie Rady Ekspertów ds. Onkologii

10 sierpnia 2021 r. III Spotkanie Rady Ekspertów ds. Onkologii Medycznej Rady Stanu - chorzy na nowotwory złośliwe powinni mieć zagwarantowany dostęp do profilaktyki, diagnostyki, terapii, rehabilitacji oraz opieki paliatywnej

28 września 2021 r. III Spotkanie Rady Ekspertów Medycznej Rady Stanu ds. Chorób sercowo-naczyniowych, Metabolicznych i przeciwdziałania Otyłości - choroby sercowo-naczyniowe, metaboliczne i otyłość stają się coraz większym wyzwaniem dla systemów ochrony zdrowia w Polsce.



Spotkanie Rady ds. Chorób Naczyniowo-Sercowych, Metabolicznych i Przeciwdziałania Otyłości



15 listopada 2021 r. Debata Medycznej Rady Stanu Zdrowie Kobiety - Bezpieczeństwo Rodziny - kobiety stanowią 52% polskiej populacji. Przeciętna długość życia Polki wynosi 82 lata, z czego w zdrowiu 64, a to oznacza 18 lat życia z chorobą. Zaledwie 26% pań po 50 roku życia jest aktywnych zawodowo.

2 grudnia 2021 r. Sprawdzam - Wygrywam. Diagnostyka i leczenie wirusowego zapalenia wątroby typu C w Polsce - wirusowe zapalenie wątroby typu C jest jednym z kluczowych wyzwań polityki zdrowotnej w Polsce. Dzięki szybkiej diagnostyce i skutecznemu leczeniu może być wyeliminowane do 2030 r.



Rada Ekspertów ds. Onkologii Medycznej Racji Stanu

1 lutego 2022 r. IV spotkanie Rady Ekspertów ds. Onkologii Medycznej Racji Stanu - eksperci Medycznej Racji Stanu zastanawiali się, jak poradzić sobie z długim zdrowotnym i finansowym w onkologii, który powstał w wyniku pandemii Covid-19. Spowodowała ona realizację Narodowej Strategii Onkologicznej (NSO), czyli programu na lata 2020-2030, wprowadzającego kompleksowe zmiany w polskiej onkologii.

15 lutego 2022 r. V Spotkanie Rady Ekspertów ds. Chorób Rzadkich Medycznej Racji Stanu - pandemia Covid-19 prowadzi do utrudnionego dostępu chorych na choroby rzadkie do diagnostyki, terapii i rehabilitacji. Rekomendowane jest wdrażanie Planu dla Chorób Rzadkich w życie i rozpoczęcie realizacji założonych celów.



V Spotkanie Rady Ekspertów ds. Chorób Rzadkich Medycznej Racji Stanu



25 marca 2022 r. Debata Medycznej Racji Stanu pt. Zdrowie Kobiety w Obliczu Wyzwań Geopolitycznych - II etap kampanii informacyjno-systemowej „Zdrowie Kobiety – Bezpieczeństwo Rodziny”

30 maja 2022 r. Debata Medycznej Racji Stanu pt. Bezpieczeństwo zdrowotne Polski - nowe wyzwania dla idei solidarności Europy. Zdrowie jest podstawową wartością w życiu ludzi, a prawo do zdrowia należy do katalogu podstawowych praw człowieka. Realizacja tego prawa w stopniu gwarantującym bezpieczeństwo zdrowotne obywateli musi być wspierana skuteczną polityką państwa.





30 maja 2022 r. Debata Medycznej Racji Stanu pt. Aktualne wyzwania w leczeniu nowotworów kobiecych – III etap kampanii informacyjno-systemowej „Zdowie Kobiety – Bezpieczeństwo Rodziny”

22 sierpnia 2022 r. V Spotkanie Rady Ekspertów ds. Onkologii Medycznej Racji Stanu - Chorzy na nowotwory złośliwe powinni mieć zagwarantowany szybki i nielimitowany dostęp do profilaktyki, diagnostyki, terapii, rehabilitacji oraz opieki paliatywnej



22 września 2022 r. Wspólne cele w realizacji idei Europejskiej Unii Zdrowia - I debata ekspercka Medycznej Racji Stanu.

26 września 2022 r. VI Spotkanie Rady Ekspertów ds. Chorób Rzadkich Medycznej Racji Stanu - Rekomendowane jest wdrażanie Planu dla Chorób Rzadkich w życie oraz kontynuacja refundacji publicznej leków stosowanych w chorobach rzadkich.



14 listopada 2022 r. Bezpieczeństwo zdrowotne kobiet w Polsce w ramach kampanii Bezpieczeństwo Rodziny - Zdowie kobiety powinny być traktowane priorytetowo w polskim systemie ochrony zdrowia.

Zapraszamy Państwa do lektury raportu, wszystkich opublikowanych raportów na stronie [www. medycznaracjastanu.pl](http://www.medycznaracjastanu.pl) oraz współpracy w ramach projektów Medycznej Racji Stanu.



Anna Jasińska



Grażyna Mierzejewska

2. Wprowadzenie, Anna Jasińska, Grażyna Mierzejewska, Medyczna Racja Stanu

W czasach pandemii COVID-19 i wojny w Ukrainie mamy do czynienia z zachwianiem poczucia bezpieczeństwa zdrowotnego społeczeństwa Unii Europejskiej – w tym Polski. Wyzwania zdrowia powinny być traktowane priorytetowo we wszystkich aspektach funkcjonowania wspólnoty i poszczególnych krajów. Unia Europejska uzupełnia krajowe polityki zdrowotne, wspierając władze lokalne w krajach UE w osiągnięciu wspólnych celów, łączeniu zasobów i stawianiu czoła wspólnym wyzwaniom. Oprócz tworzenia unijnych przepisów i norm dotyczących produktów i usług zdrowotnych Unia udostępnia również środki finansowe na projekty w dziedzinie zdrowia w całej wspólnocie. Polityka zdrowotna UE kładzie przede wszystkim nacisk na ochronę i poprawę zdrowia, zapewnienie wszystkim Europejczykom równego dostępu do nowoczesnej i skutecznej opieki zdrowotnej oraz koordynację reagowania na wszelkie poważne zagrożenia dla zdrowia, dotyczące więcej niż jednego kraju UE. Zapobieganie chorobom i ich zwalczanie są ważnymi elementami unijnej polityki w dziedzinie zdrowia publicznego. Profilaktyka chorób obejmuje wiele obszarów działania, takich jak szczepienia, zwalczanie oporności na środki przeciwdrobnoustrojowe, walka z rakiem i odpowiedzialne znakowanie środków spożywczych. Działania rządów krajowych w obszarze zdrowia są wspierane przez dwie specjalne agencje. Europejskie Centrum ds. Zapobiegania i Kontroli Chorób ocenia i monitoruje pojawiające się zagrożenia chorobami w celu skoordynowanego reagowania na nie. Natomiast Europejska Agencja Leków zarządza naukową oceną jakości, bezpieczeństwa i skuteczności wszystkich produktów leczniczych w UE. Dlatego też w 2020 r. powstała idea Europejskiej Unii Zdrowotnej, w ramach której 27 państw będzie ze sobą współpracować w celu wykrywania zagrożeń oraz wspólnego przygotowywania się i reagowania na nie. Program UE dla zdrowia na lata 2021–2027 – wizja zdrowszej Unii Europejskiej powstał w odpowiedzi na pandemię COVID-19, w celu zwiększenia gotowości na sytuacje kryzysowe w UE. Pandemia uwypukliła niedoskonałości krajowych systemów opieki zdrowotnej. Program UE dla zdrowia ma pomóc w długoterminowych wyzwaniach w dziedzinie zdrowia przez budowanie silniejszych, odporniejszych i bardziej dostępnych systemów opieki zdrowotnej. Zdrowie jest inwestycją, a Program UE dla zdrowia, dysponujący budżetem w wysokości 5,3 mld euro na lata 2021–2027, jest bezprecedensowym wsparciem finansowym UE w tej dziedzinie. Program UE dla zdrowia to jasny sygnał, że zdrowie publiczne jest priorytetem UE. Program ten jest jednym z głównych instrumentów na drodze do powstania Europejskiej Unii Zdrowotnej, ustanowiony w rozporządzeniu (UE) 2021/522, wnosi unijną wartość dodaną i uzupełnia polityki państw członkowskich, jeśli chodzi o realizację czterech celów ogólnych odpowiadających założeniom programu i dziesięciu celów szczegółowych w poszczególnych obszarach interwencji. Te cele to:

poprawa i wspieranie zdrowia (promocja zdrowia i profilaktyka chorób, zwłaszcza nowotworów oraz międzynarodowe inicjatywy w dziedzinie zdrowia i współpraca międzynarodowa), ochrona ludzi (zapobieganie, gotowość i reagowanie na transgraniczne zagrożenia dla zdrowia, uzupełnianie krajowych zapasów podstawowych produktów niezbędnych w sytuacji kryzysowej, utworzenie rezerwy personelu: medycznego, opieki zdrowotnej, pomocniczego), dostęp do produktów leczniczych, wyrobów medycznych i produktów niezbędnych w sytuacji kryzysowej (zapewnienie dostępności i przystępności cenowej produktów) oraz udoskonalenie systemów ochrony zdrowia (ulepszenie danych dotyczących zdrowia, narzędzi i usług cyfrowych, transformacja cyfrowa opieki zdrowotnej, poprawa dostępu do opieki zdrowotnej, opracowywanie i wdrażanie przepisów UE w dziedzinie zdrowia oraz podejmowanie decyzji w oparciu o dowody zintegrowane działania krajowych systemów opieki zdrowotnej).

Według raportu „Health at a Glance. Europe 2022” w Polsce, w 2021 roku oczekiwana długość życia wyniosła 75,6 lat, czyli o 2,4 lat mniej niż w 2019 roku. W latach 2010-2019 oczekiwana długość życia w chwili narodzin wydłużała się – średnio dla państw UE o 1,5 roku, a w Polsce – 1,6 roku. Oczekiwana długość życia Polaków wyniosła 72,5 lat (w tym 12,2 lat życia z chorobą), a dla Polek 80,7 lat (w tym 16,4 lat życia z chorobą). Średnia europejska oczekiwana długość życia dla mężczyzn wyniosła 77,5 lat (w tym 14 lat życia z chorobą), a dla kobiet 83,2 lat (w tym 18,7 lat życia z chorobą). Kobiety we wszystkich państwach UE żyją dłużej od mężczyzn, jednak w Polsce jest największa różnica na niekorzyść mężczyzn. W Polsce 56 proc. populacji w wieku 65 i więcej lat miało minimum dwie choroby przewlekłe. Stanowi to drugi najgorszy wynik wśród państw UE, a przy tym polscy mężczyźni byli najbardziej obciążeni chorobami w Europie, Polki natomiast zajęły drugie miejsce wśród Europejki. Dodatkowo 27 proc. mieszkańców państw UE (częściej kobiety) w tym wieku zgłaszało przynajmniej jedną dolegliwość, która ogranicza możliwość wykonywania codziennych czynności i zmusza do korzystania z pomocy innych. Również i tutaj oprócz płci ważny był status ekonomiczny osób: ankietowani o niższych dochodach częściej doświadczali trudności z codziennymi czynnościami. W Polsce ograniczenia w codziennych czynnościach zgłosiło 30 proc. ankietowanych.

Pandemia wywarła ogromny wpływ na życie ludzi w Europie i na całym świecie. Doprowadziła do zmniejszenia średniej długości życia w UE o ponad rok w 2021 r. w porównaniu z poziomem sprzed pandemii, co stanowi największy spadek odnotowany w większości państw UE od czasu II wojny światowej. Do końca października 2022 r. w 27 państwach UE odnotowano ponad 1,1 mln zgonów związanych z COVID-19. Liczby te są jednak zaniżone, a statystyki dotyczące nadmiernej śmiertelności wskazują na to, że 300 tys. osób zmarło bezpośrednio lub pośrednio w wyniku pandemii. Ponad 90 proc. zgonów związanych z COVID-19 miało miejsce wśród osób w wieku powyżej 60 lat. Wpływ COVID-19 na śmiertelność był najniższy w krajach nordyckich (Islandia, Norwegia, Dania i Finlandia), a najwyższy w krajach Europy Środkowej i Wschodniej (Bułgaria, Węgry, Chorwacja, Czechy, Słowenia, Łotwa i Rumunia). W Europie COVID-19 odpowiadał za 8 proc. zgonów w 2020 roku i 10 proc. zgonów w 2021 roku. Według danych Ministerstwa Zdrowia od dnia 3 marca 2020 r. do dnia 12 grudnia 2022 r., na COVID-19 zachorowało 6 357 700 i zmarło 118 382 Polaków. Zwiększoną liczbę zgonów w czasie pandemii stanowią nie tylko zmarli w wyniku przebiegu COVID-19, lecz także chorzy na inne choroby, którzy byli zdiagnozowani zbyt późno i mieli ograniczony dostęp do systemu ochrony zdrowia – szczególnie w zakresie chorób układu krążenia i chorób nowotworowych. Wirus SARS-CoV-2 pośrednio przyczynił się także do 200 tys. nadmiarowych zgonów spowodowanych ograniczonym dostępem do opieki zdrowotnej. Najwyższy wśród osób cierpiących na choroby układu krążenia – 16,69%, cukrzycę – 15,88%, choroby: neurologiczne – 14,63%, układu trawiennego – 13,54%, psychiatryczne – 12,69%, płuc – 10,33% oraz nowotwory – 4,7%. Szybkie wprowadzenie

szczepionek w istotny sposób przyczyniło się do zarządzania pandemią: szacuje się, że szczepienia zapobiegły ponad 250 tys. zgonów w całej UE dopiero w 2021 r., chociaż wskaźniki szczepień wśród grup szczególnie wrażliwych utrzymywały się na dość niskim poziomie w niektórych państwach. Wg danych Ministerstwa Zdrowia na 12 grudnia 2022 r. zostało wykonanych 57 708 960 szczepień przeciwko COVID-19 w Polsce. Pierwszą dawkę szczepienia przyjęło 22 832 951 osób, a drugą 19 750 269. Liczba w pełni zaszczepionych wynosi 22 606 368 osób, z czego dawkę przypominającą przyjęło 14 933 139 osób. Wg ECDC pełne szczepienie ma 59,8% Polaków vs. 72,8% EU, przypominające pierwszym boosterem wykonało 33% populacji Polski vs. 54,5% populacji EU, a przypominające drugim boosterem wykonało 7% populacji Polski vs. 12% populacji EU. Szybki rozwój telekonsultacji na początku 2020 r. pomógł utrzymać dostęp do opieki zdrowotnej, w szczególności w przypadku pacjentów cierpiących na choroby przewlekłe. W Polsce wprowadzono e-receptę, e-zlecenie, e-konsultację oraz e-zwolnienie. Jednym z wniosków wyciągniętych z pandemii jest to, że kluczowe znaczenie ma maksymalizacja zdrowia ludzi i minimalizacja ich narażenia na czynniki ryzyka przed kryzysem. Otyłość i schorzenia przewlekłe, takie jak cukrzyca i problemy z układem oddechowym, były ważnymi czynnikami ryzyka poważnych powikłań i zgonów z powodu COVID-19. Zapobieganie behawioralnym i środowiskowym czynnikiem ryzyka może w dużym stopniu przyczynić się do poprawy zdrowia ludzi i ograniczenia częstotliwości występowania chorób przewlekłych i zgonów.

W zakresie chorób układu sercowo-naczyniowego wprowadzany jest Narodowy Program Chorób Układu Krążenia na lata 2020-2030, realizowany jest program KOS-Zawał, pilotaż trombektomii mechanicznej w leczeniu udarów mózgu, a w ostatnich dniach zdecydowano o refundacji telemonitoringu urządzeń wszczepialnych. Celem ograniczenia liczby zgonów i wydłużenia przeżywalności realizowana jest Narodowa Strategia Onkologiczna oraz pilotaż Krajowej Sieci Onkologicznej. W zakresie chorób rzadkich wprowadzany jest w życie Plan dla Chorób Rzadkich. Decyzje Ministra Zdrowia w ostatnich paru latach znacząco poprawiły dostęp refundacyjny chorych na choroby rzadkie do skutecznego leczenia. Pacjenci m.in. z chorobą Fabry'ego, rdzeniowym zanikiem mięśni, nowotworami krwi, akromegalią, chorobą Wilsona, hemofilią A i B u dzieci oraz innymi chorobami otrzymali refundację nowych leków. Wg danych Ministra Zdrowia w 2021 r. refundacją objęto 68 nowych cząsteczko-wskazań, w tym 29 w chorobach rzadkich, a w 2022 r. refundacją objęto 115 nowych cząsteczko-wskazań, w tym 37 w chorobach rzadkich, a 40 w terapii nowotworów. Na realizację Planu dla Chorób Rzadkich przeznaczono ok. 130 mln zł. Ukonstytuowała się Rada ds. Chorób Rzadkich. Jednocześnie wielkie nadzieje chorzy na choroby rzadkie wiążą z Funduszem Medycznym, na który rocznie alokowane jest 4,2 mld zł, w tym na refundacje leków w chorobach rzadkich i onkologicznych 720 mln zł. W ramach Funduszu Medycznego chorzy na choroby rzadkie mogą mieć refundowane terapie w ramach wykazu leków o wysokim stopniu innowacyjności (TLI) oraz wykazu leków o wysokiej wartości klinicznej (TLK). Wykazy tych technologii opracowuje Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, a zatwierdza Minister Zdrowia. Na docenienie zasługuje fakt, że w skład Rady Funduszu Medycznego zostali powołani obok klinicystów i urzędników przedstawiciele dwóch organizacji pacjentów chorujących na choroby rzadkie.

Krytycznym zasobem w polskim systemie ochrony zdrowia są kadry medyczne i pomocnicze (asystentki medyczne, koordynatorzy opieki, koderzy, itp.). Od lat notowany jest niedobór kadr medycznych i brak kadr pomocniczych. Wg GUS w 2020 r. liczba lekarzy pracujących bezpośrednio z pacjentem wyniosła 126 064 osoby, lekarzy dentyków – 33 772, pielęgniarek – 210 923 i położnych – 27 629. Wśród lekarzy uprawnionych do wykonywania zawodu w latach 2019 - 2020 przeciętny wiek mężczyzn wynosił niecałe 53 lata, a kobiet 52 lata. Dominującą grupę – powyżej 21% – stanowiły osoby w wieku 50 - 59 lat. Dominacja osób z tej grupy wieku była większa wśród mężczyzn niż wśród kobiet lekarzy. Wśród

pielęgniarek uprawnionych do wykonywania zawodu w latach 2019 - 2020 przeciętny wiek kobiet wynosił około 52 lat, a mężczyzn powyżej 41 lat. Dominującą grupę, prawie 1/3 ogółu, stanowiły osoby w wieku 50 - 59 lat.

Bardzo ważny jest wzrost finansowania publicznego systemu ochrony zdrowia. Wg deklaracji rządu w 2023 r. na ochronę zdrowia przeznaczone zostanie ok. 160 mld zł, co odpowiada ok. 6% Produktu Krajowego Brutto (PKB). Średnia dla Unii Europejskiej wynosi jednak ok. 9% PKB. Będzie to podwojenie wydatków publicznych w porównaniu do 2016 r. (80 mld zł). Wg GUS wydatki bieżące ogółem (publiczne i prywatne) na ochronę zdrowia w 2021 r. wyniosły 172,9 mld zł (stanowiły 6,6% PKB) i były wyższe niż w 2020 r. o około 21 mld (w odniesieniu do danych wstępnych za 2020 r., które wyniosły 151,9 mld zł). Wzrost wydatków o ok. 14% zaobserwowano zarówno w przypadku wydatków publicznych, jak i wydatków prywatnych. Wydatki publiczne stanowiły 72,3% wydatków bieżących na ochronę zdrowia (w roku 2019 -71,8%) w tym: schematy sektora instytucji rządowych i samorządowych – 9,8% (w roku 2019 – 9,9%), schematy obowiązkowych ubezpieczeń zdrowotnych oparte na składkach - 62,4% (w roku 2019 – 61,8%), wydatki prywatne stanowiły – 27,7% (w roku 2019 – 28,2%), a w tym bezpośrednie wydatki gospodarstw domowych – 19,5% wszystkich wydatków bieżących na ochronę zdrowia (w roku 2019 – 20,1%). W obrębie klasyfikacji funkcji ochrony zdrowia (ICHA-HC), strumień wydatków bieżących na ochronę zdrowia w 2020 r. obejmował m.in.: usługi lecznicze – 58% (w roku 2019 – 58,9%) w tym: leczenie szpitalne – 30,9% (w roku 2019 – 32,3%), leczenie ambulatoryjne – 24,8% (w roku 2019 – 24,7%), artykuły medyczne, m.in. leki – 21,7% (w roku 2019 – 21,8%), długoterminową opiekę zdrowotną – 8,3% (w roku 2019 – 6,7%) oraz usługi rehabilitacyjne – 4,2% (w roku 2019 – 4,5%). W przypadku świadczeniodawców (klasyfikacja HP), największy strumień środków z tytułu poniesionych wydatków w 2020 r., trafił m.in. do: szpitali – 40,4% kwoty wydatków bieżących na ochronę zdrowia (w roku 2019 – 41,7%), w tym do szpitali ogólnych – 30,5% (w roku 2019 – 31,2%), placówek ambulatoryjnej opieki zdrowotnej – 25,8% (w roku 2019 – 24,9%), sprzedawców detalicznych i innych dostawców dóbr medycznych – 21,3% (w roku 2019 – 21,4%), w tym w większości do aptek, którym przekazano ponad 18,6% ogółu środków (w roku 2019 – 19,1%).

Bez Państwa nie byłoby Medycznej Racji Stanu. Razem, od 6-ciu lat wspólnie wypracowujemy wnioski i rekomendacje dla decydentów. To, że decydenci przyjmują nasze zaproszenia, że są z nami politycy, że są z nami prawnicy, ekonomiści, powoduje że pokazujemy zjawiska szerzej. Staramy się stwarzać większe pole do obserwacji i do działań naprawczych. Za nami trudny rok wojny i pandemii, a kolejny rok może być jeszcze trudniejszy, bo do tych dwóch problemów dołączy się kryzys ekonomiczny. W 2022 r. MRS przygotowała siedem Debat oraz cztery Rady Ekspertów. Prowadziliśmy i prowadzimy dwie kampanie. Pierwsza, to „Zdrowie Kobiety – Bezpieczeństwo Rodziny”, którą rozpoczęliśmy 2 lata temu i nabrała dużej aktualności. Druga, to Europejska Unia Zdrowia. We wrześniu 2022 r. spotkaliśmy się z przedstawicielami Komisji Europejskiej, a dzięki staraniem profesora Pawła Kowala powstał Parlamentarny Zespół ds. Europejskiej Unii Zdrowia. To, o co wciąż zabiegamy to „Godzina dla Zdrowia”.

Sytuacja, w jakiej jesteśmy teraz, ze względu na zdrowotny dług pocovidowy, ale również wojnę za naszymi granicami nie wygląda ciekawie. Wg deklaracji rządu w 2023 r. na ochronę zdrowia mamy przeznaczyć 6 proc. PKB, ale średnia dla Unii Europejskiej wynosi 10 proc. W działaniach Medycznej Racji Stanu chcemy współpracować z Komisją Europejską, dlatego obserwujemy co dzieje się w ramach UE i widzimy że ostatnio odbyły się bardzo ciekawe inicjatywy. Na przykład: zalecenie Rady Europy obliguje państwa członkowskie do rozważenia przeprowadzenia badań przesiewowych nie tylko w raku

piersi, ale w raku płuca, gruczołu krokowego, żołądka, sutka oraz szyjki macicy. W Polsce jest to szczególnie ważne, bo odnotowujemy nadumieralność, jeśli chodzi o nowotwory szyjki macicy i jelita grubego. Wojna na Ukrainie powoduje powstawanie kolejnych dokumentów edytowanych przez Komisję Europejską, takie jak opracowany przez Urząd ds. Gotowości i Reagowania na stany zagrożenia zdrowia dokument definiujący trzy kategorie zagrożenia: patogeny z wysokim potencjałem pandemicznym, czyli te atakujące głównie układ oddechowy, zagrożenie chemiczne, radiologiczne i niestety nuklearne oraz antybiotykooporność, którą eksperci coraz częściej nazywają cichą pandemią.

Dziękując Państwu za współpracę w 2022 r. liczymy na dalsze wsparcie i działania w 2023 r.

3. Stanowiska ekspertów przedstawione w trakcie spotkania

W trakcie wirtualnej debaty wypowiedzieli się eksperci kliniczni, urzędnicy, politycy i eksperci systemowi. Poniżej przedstawiono stanowiska ekspertów w kolejności ich wypowiedzi.

Redaktor Iwona Schymalla, Medexpress, Służba Zdrowia

Szanowni Państwo rozpoczynamy posiedzenie Medycznej Racji Stanu. Debata dotyczy tematu: Wyzwań zdrowia - poczucia bezpieczeństwa oraz Perspektywy 2022/2023. Spotkanie będzie siłą rzeczy podsumowaniem mijającego 2022 r. Będziemy mówili o tym co udało się zrealizować jeśli chodzi o zapewnienie bezpieczeństwa zdrowotnego pacjentów w Polsce, ale też będziemy mówili o wyzwaniach na 2023 r., o tym na co czekają pacjenci w zakresie refundacji leków i wyrobów oraz jakich rozwiązań systemowych oczekują.



Dr Janusz Meder, prezes Polskiej Unii Onkologii, Narodowy Instytut Onkologii w Warszawie, MRS

Jesteśmy w bardzo dobrym punkcie, ponieważ posiadamy obecnie wielki potencjał systemowy stworzony przez decydentów o najwyższej randze w Państwie. Jesteśmy w trakcie realizacji Narodowej Strategii Onkologicznej, a w drugim kwartale 2023 r. będzie wdrażana Krajowa Sieć Onkologiczna. W rozwój tej infrastruktury są zaangażowani wybitni eksperci kliniczni i systemowi, którzy wyznaczyli kierunki, za którymi teraz podążamy. Jesteśmy bardzo wdzięczni ministerstwu zdrowia za to, że w ostatnich trzech latach radykalnie uległ poprawie dostęp do nowoczesnych i bardziej skutecznych procedur diagnostyczno-leczniczych. Są to m. in. nowe refundacje programów terapeutycznych dotyczących leków ukierunkowanych na cele molekularne i w szerokim zakresie nowoczesnej immunoterapii. Bardzo byśmy chcieli, żeby jak najszybciej był zapewniony równy dostęp do diagnostyki molekularno-genetycznej, której przeprowadzenie warunkuje możliwość zakwalifikowania chorych do tych terapii. Motywem przewodnim dzisiejszego podsumowania za ten rok powinien być taki przekaz, dla każdego chorego w Polsce: „Twoje leczenie wkrótce nie będzie zależało od kodu pocztowego twojego miejsca zamieszkania, ale od wyznaczonego dla ciebie kodu genetyczno-molekularnego, do czego będziesz mieć powszechny dostęp w szpitalach Krajowej Sieci Onkologicznej”. Jeśli tego nie zrealizujemy w szybkim tempie, to niestety nie poprawimy wyników leczenia chorych na nowotwory w naszym kraju, które mimo znaczącej poprawy w ciągu



ostatnich 15-20 lat nadal są gorsze o 10-15 punktów procentowych w porównaniu do większości krajów w Unii Europejskiej. Jeśli nie będzie możliwości powszechnego stosowania nowoczesnych terapii to niestety, nie zrealizujemy założeń Narodowej Strategii Onkologicznej. Apelujemy także od wielu lat do decydentów, o jak najszybsze wdrożenie „Godziny dla zdrowia” w szkołach raz w tygodniu. Czekamy na populacyjny program - szczepień dla nastolatków przeciwko wirusowi HPV. Z tym łączy się nie tylko możliwość wyeliminowania w przyszłości raka szyjki macicy, ale też innych nowotworów HPV-zależnych. Australia, która ma już ponad dziesięcioletnie doświadczenie w wyszczepianiu dziewcząt i chłopców bliska już jest uzyskania takiego efektu. Tak jak namawiam wszystkich, żeby zachowywali czujność onkologiczną i byli niepokornymi pacjentami, nie dali się zbyć w placówkach służby zdrowia, tak samo zachęcam wszystkich współpracowników Medycznej Racji Stanu, żeby nie zaprzestać wspólnej działalności, bo pacjent jest jeden, niezależnie od tego, jaką ma chorobę. Myślę, że Medyczna Racja Stanu jest takim papierkiem lakmusowym zjednoczenia wszystkich sił zmierzających do poprawy systemu ochrony zdrowia w Polsce. Jeżeli tylko będziemy umieli wykorzystać potencjał systemowy, jaki w tej chwili istnieje, a patrzę tutaj szczególnie na Europejską Unię Zdrowia i Europejski Plan Walki z Rakiem, to nasze aktywne działania muszą przynieść osiągnięcie zamierzonych celów zapisanych w 2016 roku przez ekspertów MRS w „Tezach dla Zdrowia”. Światowa Organizacja Zdrowia już po raz drugi z rzędu, z okazji obchodów Światowego Dnia Walki z Rakiem (co ma także przełożenie na inne choroby cywilizacyjne) postuluje walkę z nierównościami w zdrowiu. Jest jeszcze drugi postulat, który wychodzi z USA i z Unii Europejskiej, żeby iść za przykładem Stanów Zjednoczonych. W 2016 r., czyli wtedy, kiedy powstała Medyczna Racja Stanu, ogłoszono w USA prezydencki dekret „Cancer Moonshot” – na zasadzie porównania niezbędnych nakładów finansowych przeznaczanych na walkę z rakiem do tych związanych z wysłaniem człowieka na księżyc. Przeznaczono na ten 7-letni program 1,8 miliarda dolarów amerykańskich. W tej chwili jest już ostatni rok realizacji tego projektu, ale będzie on dalej kontynuowany, tak aby osiągnąć postawiony na początku cel zmniejszenia o 50% zgonów z powodu chorób nowotworowych w najbliższych 25 latach. Apel ten jest skierowany do wszystkich przywódców krajów całego świata o połączenie wysiłków ponad granicami państw i kontynentów i aby przyłączyć się do tego przedsięwzięcia stosownie do posiadanych sił i środków, realizując wieloletnie narodowe programy walki z rakiem. Takim wspólnym działaniem może być na przykład w Unii Europejskiej wspólny zakup leków, które są wysoko kosztowe, stwarzając odpowiednią platformę prawną i legislacyjną w tym zakresie, dążąc do uzyskania równego dostępu do nowoczesnej opieki onkologicznej na tym samym poziomie we wszystkich krajach Unii. Jest wiele innych możliwości działania w ten sposób. Zamierzeniem Medycznej Racji Stanu, w związku z obchodami Światowego Dnia Walki z Rakiem, który przypada 4 lutego 2023 r., jest organizacja konferencji okrągłego stołu, na którą mam nadzieję, że przyjmie nasze zaproszenie Prezydent Rzeczypospolitej Polskiej i inni najważniejsi decydenci w kraju. Chcemy zdecydowanie zaapelować o energiczne działanie najwyższych władz państwowych, żeby rzeczywiście również było polskie wydanie „Cancer Moonshot”. Mam nadzieję, że nie pozostanie to bez odpowiedzi. Również zaprosiliśmy Ambasadora Stanów Zjednoczonych w Polsce, żeby naświetlił nam aktualną sytuację, jak realizacja tego programu wygląda w USA. Będziemy mieli również kontakty z Unią Europejską, która wspomże nas w tych działaniach. Apelujemy do naszych decydentów, żeby każdy pacjent onkologiczny w Polsce miał równy dostęp do najlepszej diagnozy i leczenia na poziomie europejskim. Muszą za tym pójść odpowiednie środki finansowe.

Dr Michał Sutkowski, Specjalista Medycyny Rodzinnej i Chorób Wewnętrznych, Rzecznik Prasowy Kolegium Lekarzy Rodzinnych w Polsce



Odniosę się dzisiaj konkretnie do dwóch kwestii: Programu Profilaktyka 40+ i sytuacji z HCV. Jeśli chodzi o profilaktykę 40+ w mojej ocenie i w ocenie pacjentów to jest bardzo dobry projekt.

Projekt edukacyjny, powszechny, łatwo dostępny i stworzony dla potrzeb pacjentów. Program ten pomaga pacjentowi, ale także pomaga podstawowej opiece zdrowotnej (POZ). W zasadzie nie ma kłopotów w realizacji tego programu. Można tylko żałować, że jest mało rozpropagowany. Tutaj wielka rola Internetu i profesjonalistów medycznych. Program Profilaktyka 40+, jak teleporada pierwszego kontaktu, jak internetowe konto pacjenta jest mało zauważalny przez pacjentów, stąd stosunkowo małe rozpoznanie tego programu, który miejmy nadzieję będzie kontynuowany możliwie jak najdłużej. Powinniśmy sobie zdawać z tego sprawę, że każdy profesjonalista medyczny, jeżeli by zapamiętał nr telefonu: 22 735 39 53, albo powiedział wejdź na swoje IKP, jeżeli wiesz, jak się posługiwać narzędziem e-zdrowie, byłoby doskonale. To już byłby duży plus. Dużo osób skorzystało, dużo korzysta, chcielibyśmy aby program trwał jak najdłużej. Jeszcze raz powtórzę - służy pacjentom i służy lekarzowi rodzinnemu. Jeśli chodzi o wirusowe zapalenie wątroby typu C (HCV), w Polsce jest prowadzone doskonałe leczenie w ramach programu lekowego, ale nie mamy diagnozowanych pacjentów, którzy mają przewlekłe WZW typu C i powinni być leczeni w tym programie. Dlatego, na wiosnę 2022 r. odbyło się posiedzenie Narodowej Rady Rozwoju ds. Ochrony Zdrowia przy Prezydencie RP, w którym Rada jednoznacznie opowiedziała się za Narodowym Programem Eradykacji HCV. Mamy nadzieję że do tego tematu wrócimy, po załatwieniu bieżących spraw związanych z wojną na Ukrainie, z pracami legislacyjnymi dotyczącymi Funduszu Medycznego, opieką koordynowaną, czy Centrum Zdrowia 70+. Trzeba dodać, że został dokonany krok we właściwą stronę. Od 1 lipca 2022 r. w badaniach diagnostycznych, które może zlecić lekarz POZ znalazły się badania przeciwciał HCV.

Czy jest szansa, żeby w 2023 r. wizja holistycznej opieki nad pacjentem przez lekarza rodzinnego, mogła być rzeczywiście realizowana? POZ wydaje się najlepszym miejscem do prowadzenia holistycznej, kompleksowej i skoordynowanej opieki zdrowotnej, ale lekarz rodzinny dzisiaj nie może być organizatorem całego systemu opieki zdrowotnej dla pacjenta. Powinniśmy wrócić do bardzo konstruktywnych rozmów całego środowiska na temat szczegółowych rozwiązań. Siła tkwi w dialogu. Natomiast póki co, ta opieka holistyczna jest dla 70 przychodni na 6 900 przychodni podstawowej opieki zdrowotnej, więc trudno uznać to za coś, co jest obecnie, ma charakter przełomowy. Uważam, że ten dialog będzie kontynuowany. Wyrazem tego jest, osoba Pani Konsultant Krajowej w dziedzinie medycyny rodzinnej, która została Pełnomocnikiem Ministra Zdrowia ds. wdrożenia opieki koordynowanej w POZ. Opieka koordynowana w POZ została wprowadzona 1 października 2022. Ma to być nowy standard w podstawowej opiece zdrowotnej. Idea opieki koordynowanej bazuje na założeniu, że w POZ odbywa się koordynacja całego procesu leczenia. W jej ramach będzie można wykonać badania, a leczenie oparte będzie na indywidualnym planie. Zakłada się utworzenie funkcji koordynatora POZ, który zadba m.in. o lepszą komunikację na linii lekarz – pacjent, szczegółowo poinformuje pacjenta o kolejnych etapach leczenia, będzie współpracował z osobami, udzielającymi świadczeń medycznych w ramach opieki koordynowanej. Przepisy nie wymagają, aby była to osoba nowo zatrudniona. Zadania koordynatora może realizować personel, który już pracuje w poradni. Nowe zadania dla koordynatora są odrębnie wycenione i dodatkowo finansowane przez

NFZ – poza tzw. stawką kapitacyjną. Lekarz POZ otrzymuje środki na koordynację w formie budżetu powierzonego. Ten model rozliczania części świadczeń w POZ zaczął funkcjonować już w lipcu 2022.

***Prof. Paweł Kowal, Poseł, Profesor ISP PAN, polityk i politolog,
historyk i publicysta***

W 2022 r. powołaliśmy Zespół Parlamentarny ds. Europejskiej Unii Zdrowia oraz zaplanowaliśmy jego działania na 2023 r. Myślę, że będą to, co najmniej cztery duże merytoryczne spotkania z Medyczną Racją Stanu i dodatkowa ekspertyza zamówiona na potrzeby prac tego Zespołu. W naszej dyskusji warto rozważyć trzy główne perspektywy europejskie na ochronę zdrowia. Pierwszą perspektywę europejską, którą widzę, to na pewno kwestia wojny i skutków wojny dla stanu zdrowia w Unii Europejskiej. W tym kierunku będzie kontynuowana dyskusja, zmierzająca do tego, czy Europejska Unia Zdrowia/Europejska Unia Zdrowotna będzie w większym stopniu zinstytucjonalizowana i aby instytucje europejskie miały realne kompetencje do prowadzenia polityki w dziedzinie ochrony zdrowia. Widzimy, że to się już zmienia i mamy prawo uznawać, że to częściowo też przez naszą aktywność. Druga perspektywa, to skutki pandemii COVID-19, bo one wpływają na podejście Unii Europejskiej. Przekonują nas do tego, że postulat, by UE miała więcej kompetencji w dziedzinie ochrony zdrowia ma sens. Zdrowie stanowiło do tej pory tą dziedzinę, gdzie Unia Europejska broniła się przed większą integracją. Państwa broniły się przed integracją. W dziedzinie obronności i bezpieczeństwa udało się więcej uzyskać. Zwykle porównują sobie te dwie dziedziny. W kwestii ochrony zdrowia jest bardzo dużo do zrobienia. Zasadnicze zadanie, to działania, aby mieć wypracowane stanowisko także dla polskich elit politycznych. Czy w ogóle w ramach obecnego traktatu można jeszcze wiele zrobić? Udało się kilka propozycji zebrać, wypełnić lukę, którą można nazwać instytucjonalno-prawną. Jest jeszcze trzecia perspektywa, niedoceniana w dyskusji ze względu na słabe rozumienie polityki unijnej w elitach politycznych Polski. Moim zdaniem to jest Zielony Ład. Poziom dyskusji, czy Zielony Ład tak, czy nie, świadczy trochę o pewnym uwstecznieniu debaty, bo tu nie za bardzo jest o czym dyskutować. Zielony Ład ma takie swoje główne moduły, czyli nową politykę przemysłową, nową politykę energetyczną i energetykę odnawialną, rolnictwo oraz nowe podejście do stylu życia. Jeśli to nałożymy na naszą tematykę, to w gruncie rzeczy możemy wszędzie znaleźć przestrzeń, aby wprowadzać kwestie ochrony zdrowia. Analizując poszczególne elementy polityczne nowego Zielonego Ładu widzę, że one są już przerobione na legislację, czyli są już dokumenty, które to regulują, więc praktycznie wszędzie możemy mówić o kwestiach ochrony zdrowia. W 2023 r. powinniśmy spojrzeć również na te kwestie pod kontem prawno-traktatowym, jak do tej pory się zastanawialiśmy. Czyli jak uplasować europejsko-polską unię zdrowia w polityce europejskiej od strony prawnej i politycznej. Wydaje mi się, że nowy styl życia, profilaktyka, itd., to są kwestie, które w naturalny sposób mieszczą się w tym obszarze. Z mojego punktu widzenia jest trochę dziwną konstrukcją, że poszczególne elementy są przerabiane na legislację, na kwestie finansowe, które mieszczą się zarówno w budżecie, czyli standardowym schemacie finansowania, jak i w Krajowym Planie Odbudowy (KPO). Kwestie zdrowia, szczególnie sprawy dostępności, diagnozy i leczenia, a także sprawy szerszej rozumianej reformy onkologii, wydaje się, że dłużej potrważą, ale pieniądze będą. To jest trzecia pozycja w KPO wg. wielkości wydatków. Tylko, że pierwsza pozycja to energetyka, rozumiana jako transformacja w zieloną energię, więc to ma związek ze zdrowiem. Wydaje mi się, że trochę za bardzo zaniedbaliśmy ten obszar, za bardzo skupiliśmy się na kwestii legislacyjnej, natomiast nie wzięliśmy na warsztat kwestii politycznych wewnątrz Unii i nie wzięliśmy na warsztat wystarczająco kwestii finansowania.



Należy zobaczyć również, jak się mają nasze programy walki z rakiem, do projektów amerykańskich, kanadyjskich i brytyjskich.

Prof. Leszek Czupryniak, Kierownik Kliniki Diabetologii i Chorób Wewnętrznych Uniwersyteckie Centrum Kliniczne WUM



Mam wrażenie, że 2022 r. był bardzo aktywny i pracowity, jeśli chodzi o ilość spotkań i zakres tematów jakie podejmujemy w ramach Medycznej Racji Stanu. To jest walor MRS, że tu się spotykają eksperci kliniczni i systemowi w takim wymiarze i z decydentami i ekonomistami, jak nigdzie indziej. Jako klinicyści spotykamy na swoich zjazdach naukowych i trochę się nawzajem „gościmy interdyscyplinarnie”, ale tak szeroko jak w ramach MRS, nigdzie takiej okazji nie ma. Mijający rok był szczególny dla nas wszystkich, pewnie i w historii kraju, ale i jeśli chodzi o choroby metaboliczne. Pierwszym przełomem była końcówka 2019 r. i początek 2020 r. - tuż przed pandemią, kiedy Pan Minister Maciej Miłkowski podjął kluczową decyzję o pierwszej od dwóch dekad refundacji leków przeciwcukrzycowych. Ona była dosyć wąska, cieszyli się i pacjenci i lekarze. Szczęśliwie to nie był jednorazowy ruch. Ministerstwo w przeciwieństwie do lat ubiegłych umie wyciągać wnioski z dobrych decyzji. Widzi działania leków, ich skuteczność i wie, że możemy lepiej leczyć cukrzycę. Ministerstwo wie, że leki przeciwcukrzycowe mogą leczyć także otyłość, co zmniejsza skalę hospitalizacji, opóźnia wdrażanie insuliny w cukrzycy typu 2, oraz, że ma to wpływ na oszczędności w zakresie ochrony zdrowia. Po trzech latach doświadczeń została podjęta seria dobrych decyzji refundacyjnych. W zasadzie maj, lipiec i wrzesień 2022 r. na kolejnych listach refundacyjnych przyniósł refundację nowych leków i nowych wskazań. Obecnie mamy refundowane dwie grupy nowoczesnych i skutecznych leków: analogi GLP-1 (inkretyny) i Inhibitory SGLT2 (flozyny). Druga połowa 2022 r. jest absolutnie przełomowa dzięki decyzji refundacyjnych o jednej z najszerzych w Europie refundacji systemów ciągłego refundowani glikemii. Od 1 stycznia 2023 r., będzie ona dotyczyła pacjentów, którzy przyjmują inulinę przynajmniej trzy dawki na dobę. To w praktyce oznacza, że wszyscy pacjenci z cukrzycą typu drugiego w Polsce, bez względu na wiek będą mieli znacznie ułatwiony dostęp do monitorowania glikemii, bo cena urządzeń spadnie z prawie 500 zł do 150 zł na miesiąc. Dostęp refundacyjny do systemów monitorowania glikemii zrewolucjonizuje skuteczność leczenia cukrzycy. Ta decyzja, może być najbardziej brzemenna w korzystnych skutkach, jeśli chodzi o diabetologię w ostatnich kilku latach. Myślę, że wielu diabetologów nie zdaje sobie sprawy z tego, jak wprowadzenie refundacji systemów monitorowania glikemii zmieni życie pacjentów oraz ograniczy liczbę powikłań. Cytując Panią Prof. Dorotę Zozulińską-Ziółkiewicz, Prezes Polskiego Towarzystwa Diabetologicznego, która na jednym ze spotkań z Ministrem Zdrowia mówiła, że „jak się podsumuje decyzje, które są podejmowane w diabetologii, to dojdziemy do wniosku, że to, co zostało przez Pana Ministra Macieja Miłkowskiego zrefundowane uratowało więcej żyć ludzkich, niż każdy z nas lekarzy”. I nie ma, według mnie, w tym cienia przesady. Dlatego, 2022 r. i podjęte w nim decyzje refundacyjne w diabetologii długofalowo przyniosą oszczędności budżetowi na ochronę zdrowia.

Jeśli chodzi o podatek cukrowy, to jest to sukces na dwóch poziomach. Po pierwsze, to była szybka decyzja i sprawnie wprowadzona legislacja. Dyskusja na ten temat trwała około roku, co jak na polskie warunki było ekspresowe i to w temacie mało atrakcyjnym, bo dołożenia podatku do jakiś produktów żywieniowych. Realne wpływy były o połowę mniejsze po pierwszym roku (2021 r.), niż się spodziewano. Spodziewano się 3 mld zł wpływów, a wpłynęło ok. 1 mld 550 mln. Mniej więcej takich

kwot należy się spodziewać z wpływu z tego podatku każdego roku. To jest bardzo dużo pieniędzy, jeśli chodzi o możliwości i działania w ochronie zdrowia w ogóle, ale zwłaszcza jeśli chodzi o działania w jakichś wybranych dziedzinach, jak otyłość, czy choroby metaboliczne. To wszystko poszło trochę za szybko. Ministerstwo, tak „między wierszami” się z tym zgadza, tak to odbieramy. Zrealizowano coś, ale zabrakło wykończenia, żeby ktoś powiedział, na co te pieniądze mają konkretnie pójść. Wpływy z podatku cukrowego zostały *de facto* przekazane do NFZ, na zasadzie - niech NFZ te pieniądze wydaje. Nas to trochę martwi, bo mamy obawy, że środki te mogą zginąć w całym morzu potrzeb, ale szczęśliwie Ministerstwo Zdrowia i NFZ zdają sobie sprawę, że tak być nie powinno. Rozwiązanie typu podatek cukrowy ma swój walor polityczny. Kierunek takiej polityki jest słuszny, ale będzie trudno wprowadzać podobne decyzje, jeżeli ta pierwsza zostanie skompromitowana. Na szczęście, niedawno byliśmy z Panią Prezes Anną Śliwińską na spotkaniu w Ministerstwie Zdrowia z przedstawicielami departamentów i wyszliśmy pokrzepieni, bo wygląda na to, że są koncepcje, aby realizować wpływy z podatku cukrowego na interwencje w zakresie leczenia otyłości. Te pieniądze już idą na finansowanie systemu opieki nad pacjentem po operacjach bariatrycznych z otyłością olbrzymią (KOS-BAR). My jednak powinniśmy działać dużo wcześniej. Mówimy o „Godzinie dla zdrowia” w szkołach, o edukacji zdrowotnej i o kampaniach budowania świadomości społeczeństwa na temat nadwagi, otyłości i cukrzycy. Bardzo chcemy, aby osoby z nadwagą, otyłością i cukrzycą mogły skorzystać z diagnostyki, porady i leczenia na każdym etapie choroby.

Prof. Piotr Rutkowski, Prezes Polskiego Towarzystwa Onkologicznego, Kierownik Kliniki Nowotworów Tkanek Miękkich, Kości i Czerniaków Narodowego Instytutu Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie – Państwowego Instytutu Badawczego w Warszawie



Narodowa Strategia Onkologiczna jest wdrażana i realizowana w granicach 66-68 proc., czyli mniej więcej w 2/3. Jest to między innymi modyfikacja profilaktyki chorób odczynowych, czy wprowadzenie finansowania ze środków publicznych programów opieki nad rodzinami wysokiego ryzyka onkologicznego dziedzicznie uwarunkowanego. Zaczynają się działania, co do finansowania narzędzi motywacyjnych do zespołów POZ. Na razie dotyczy to chorób układu krążenia, a onkologia będzie następną podpisaną umową. Na dzień dzisiejszy zostało podpisane ok. 100 umów na realizację kolonoskopii przesiewowej. Zaczęła się kampania promocyjno-informacyjna wśród studentów medycyny dotycząca wyboru dziedzin onkologicznych, jako przyszłych specjalizacji. Zaczęły się szkolenia dla personelu pielęgniarskiego i położnych w zakresie opieki nad chorymi na nowotwory. Został wprowadzony częściowo postulat „godziny dla zdrowia” w zakres godzin wychowawczych. Zmienione zostały standardy żywienia zbiorowego dzieci i młodzieży. Zaczęły się prace i to jest zadanie na przyszły rok, abyśmy mieli alternatywne formy komunikacji z obywatelami, co do profilaktyki z wykorzystaniem m.in. internetowego konta pacjenta. Uważam, że jest to kluczowe i zaangażowanie Centrum E-Zdrowie jest niezwykle ważne. Przebiega kontrola jakości badań mammograficznych oraz zamiana mammografów na mammografy cyfrowe – już w granicach 90 proc. i to jest bardzo dobry wynik. W zakresie nauki i innowacji powstają Centra Badań Klinicznych przy onkologicznych ośrodkach akademickich. Istotnie zwiększono liczbę klinicznych badań niekomercyjnych w dziedzinie onkologii. W tej chwili w Sejmie toczą się prace dotyczące Ustawy o Badaniach Klinicznych. Prowadzone są prace legislacyjne nad wdrożeniem Krajowej Sieci Onkologicznej. Wytyczne kliniczne w zakresie onkologii

są przygotowane w ponad 60 proc. i zostały już przekazane do AOTMiT. Jesteśmy po części przetargu na Narodowy Portal Onkologiczny, który będzie gotowy w 2023 r. Jeśli chodzi o harmonogram na 2023 r. to mamy 62 zadania - przede wszystkim wdrożenie KSO, wycena świadczeń w zakresie patomorfologii, uprządkowanie diagnostyki molekularnej, test FIT w badaniach przesiewowych w kierunku raka jelita grubego, wprowadzenie *Cancer Units* oraz szczepienia przeciwko HPV.

Dyrektor Jakub Bydłoń, Dyrektor Departamentu Dialogu Społecznego w Ministerstwie Zdrowia

Pod koniec 2021 r. Pan Adam Niedzielski Minister Zdrowia skierował do organizacji pacjentów prośbę, aby wspólnie z Departamentem Dialogu Społecznego została wypracowana formuła współpracy o charakterze stałym. Założeniem było, aby w formule tej sami pacjenci mogli określać i kierować oczekiwania do administracji rządowej, szczególnie do Ministra Zdrowia. Kluczową decyzją Ministra Zdrowia było powołanie Zespołu składającego się z organizacji pacjentów w celu wypracowania założeń do strategii współpracy Ministerstwa Zdrowia z organizacjami pacjentów. Zespół, po dokonaniu przeglądu dotychczasowych form współpracy z organizacjami pacjentów, w oparciu o cele ustawy z dnia 24 kwietnia 2003 r. o działalności pożytku publicznego i o wolontariacie, przygotował strategię współpracy Ministerstwa Zdrowia z organizacjami pacjentów. W ramach tej strategii zostały opracowane rekomendacje dla Ministra Zdrowia, w tym oczekiwania organizacji pacjentów wobec stworzenia stałego forum współpracy. Na kanwie tego projektu została wypracowana i powołana zarządzeniem z 16 marca 2022 r. Rada Organizacji Pacjentów przy ministrze właściwym do spraw zdrowia. Założeniem było powołanie gremium składającego się z przedstawicieli 15 organizacji pacjentów, które odbywać będzie cykliczne spotkania. Na etapie powoływania Rady przyjęto, że spotkania Rady odbywać się będą co najmniej raz na kwartał - w rzeczywistości odbyło się już szesnaście takich posiedzeń, czyli spotkania Rady odbywały się raz na 2 tygodnie. Zainteresowanie członkostwem w Radzie było bardzo duże, bo już na etapie tworzenia Rady zgłosiło się wiele organizacji, które chciały mieć swoich przedstawicieli w Radzie. Minister Zdrowia zgodnie z zarządzeniem spośród tych kandydatów wybrał 15 osób, które w tej Radzie zasiadają. Głównymi zadaniami Rady są prace związane z koordynacją organizacji pacjentów, ale z drugiej strony - i to jest dla nas bardzo ważne - opiniowanie projektów aktów prawnych i innych dokumentów rządowych w ramach prac legislacyjnych. Do tej pory Rada wypracowała siedem stanowisk w tematyce istotnej dla pacjentów. Rada podjęła również współpracę z innymi gremiami angażującymi organizacje pacjentów, w tym przede wszystkim z Radą przy Rzeczniku Praw Pacjenta oraz przy Narodowym Funduszu Zdrowia. Podkreślenia wymaga, że w Radzie nie zasiadają przedstawiciele Ministra Zdrowia. Przedstawiciele resortu zdrowia stanowią tylko obsługę administracyjną Rady, natomiast członkami Rady są wyłącznie przedstawiciele organizacji pacjentów, którzy w sposób autonomiczny decydują o tematyce spotkań oraz wskazują i zapraszają gości odpowiednio do tematu posiedzenia. Rolą Ministerstwa Zdrowia jest zapewnienie udziału w posiedzeniach ekspertów głównie w celu omówienia projektowanych aktów prawnych, natomiast tematyka spotkań oraz ostateczny kształt agendy należy wyłącznie do członków Rady. Z obserwacji wynika, że wypracowany sposób postępowania spełnia oczekiwania członków Rady dlatego mamy nadzieję, że w 2023 r. współpraca z Radą będzie się jeszcze bardziej rozwijała.

Minister Grzegorz Błazewicz, Biuro Rzecznika Praw Pacjenta

Z perspektywy Rzecznika Praw Pacjenta kwestia poczucia bezpieczeństwa pacjenta opiera się na bezpieczeństwie obiektywnym i subiektywnym. Jeżeli chodzi o obiektywne bezpieczeństwo pacjenta, tutaj podstawowym aspektem jest realizacja prawa pacjenta do świadczeń zdrowotnych. Jeżeli chodzi o subiektywne poczucie bezpieczeństwa, to na czoło wysuwają się takie prawa jak: prawo do informacji, do dokumentacji medycznej czy do intymności i godności. W zakresie podstawowej opieki zdrowotnej pacjent/rodzic będzie czuł się bezpiecznie wtedy, kiedy dzwoniąc do POZ z gorączką dziecka 40 stopni dowie się, że zostanie ono zbadane przez lekarza, lekarza pediatrę w dniu zgłoszenia. To nie jest tak, że do Rzecznika Praw Pacjenta wpływają wszystkie sygnały niezadowolenia. My jesteśmy jedynie soczewką skupiającą przykładowe problemy pacjentów i ich postulaty - działamy na próbie badawczej. Nasze opinie, stanowiska, powstają po analizie sygnałów indywidualnych, analizie raportów i przekazów medialnych. Jeżeli chodzi o ambulatoryjną opiekę specjalistyczną, gdzie to poczucie bezpieczeństwa jest zagrożone? Myślę, że pacjent, który ma wstępną, niekorzystną diagnozę lub podejrzenie choroby musi czekać kilka, kilkanaście miesięcy na wizytę u specjalisty. Myślę, że to nie jest sytuacja komfortowa i oczekiwana zarówno przez pacjenta, jak i system ochrony zdrowia. Przytoczę przykład dotyczący szpitalnictwa (...), kiedy młoda pacjentka z podejrzeniem nowotworu piersi zgłasza się do szpitala i ma pobieraną jedną biopsję, a potem drugą biopsję - tak się składa, że wynik biopsji w jednym szpitalu wskazuje na nowotwór złośliwy, a w drugim podmiocie jest to zmiana niegroźna. Ta rozbieżność pojawia się przy jednej biopsji, przy drugiej biopsji, w sytuacji, kiedy pacjentka dąży do tego, żeby dwóch patomorfologów porozmawiało, skonsultowało się i doszło do porozumienia w zakresie tych rozbieżnych wyników. Wydaje mi się, że to nie jest sytuacja oczekiwana. Myślę, że inicjatywa zmierzająca do szybkiej, właściwej, sprawnej diagnostyki powinna leżeć po stronie podmiotów leczniczych, a nie powinna to być inicjatywa pacjenta, który motywuje podmioty lecznicze do tego, żeby jak najszybciej doprowadzić do postawienia konkretnej diagnozy. W pierwszym i drugim przypadku, jeśli chodzi o POZ i AOS, to są przypadki bardziej ogólne, powtarzalne. Jeśli chodzi o szpitalnictwo, to ja się pokusiłem o konkretny przykład. Wydaje mi się, że o bezpieczeństwie pacjenta możemy mówić, kiedy zapewnimy pacjentowi dostęp do świadczeń zdrowotnych – łatwo dostępnych, kompleksowych i wysokiej jakości. Pacjent wtedy będzie się czuł bezpiecznie. Jest mi bardzo miło w imieniu swoim, w imieniu Rzecznika Praw Pacjenta, że zostaliśmy zaangażowani w prace Medycznej Racji Stanu. W ramach naszej działalności i analiz często słyszymy, że całe zło leży po stronie niewłaściwie finansowanego, niewydolnego systemu ochrony zdrowia. Wydaje się, że nie do końca tak jest. Chcąc być uczciwym, należy wskazać, że finansowanie systemu ochrony zdrowia jest coraz lepsze. Nie znam żadnego przedstawiciela systemu ochrony zdrowia w Europie, czy na świecie, który by potwierdził, że jego system ochrony zdrowia jest właściwie finansowany, bo wiadomo, że zawsze wydaje się, że tych środków możemy mieć więcej. Dlatego powinniśmy postawić wyżej poprzeczkę, jeśli chodzi o zarządzanie podmiotami leczniczymi. Bo mamy taką sytuację, że jeden POZ świetnie sobie radzi, przy takiej samej stawce kapitałowej, a drugi POZ nie może zatrudnić dodatkowej rejestratorki, nie może zatrudnić dodatkowego lekarza. Reasumując, wydaje się, że nie powinniśmy większości niepowodzeń, które się pojawiają zrzucić na karb złego, niewydolnego systemu ochrony zdrowia, bo tak jak mówię, tych pieniędzy jest coraz więcej. Natomiast powinniśmy coraz więcej wymagać od menadżerów zarządzających podmiotami leczniczymi. To jest nasze przesłanie, od Rzecznika Praw Pacjenta na 2023 r. Ze strony Rzecznika Praw Pacjenta deklaruję,



że tak jak do tej pory, tak w roku 2023 będziemy z całą determinacją wspierać polskich pacjentów. Nie boimy się trudnych zagadnień oraz trudnych tematów. Dziękuję i zapraszam do współpracy.

Mec. Piotr Mierzejewski, Dyrektor Zespołu Prawa Administracyjnego i Gospodarczego, Współprzewodniczący Komisji Ekspertów do Spraw Zdrowia, Współprzewodniczący Komisji Ekspertów ds. Ochrony Zdrowia Psychicznego przy Rzeczniku Praw Obywatelskich



Wyzwań w nadchodzącym 2023 r. bez wątpienia będzie wiele. Wynika to po części z zaistniałych problemów, wdrażanych reform, ale też trudnych do przewidzenia wydarzeń. Tak było z pandemią w 2020 r. i tak jest z wojną w Ukrainie w roku bieżącym. Koncentrując się na sferze faktów pragnę przywołać kilka standardowych problemów stanowiących wyzwania. Pokrótkę skoncentruję się na dwóch spośród nich. Kolejność nie stanowi o istocie i nie jest gradacją poszczególnych problemów. To jest katalog otwarty, a problemy przykładowe. Po pierwsze funkcjonowanie systemu ochrony zdrowia w związku z przejęciem finansowania przez NFZ od Ministerstwa Zdrowia, jak również finansowanie składek na ubezpieczenia zdrowotne od osób których składki opłaca budżet państwa, czyli ustawa o zawodach lekarza dentystry oraz niektórych innych ustaw. Kolejna kwestia, to warunki bytowe w szpitalach w związku z kryzysem. Zaczęły do nas docierać skargi, w których podnoszona jest kwestia dotycząca odpowiedniej temperatury w pomieszczeniach oraz pogorszenie i tak niezbyt dobrego wyżywienia. Kolejna kwestia, z którą zaczynamy się mierzyć, to jest utrudniony dostęp do leków, lub ich brak w związku z przerwaniem łańcuchów dystrybucji z powodu pandemii, wojny w Ukrainie, czy zaprzestania wytwarzania niektórych leków przez producentów. Problem dotyczy m. in. antybiotyków, leków przeciwbólowych, leków przeciwpadaczkowych, przeciwzakrzepowych, hormonalnych oraz insuliny. Tutaj mamy jeszcze kilka innych aspektów, takich jak inflacja i drastyczny wzrost kosztów życia. To może się przekładać na to, że część pacjentów mimo posiadania recepty nie będzie stać na wykupienie leku. Kolejna kwestia, to powodzenie wprowadzanej od nowego roku koordynowanej opieki w podstawowej opiece zdrowotnej (POZ). Następnym wyzwaniem jest reforma orzekania o zdarzeniach medycznych, nieustająca reforma psychiatrii dzieci i młodzieży oraz psychiatrii osób dorosłych. Wreszcie realizacja Programu dla Chorób Rzadkich. Jeśli chodzi o kwestię zmiany modelu finansowania i przekazania znaczącej części zadań z Ministerstwa Zdrowia do NFZ, przypomnieć należy, że ustawa ma na celu, zgodnie z uzasadnieniem projektu dołączonego do prac parlamentarnych optymalizację środków publicznych w ramach łącznej kwoty nakładów w tym obszarze. Ma ona być ustalana corocznie, w myśl przepisów ustawy opieki zdrowotnej finansowanej ze środków publicznych. Uchwalone przepisy przewidują istotne zmiany m.in. przesunięcia finansowania kosztów świadczeń wysoko specjalistycznych, leków dla seniorów po 75 r.ż. oraz finansowanie leków dla kobiet w ciąży z budżetu państwa do NFZ. Obecnie NFZ finansuje je ze środków z dotacji budżetowych. Tego nie będzie, co do zasady. Z budżetu państwa nie będą finansowane składki zdrowotne dla szeregu osób, które nie podlegały ubezpieczeniu zdrowotnemu w takim znaczeniu, że nie były od nich składki odprowadzane. Dotyczy to osób, które pobierają renty, służb mundurowych, bezrobotnych, bez zasiłków, doktorantów oraz studentów. Tu środki będą pochodziły z NFZ. Z NFZ będą pochodziły również środki na zakup szczepionek w zakresie programu szczepień obowiązkowych. Ze środków NFZ będą finansowane także zadania zespołów ratownictwa medycznego. A chodzi o niebagatelną kwotę,

bo o 13 mld zł. Pamiętajmy, że pandemia spowodowała duży dług zdrowotny. W związku z tym RPO będzie tej sprawie się przyglądał i miejmy nadzieję, że pieniądze w tym systemie będą. Kolejna kwestia, to opieka koordynowana w ramach podstawowej opieki zdrowotnej. Przypomnieć należy, że opieka koordynowana ma charakter opieki fakultatywnej, a nie obligatoryjnej i wg. stanu na ten rok, na początku grudnia 2022, tylko 82 podmioty podpisały umowę o koordynacji. Ten niewątpliwie przełomowy projekt, jakim jest opieka koordynowana w POZ będzie realizowany na koniec przyszłego roku przez jakieś 1 000 podmiotów tj. ok. 10 do 15 proc. ogółu placówek POZ. W większych przychodniach, jeżeli lekarz opieki ogólnej, diabetolog czy kardiolog mają gabinety „drzwi w drzwi”, to możliwości sprzętowe są, więc ta koncepcja może się sprawdzić. Natomiast w małych miejscowościach może być brak takich możliwości. Kolejna kwestia, to bariera kadrowa i finansowa. Opieka koordynowana jest finansowana przez budżet powierzony, co stawia lekarzy, jako pośredników między pacjentem, a płatnikiem. W tej sytuacji rozwiązaniem mogłoby być to, aby lekarz POZ mógł zlecać badania, a NFZ je organizował i za nie płacił. Jeśli chodzi o opiekę koordynowaną mogą w niej wystąpić trudności z poradą dietetyczną. Brak jest bowiem dietetyków, nie są oni spięci w systemie. Uważa się, że pierwsza porada powinna być stacjonarna z uwagi na analizę składu ciała i nie może ona polegać na samej teleporadzie. Ponadto, powinien być umożliwiony udział wszystkich specjalistów w opiece skoordynowanej z uwzględnieniem pielęgniarek i położnych. Powinno to być jasno określone, a może to powodować różne dysonanse w całym zespole opieki zdrowotnej. Istotną rolę w nowym modelu POZ mają odgrywać nowe technologie, czyli teleporady. Tutaj też występuje problem, ponieważ szacuje się, że tylko 15 proc. placówek medycznych ma możliwości praktycznego skorzystania z teleporady. Tutaj również należałoby rozważyć wprowadzenie takiego programu, który mniejsze POZ wspomogłby do tego, aby teleporada mogła funkcjonować w sposób prawidłowy. Oczywiście opieka koordynowana w POZ, to jest bardzo dobry pomysł, a liczba specjalistów będzie z czasem poszerzana o większą liczbę specjalistów i nie oszukujemy się jest to przyszłość. Jednak wymaga to dofinansowania oraz wzmocnienia kadrowego i technologicznego. Niewątpliwie nadchodzący rok będzie kolejnym rokiem wyzwań w obszarze zdrowia, a Rzecznik Praw Obywatelskich będzie pilnie śledził rozwój sytuacji i podejmował stosowne działania, zgodne z mandatem, który posiada.

Prezes Krystyna Wechmann, Prezes Polskiej Koalicji Pacjentów Onkologicznych

Patrząc na 2022 i 2023 r. w kontekście najpilniejszych niezaspokojonych potrzeb w chorobach onkologicznych podopiecznych Polskiej Koalicji Pacjentów Onkologicznych (PKPO). To, że pandemia COVID-19 doprowadziła do długu zdrowotnego jest faktem. Faktem jest również, że najlepszym sposobem na jego systematyczne zmniejszenie jest profilaktyka i edukacja, bo hasło „wiedza ratuje życie,” to wciąż od strony pacjentów aktualne hasło. Chcę podziękować za ten rok. Odbędzie się debata podsumowująca w Sierakowie, zorganizowana przez Polską Koalicję Pacjentów Onkologicznych, gdzie spotkaliśmy się w gronie ekspertów ze specjalnym udziałem Ministra Macieja Miłkowskiego. Dobre decyzje refundacyjne w znaczący sposób wpływają na rokowanie w konkretnych chorobach nowotworowych. Zaczęto od stycznia 2022 r. od wprowadzenia terapii niezależnych od stanu mutacji BRCA. A zakończenie tego roku w raku piersi potrójnie ujemnym, to spełnienie oczekiwań pacjentek. Oczywiście, nadal będziemy mówić o oczekiwaniach, a w raku piersi te oczekiwania będą duże z uwagi na to, że nie jesteśmy w klasyfikacji światowej nawet pośrodku tych krajów, które mają lepsze wyniki, jeśli chodzi o diagnostykę i leczenie



raka piersi. Mylę, że te wprowadzone do refundacji terapie będą przekładały się na lepsze wyniki terapii, a przez to stawiały nas już w dużo lepszej sytuacji, niż dotychczas. Skuteczna terapia wczesnego raka piersi daje nam szansę, żeby zapobiegać przerzutom. Tak, jak mamy już refundowane leczenie w zaawansowanym raku piersi, to te same leki możemy zastosować we wczesnym raku piersi. Dodanie abemacyklibu do hormonoterapii prowadzi do znaczącego zmniejszenia ryzyka przerzutów. Liczymy także na refundację koniugatu trastuzumabu derustekanu, który jest wielkim przełomem. Jeśli chodzi o raka trzustki, została wprowadzona terapia, ale dla bardzo wąskiej grupy pacjentów z mutacją BRCA1 i BRCA2. Myślę, że 2023 r. będzie oczekiwaniem pacjentów z tym trudnym nowotworem na nowe terapie. Są też pacjenci, którzy liczą na program dotyczący prostaty, który jest aktualnie w opracowaniu. Z drugiej strony należy podjąć się próby odpowiedzi na pytanie, dlaczego działania w zakresie profilaktyki nowotworów są w Polsce tak mało skuteczne. Dlaczego działania w kierunku zachęcania pacjentów do regularnych badań profilaktycznych, korzystania z badań przesiewowych nie przynoszą oczekiwanych rezultatów. Jeśli będziemy wiedzieli dlaczego liczba osób z nich korzystających jest wciąż niewielka łatwiej będzie nam zaplanować działania. Myślę, że rola organizacji pacjentów jest tutaj nie do przecenienia. Na pewno trzeba poznać poziom lęku związany z diagnozą onkologiczną. Wiem, że irytują niektórych jak mówię „nie walczmy z nowotworem”. Mamy światowy Dzień Walki z Rakiem, mamy Kodeks Europejski Walki z Rakiem, a ja uważam, że czas na odczarowanie nowotworu. Przestańmy walczyć z rakiem, nauczmy się go leczyć, nauczmy się z nim żyć. Prowadźmy kampanie świadomościowe na ten temat, tak jak to jest na całym świecie, w Ameryce – dzień świadomości raka piersi, raka jajnika i wszystkich innych nowotworów. Działalność w Radzie Organizacji Pacjentów przy Ministrze Zdrowia jest bardzo obiecująca. Rada jest pierwszym w historii Ministerstwa Zdrowia stałym gremium składającym się z reprezentantów organizacji pacjentów, mającym za zadanie prowadzenie dialogu w sprawach systemowych w ochronie zdrowia i wymianę poglądów w kwestiach najistotniejszych z punktu widzenia pacjenta. Nasz głos jest słyszalny, bo zaczynamy wprowadzać pewne zmiany do projektów ustaw i jesteśmy bardziej nastawieni na działania systemowe. Tutaj mam na myśli sprawy takie jak testy HCV, żeby był program powszechnych testów wykrywania, skoro mamy już skuteczne leczenie. Jeśli chodzi o szczepienia przeciwko HPV, to jesteśmy już na dobrej drodze, aby stało się to powszechne i żeby ten program był realizowany w 2023 r.

Katarzyna Chmielewska-Wojciechowska, Pacjentka

Rak trzustki to jeden z najgorzej rokujących nowotworów. Jestem Pacjentką, która od ośmiu lat żyje z tą chorobą. Staram się unikać słowa walka z nowotworem w swojej historii z chorobą, bo jak człowiek walczy przez osiem lat, to staje się zmęczony. Niemniej nawet nie chcąc, kiedy mówimy o nowotworach trzustki, chorobie o tak dramatycznym przebiegu, słowo walka pojawia się bardzo często.

Jestem bardzo nietypowym pacjentem z gruczolakiem trzustki, bo osiem lat, to jest rekordowe przeżycie pacjenta z tym typem nowotworu. Nie jest mi obecnie łatwo, bo znowu mam progresję choroby i stoję przed ostatnią opcją leczenia. Można powiedzieć, że jestem w takim momencie, w którym znajduje się większość pacjentów z rakiem trzustki na samym początku choroby, zaraz po tym, jak usłyszy diagnozę. Typowy pacjent z rakiem trzustki słyszy, że nie ma opcji operacji i pozostaje mu tylko leczenie paliatywne i to w dość wąskim zakresie. Na chwilę obecną, pacjenci z rakiem trzustki



Fot. Adam Lach

mają dwie możliwości. Pacjenci w dobrej kondycji mogą leczyć się dość toksyczną chemioterapią skojarzoną lub w ramach programu lekowego. Można powiedzieć, że jeśli chodzi o dostęp do leczenia systemowego raka trzustki w Polsce w pierwszej linii leczenia, sytuacja nie jest zła. Praktycznie są dostępne wszystkie terapie. Gorzej jest w przypadku drugiej linii leczenia, której nie mamy, a jest terapia, którą można by zastosować. Jest nią irynotekan liposomowy – lek zarejestrowany dla dorosłych chorych na uogólnionego raka trzustki w drugiej linii leczenia. Ponieważ pacjenci z rakiem trzustki mają tak krótki czas całkowitego przeżycia od diagnozy i w zasadzie mają refundowany wąski zakres leczenia, bardzo nam pacjentom zależy żeby była dostępna druga linia leczenia. Dostęp refundacyjny do każdego leku, który ma udowodnione działanie w raku trzustki jest ogromnie ważny. Liczę na to, że Minister Zdrowia zrefunduje irynotekan liposomowy dla w zasadzie niewielkiej grupy pacjentów. To, co słyszę od innych pacjentów chorych na raka trzustki to jest często beznadzieja. Pacjenci mają poczucie, że nie opłaca się nas leczyć, że system postawił na nas krzyżyk, więc kiedy pojawiają się skuteczne terapie, to nie możemy odpuszczać. Z naszej pacjenckiej perspektywy warto walczyć o każdą refundację.

Katarzyna Lisowska, Stowarzyszenie Hematoonkologiczni

Rok 2022 był dobry dla naszych pacjentów. Zostało zrefundowanych sporo nowych cząsteczko-wskazań w różnych chorobach hematoonkologicznych. Ogromnie cieszymy się z tego, że pacjenci z ostrą białaczką szpikową, przewlekłą białaczką limfocytową i ze szpiczakiem plazmocytowym mają dostęp do nowoczesnych terapii. To z pewnością wpłynie na jakość i długość ich życia. Widzimy, że Ministerstwo Zdrowia realizuje krok po kroku plan rozszerzania listy dostępnych dla pacjentów terapii w hematoonkologii.

Bardzo za to dziękujemy. Mamy nadzieję, że kolejne decyzje refundacyjne będą pozytywne dla pacjentów, zwłaszcza tych, u których występują złe czynniki rokownicze. Pacjenci onkohematologiczni czekają na leki, bo w nowotworach krwi oprócz leków i przeszczepiania komórek macierzystych nie ma innego leczenia.



Prezes Anna Śliwińska, Polskie Stowarzyszenie Diabetyków

Rok 2022 dla pacjentów z cukrzycą zaczął się bardzo dobrze od refundacji igieł do wstrzykiwaczy insulinowych. A to była refundacja, o którą walczyliśmy ponad trzydzieści lat. Od września 2022 r. otrzymaliśmy rozszerzenie kryteriów stosowania nowoczesnych leków w cukrzycy typu drugiego, czyli flozyn oraz inkretyn. Po tym rozszerzeniu jest dużo lepiej, chociaż istnieje nadal duża grupa pacjentów, którzy nie mogą z tych leków skorzystać. Dodatkowo do refundacji weszła kolejna grupa leków, czyli gliptyny (inhibitory DPP-4). Tak więc pacjenci, którzy



przyjmują te leki płacą już bardzo mało miesięcznie za te terapie. W międzyczasie zadziało się bardzo dużo dobrego w zakresie nowoczesnego monitorowania glikemii. Od 1 stycznia 2023 r. będą szeroko refundowane nowoczesne systemy, dzięki którym pacjenci nie będą musieli się kłóć wielokrotnie w palec w ciągu dnia, a które zwiększają komfort życia z cukrzycą, a przede wszystkim bezpieczeństwo i zapobiegają powikłaniom. Systemy monitorowania glikemii pokazują trendy, czyli takie informacje, czy cukier będzie wzrastał, czy spadał oraz alarmują, kiedy poziom cukru jest za niski lub zbyt wysoki. Bardzo cieszy nas to, że refundacja jednego z tych systemów jest tak szeroka, że obejmuje również

osoby z cukrzycą typu 2. Przy tym dla osób z cukrzycą typu 1 jest jeszcze większy wybór systemów, które będą refundowane od 1 stycznia 2023 r. Czyli liczne grupy pacjentów dorosłych są zadowolone, bo trzeba wspomnieć, że dla dzieci te systemy były refundowane wcześniej. Dlatego jest to przełom i historyczna decyzja Ministra Zdrowia, która bardzo nas cieszy. Na pewno wyzwaniem pozostaje zespół stopy cukrzycowej. Jest to problem, o który prosimy ministerstwo cały czas, żeby się nim zajęło. Mamy w Polsce ok. 7 tys. amputacji kończyn dolnych rocznie, właśnie z powodu cukrzycy, co jest nie do pomyślenia w kraju europejskim w XXI wieku. Jesteśmy pod tym względem zdecydowanie w ogonie Europy, bezwzględnie należy to zmienić. Następnym wyzwaniem jest kwestia otyłości, która jest coraz większym problemem. Polskie dzieci tyją najszybciej w Europie. Pandemia COVID-19 zrobiła swoje, a niezdrowy styl życia, zwłaszcza w większych miastach jest sporym problemem. W zakresie otyłości, programy profilaktyczne i programy leczenia są bardzo potrzebne, bo otyłość jest przyczyną wielu innych chorób, w tym również cukrzycy typu drugiego. Czyli starając się ograniczyć otyłość, będziemy mieli zdrowsze społeczeństwo.

Ilona Roszkowska-Rzemieniecka, Stowarzyszenie Pacjentów z PNH – Jedni na Milion

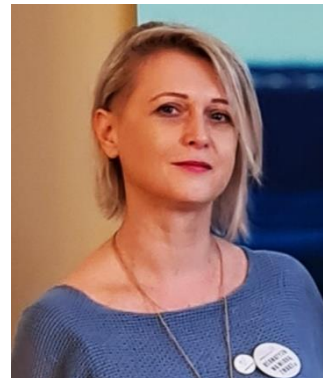
Osoby chore na nocną napadową hemoglobinurię (PNH), to osoby młode, takie które wchodzi w dorosłe życie. Ja sama mam 35 lat. Mamy rodziny, mamy pracę, staramy się żyć całkiem normalnie, mamy pasje. Wśród nas są osoby, które przebiegły półmaraton. Pomimo tak strasznej choroby „dajemy radę”. Ja dowiedziałam się, że choruję na nocną napadową hemoglobinurię w 2018 r. i wtedy przeczytałam, że zostało mi ok. 5 lat życia, bo takie były dostępne źródła na tamten moment. Jednocześnie dowiedziałam się o tym, że jestem w ciąży. Sytuacja była dość dramatyczna, a wiem, że wiele moich koleżanek i kolegów przeszła dokładnie przez to samo. Na tym etapie dzięki leczeniu, które otrzymujemy żyjemy całkiem normalnie. Natomiast jest ono uzależnione od 2-tygodniowych cykli przyjmowania leków, co wiąże się z pobytem w szpitalu. Pobytem jednodniowym, czasem dłuższym, ponieważ sytuacja każdego pacjenta jest zróżnicowana. Mogę powiedzieć, że są pacjentki, które kiedy przesuną leczenie o jeden dzień, hemolizują, czyli ich krwinki się rozpadają i wymagają przetoczenia. Nasze życie to dojazdy do szpitala. Ja mam to szczęście, że mieszkam w Warszawie, na Ursynowie, gdzie jest Instytut Hematologii i Transfuzjologii, gdzie otrzymuję wspaniałe leczenie i wsparcie. Niestety większość z nas dojeżdża minimum 60 kilometrów do placówki w której otrzyma leczenie. Nasza rekordzistka dojeżdża 300 kilometrów, dwa razy w miesiącu. To oznacza też, że jej rodzina jest zaangażowana w cały proces, gdyż musi przyjeżdżać z nią do szpitala, ponieważ po i w trakcie terapii bardzo źle się czuje. Przykładów jest bardzo dużo. Ponieważ od początku 2022 r. jest przywrócony program lekowy leczenia nocnej napadowej hemoglobinurii (PNH). Kiedy rozmawiałam z moimi koleżankami i kolegami o obawach związanych z chorobą i leczeniem, to wszyscy boją się utraty tego leczenia, ponieważ lek stosowany w tym programie jest bardzo drogi. Dlatego bardzo liczymy na to, że nasza sytuacja osiągnie taką stabilizację, żebyśmy przynajmniej nie musieli odczuwać takiego stresu, ponieważ nikt z nas nie jest w stanie takich pieniędzy zarobić i tego leczenia z własnej kieszeni pokryć. Wiemy, że jest już inny lek, który pozwala na większą aktywność, jest lepiej tolerowany i podawany co 8 tygodni, zamiast co 2 tygodnie. Policzyłam, że w ciągu roku mamy 24 wizyty, a dzięki zastosowaniu nowego leku byłoby tych wizyt tylko sześć. Jest jeszcze drugi wątek w tej sprawie, a mianowicie leczenie drugiego rzutu, które jest bardzo istotne. Poszczególni chorzy ewidentnie potrzebują tego drugiego leku ponieważ,



nie do końca dobrze znoszą dostępne w programie lekowym leczenie. Mamy nadzieję, że w 2023 r. Minister Zdrowia zrefunduje nową terapię dla chorych na nocną napadową hemoglobinurię (PNH).

Prezes Violetta Zajk, Ogólnopolskie Stowarzyszenie Młodych z Zapalnymi Chorobami Tkanki Łącznej 3majmy się razem

2022 r. dla pacjentów reumatologicznych był dobry, dlatego że zrefundowano sporo nowych cząsteczko-wskazań w ramach programów lekowych. Programy lekowe zostały uproszczone i lepiej wycenione. Możemy wdrażać leczenie dla większej liczby pacjentów i to leczenie urozmaicić, aby poprawić jakość życia. Jakie to przyniesie skutki, zobaczymy z czasem, bo wiele zależy także od tego, czy ośrodki realizujące programy lekowe wytrzymają natłok pacjentów, których przybywa. W przyszłym roku będziemy prawdopodobnie na ten temat rozmawiać. Pokrótkę powiem jeszcze o projekcie opieki koordynowanej, który wchodzi w 15. miejscach w Polsce. To jest bardzo ważna wiadomość dla tych pacjentów, którzy są nowo zdiagnozowani. Są to przede wszystkim pacjenci ze spondyloartropatią. Jest to bardzo pilne, żeby oni dostali jak najszybciej leczenie, żeby zostało ono wdrożone w „oknie terapeutycznym”. Liczę również na to, że program zostanie rozszerzony i będzie dostępny we wszystkich ośrodkach i być może uda się część leków w terapiach ośrodków biologicznych przełożyć do aptek, żeby pacjenci nie musieli kilkaset kilometrów dojeżdżać. Mam nadzieję, że 2023 r. będzie obfitował w korzystne dla pacjentów zmiany i rozwiązania.



Prof. Marek Hus, Kierownik Kliniki Hematoonkologii i Transplantacji Szpiku, UM w Lublinie

Nocna napadowa hemoglobinuria (PNH) to rzadka choroba przewlekła, postępująca, wyniszczająca oraz zagrażająca życiu. Choroba dotyka w sposób absolutnie losowy i przypadkowy bardzo młodych osób. To jest grupa osób aktywnych i twórczych. Nocna napadowa hemoglobinuria to 1 czy 1,5 przypadku na milion mieszkańców. Skandynawowie przedstawiają dane epidemiologiczne, które wskazują, że ta choroba w krajach skandynawskich występuje nieco częściej. Mam wrażenie, że występowanie wielu ultra rzadkich chorób nie tylko w Polsce, lecz także w Europie jest niedoszacowane. Jednak uważam, że roczne zachorowanie to około 35-45 chorych w Polsce, którzy wymagaliby pomocy. Mam przyjemność koordynować program lekowy terapii ekulizumabem w ramach Narodowego Funduszu Zdrowia, który od 2018 r. jest dostępny dla pacjentów. Mamy w tej chwili w Polsce na platformie SMPT 83 osoby, u których mogliśmy rozpocząć terapię ekulizumabem. Jest to przeciwciało monoklonalne, które blokuje pewien kawałek aktywnej części układu dopełniacza, takich białek, które niespecyficycznie pomagają nam walczyć ze światem zewnętrznym i których aktywacja w tej chorobie jest w sposób spontaniczny, jak u każdego z nas nakierowana na komórki, które nie mają się jak bronić. Na tym polega problem nocnej napadowej hemoglobinurii, że na skutek przypadkowych zdarzeń mutacji dochodzi do braku pewnych struktur białek, które powierzchniowo zabezpieczają nas przed uderzeniem tych bardzo agresywnych kompleksów, które wiodą do hemolizy. Permanentna hemoliza jest przyczyną całego zła w tej chorobie. Trombofilia, a więc te epizody zakrzepowe i permanentna hemoliza to proces, który poza zakrzepicą, która jest najbardziej dramatyczna i najczęściej ma wymiar bezpośredniego



zagrożenia życia, idzie również do kilku innych takich niszczących sytuacji, które dedykowane są przede wszystkim nerce i tu dochodzi do przewlekłego uszkodzenia nerek i nadciśnienia płucnego. Chorzy, którym się nie udzieli właściwej pomocy, którzy będą „transfuzjo-zależni” w perspektywie kilku, kilkunastu lat oni przegrywali z tą chorobą i większość z nich niestety umierała. Muszę Państwu powiedzieć, że przeżyłem osobiście tragedię, kiedy w 2017 r. trafiła do nas siedemnastoletnia dziewczyna, u której rozpoznanie nocnej napadowej hemoglobinurii było postawione wcześniej. Pacjentka była po siedmiu zabiegach operacyjnych wynikających z faktu, że doszło do zakrzepicy w miejscach, które są również bardzo charakterystyczne dla tej choroby. Wtedy w ramach akcji zorganizowanej przez Stowarzyszenie Pomocy Chorym na Białaczkę na Lubelszczyźnie, które funkcjonuje w klinice, zorganizowaliśmy zakup kilku dawek ekulizumabu. Z radością i satysfakcją patrzyłem, jak ta choroba w sposób niebywały jest wygaszana i chora wraca do żywych. Proszę sobie wyobrazić, że na moim dyżurze w nocy doszło do niekontrolowanego wykrzepienia w obrębie węzła zatokowego, asystolii i nie zreanimowałem tej pacjentki. To zostanie ze mną do końca życia. Jednocześnie postanowiłem pomagać takim chorym, jeszcze bardziej zmotywowany tym przypadkiem klinicznym. Ekulizumab został zarejestrowany w Europie w 2007 r. W Polsce został zrefundowany w ramach programu lekowego w 2018 r. Ultomiris został zarejestrowany w 2019 r. w Unii Europejskiej, ale do tej pory nie jest w Polsce refundowany w terapii PNH. Nowe terapie pozwalają na to, aby pacjent mógł normalnie funkcjonować i pracować zawodowo. Dają komfort życia pacjentom, oferują większe bezpieczeństwo, ale także konkretne oszczędności budżetowe. Transfuzjozależność, to średnio 4 jednostki krwi w miesiącu, jedna jednostka to około 300 zł, łatwo policzyć 1 200 zł plus wszystko to, co jest związane z nieobecnością chorego w pracy, z uruchomieniem systemu do tego, żeby chorego przyjąć w odpowiedni sposób, przygotować, podać mu krew i zabezpieczyć jeszcze przed epizodami zakrzepicy. Nowy lek – ultomiris, to druga generacja ekulizumabu i podaje się go choremu tylko raz na 8 tygodni, czyli raz na 2 miesiące. Przypomnę, że ekulizumab wymaga podawania raz na 2 tygodnie. Ultomiris jest lekiem, który ma lepszy potencjał również, jeśli chodzi o hamowanie hemolizy. W związku z tym objawy uboczne, które zdarzają się w trakcie tej terapii są zminimalizowane.

Prof. Zbigniew Żuber, Kierownik Katedry Pediatrii i Reumatologii Szpitala Dziecięcego Św. Ludwika w Krakowie



Medyczna Racja Stanu zajmuje się od początku powstania chorobami rzadkimi, których wiele jest odkrywanych dzięki nowoczesnej diagnostyce genetycznej. Choroby rzadkie i ultraradkie są w każdej dziedzinie medycyny - od neurologii do pulmonologii. To są choroby ogólnoustrojowe, które bez odpowiedniego leczenia w odpowiednim czasie, przynoszą niepowetowane szkody w organizmie. Oznacza to, że powinniśmy mieć wcześniej rozpoznanych pacjentów i jak najwcześniej rozpoczęte leczenie. Przeciwciała monoklonalne, które są nowoczesnymi lekami stosowanymi w różnych dziedzinach - od onkologii, hematologii, pulmonologii, gastrologii, dermatologii, aż po reumatologię. To jest ogromny postęp medycyny. W tej chwili dysponujemy nie tylko lekami antycytokinowymi, ale także lekami, które są nie tylko działają pomiędzy sygnalizacją międzykomórkową, ale także, które działają wewnątrz komórki, czyli transkrypcji DNA i RNA. Są one podawane podskórnie, dożylnie, ale także doustnie, Niektóre leki, które były podawane codziennie, czy raz w tygodniu, w tej chwili są podawane co kilka tygodni np. co 2 miesiące, a są takie, które będą podawane raz na 6 miesięcy, albo niektóre nowe terapie jeden raz, w ciągu całego życia. Być może, tak jak w SMA będziemy mieć sukces wyleczenia pacjenta dzięki terapii genowej. Niestety

w Polsce mamy duże opóźnienie w stosunku do innych krajów Unii Europejskiej w zakresie refundacji terapii w chorobach rzadkich. Mamy teraz sukces, dzięki wsparciu Ministerstwa Zdrowia w chorobie Stilla, która jest najcięższą postacią chorób reumatoidalnych, gdzie refundowana została anakinra (inhibitor receptora IL-1). Ale pojawił się pewien problem. Wiele ośrodków reumatologicznych nie ma dostępu do RDTL, więc chciałem zaapelować do Ministerstwa Zdrowia o zmianę statusu RDTL, czyli ratunkowego dostępu do technologii lekowych. Nie wszystkie ośrodki kliniczne są ośrodkami akademickimi i jest w nich istotna potrzeba umożliwienia RDTL. Możemy wyleczyć pacjenta z białaczki, ale nie możemy obecnie wyleczyć pacjenta z choroby Huntera, możemy tylko pomóc, czyli działamy objawowo w odpowiednim czasie. Im później zaczniemy leczenie, tym gorzej dla pacjenta. Jeżeli pacjent jest objęty opieką, ma opiekę wielospecjalistyczną, ma podawane leczenie celowe, tutaj enzymatyczną terapię zastępczą może funkcjonować normalnie. Dzięki decyzji Ministra Miłkowskiego mamy utrzymany program terapeutyczny, bo najgorszą sytuacją byłoby przerwanie leczenia u pacjentów. Myślę, że powinniśmy mieć coraz większy dostęp do terapii lekowych. Nie jest rolą lekarzy prowadzenie dywagacji o cenach, my mamy leczyć chorych najlepiej, jak potrafimy. Część pacjent z chorobą Huntera ma padaczkę, bo to są choroby ogólnoustrojowe. Jeżeli mamy chorobę ogólnoustrojową, to poczynając od mózgu, po pięty i stopy wszystko będzie chore i nie jesteśmy w stanie wyleczyć, ale jesteśmy w stanie w znakomity sposób pomóc. Upatruję nadzieję w Radzie do spraw Chorób Rzadkich i tym, że Plan dla Chorób Rzadkich ruszył i działa. Jest to ogromny sukces i myślę, że dzięki staraniom Pani Prof. Anny Latos-Bieleńskiej, która przewodniczy temu gremium założenia Panu zostaną zrealizowane. Wszystkie zespoły wykonają swoją pracę i będziemy mieć nowoczesną diagnostykę i zasady postępowania, także stworzenie ośrodków eksperckich, paszporty pacjentów, tego wszystkiego, czego nam brakuje. To jest ogromne wyzwanie, ale ja jestem pełen optymizmu, bo bardzo dużo udało się zrobić, jest gigantyczny postęp. Mamy wyzwanie systemowe, czyli przejście pacjenta z wieku dziecięcego do dorosłego. Dzięki skutecznej terapii naszych pacjentów pediatrycznych chorzy, którzy żyli po kilkanaście lat, teraz żyją w dobrym zdrowiu lat kilkadziesiąt. Implikuje to potrzebę, że ci chorzy muszą być pod stałą opieką w tak zwanej medycynie dorosłej, a tutaj jest pewien problem, czyli znowu nakłady i kolejne wydatki. Potrzebne są systemowe rozwiązania, aby to przejście było ekonomiczne, bo medycyna nie jest dziedziną samą w sobie, ona musi być powiązana z ekonomią, prawem, sprawami socjalnymi oraz całym życiem społecznym.

Prof. Mariusz Bidziński, Konsultant krajowy w dziedzinie ginekologii onkologicznej

W ramach Medycznej Racji Stanu realizowana jest kampania Zdrowie Kobiety Bezpieczeństwa Rodziny. W ramach tych spotkań bardzo często mówiliśmy o zagrożeniach, jeśli chodzi o onkologię ginekologiczną, o konieczności uczestniczenia w programach przesiewowych, prowadzenia szczepień przeciwko wirusowi HPV, o nowych lekach, które zostały zrefundowane. W obszarze onkologii ginekologicznej 2022 r. był dosyć dobrym rokiem dla polskich



pacjentek chorujących na nowotwory narządów płciowych kobiecych. Wprowadzono do refundacji nowy program lekowy, rozszerzony nie tylko dla pacjentek z mutacjami, mówimy o pacjentkach z nowo rozpoznany rakiem jajnika, ale również dla tych kobiet, które nie mają tych mutacji. Wprowadzamy nowe testy, które będą rozszerzały panel badań genetycznych, o tak zwane deficyty homologicznej rekombinacji - to też się znalazło w projekcie. W związku z tym muszę powiedzieć, że dzisiaj w leczeniu raka jajnika nie ustępujemy innym krajom. Zadziało się to dzięki licznym apelom, zarówno środowisk

pacjenckich, jak i środowiska ginekologów onkologów. Dzięki tym działaniom, wiele kobiet, które znalazły się w tej tak zwanej trudnej sytuacji życiowej otrzyma terapię na europejskim poziomie. Dodatkowo mamy również pewien element, który przeszedł w tej chwili do katalogu chemioterapii, a mianowicie lek antyangiogeny bewacyzumab, który był jeszcze niedawno w programie lekowym. Nie wszystkie szpitale, które prowadziły leczenie zaawansowanego raka szyjki macicy miały podpisane umowy na programy lekowe. W tej chwili ten lek przeszedł do katalogu chemioterapii, a więc to upraszcza procedurę i jednocześnie też daje większą szansę dla kobiet w innych ośrodkach, poza tymi centralnymi, żeby mogły dostać też tą nowoczesną terapię. Tworzymy w tej chwili cały zrąb organizacyjny do tego, żeby rzeczywiście posegregować poziomy referencyjności dla ginekologii onkologicznej. To jest związane z projektem Krajowej Sieci Onkologicznej, czyli będzie to wprowadzane w 2023 r. Jako konsultant krajowy poprosiłem moich współpracowników i konsultantów wojewódzkich o typowanie ośrodków, które w tym systemie byłyby zakwalifikowane do poziomu 2. i 3. Mam nadzieję, że niedługo będziemy mieli pełną listę tych ośrodków. Jednocześnie przygotowaliśmy mierniki, elementy, które są związane z określeniem pewnego potencjału, zarówno aktywizacyjnego, jak infrastrukturalnego, które powinny te ośrodki posiadać. Mam nadzieję, że to zdecydowanie uporządkuje i poprawi opiekę nad chorymi. Drugą ważną kwestią w ramach projektu Krajowej Sieci Onkologicznej są koordynatorzy opieki. Mam nadzieję, że w tych wszystkich ośrodkach, tak zwany projekt „prowadzenia pacjenta za rękę” wg określonego standardu opieki będzie już wreszcie uporządkowany. W 2022 r. wykonaliśmy ogromną pracę dotyczącą standardów postępowania. Polskie Towarzystwo Ginekologii Onkologicznej przygotowało bardzo szeroki projekt standardów terapeutycznych dotyczących przede wszystkim raka endometrium. Jest on przygotowany według tych standardów, które obowiązują na całym świecie. Opracowano go zgodnie z narzędziami oceny wytycznych AGREE II (Appraisal of Guidelines for Research & Evaluation II), w związku z tym mam nadzieję, że AOTMiT będzie mogła pracować nad tym projektem, tak żebyśmy mogli rzeczywiście uporządkować element związany z procesowymi elementami raka endometrium. Nie ukrywam również, że mamy pewne problemy dotyczące umieralności w raku endometrium. Był to główny nasz cel, aby pewne rzeczy usystematyzować i mam nadzieję, że to się niedługo dokona. Kolejna rzecz, którą, współpracując ze środowiskiem, przygotowujemy jest system rozpowszechniania wiedzy dotyczącej badań genetycznych. Mamy szereg nowych leków, które możemy wprowadzić do terapii, ale do tego potrzebne są odpowiednie kategoryzacje w badaniach molekularnych i razem z środowiskami Polskiego Towarzystwa Ginekologów i Położników prowadzimy szeroką edukację w zakresie badań genetycznych wśród kolegów, którzy są pierwszymi osobami spotykającymi się z chorymi z nowotworami ginekologicznymi. Mam nadzieję, że ten system w 2023 r. będzie coraz lepiej funkcjonował. Nie ukrywam, że jest jeszcze sporo pracy w tej tzw. części genetycznej. Wprowadzono już raka trzonu macicy do katalogu badań genetycznych refundowanych przez Narodowy Fundusz Zdrowia. Do tej pory mieliśmy tylko raka jelita, a więc naturalną jest rzeczą, że ta wiedza musi być rozpowszechniona. Chciałbym, żeby większość ośrodków, które zajmują się leczeniem raka trzonu macicy, a przypomnę, że często pacjenci są operowani w oddziałach ginekologiczno-położniczych, miały również obowiązek badań w zakresie diagnostyki genetycznej. Mam nadzieję, że 2023 r. będziemy to solidnie kontynuować. Liczę bardzo na Krajową Sieć Onkologiczną. Ważne są również działania profilaktyczne. W zakresie profilaktyki mamy szereg elementów, które podejmujemy razem z lekarzami POZ.

*Prof. Barbara Radecka, Ordynator Kliniki
Onkologii Opolskiego Centrum Onkologii im.
prof. Tadeusza Koszarowskiego w Opolu i
Uniwersytetu Opolskiego*



W zakresie raka piersi w 2022 r. było podjętych wiele ważnych decyzji refundacyjnych. W ostatnich tygodniach najbardziej intensywnie dyskutujemy o liście listopadowej, która przyniosła refundację trzech nowych cząsteczek, natomiast proszę pamiętać, że już 1 marca 2022 r. na liście refundacyjnej pojawił się trastuzumab emtanzyna, konjugat stosowany w leczeniu chorych na HER2 dodatniego wczesnego raka piersi. To lek, który stosujemy już od kilku lat w chorobie zaawansowanej, natomiast teraz możemy go podawać chorym na raka wczesnego leczonym radykalnie, u które pomimo wstępnego leczenia systemowego po przeprowadzonej operacji stwierdza się chorobę resztkową. Podanie tego leku znacząco poprawia wyniki leczenia, zmniejsza ryzyko nawrotu, a więc zwiększa odsetek kobiet, które mogą żyć przez wiele lat bez choroby. To była bardzo ważna refundacja, co więcej bardzo długo oczekiwana. Pierwszy listopada 2022 r. przyniósł trzy nowe cząsteczki, każdą z innej grupy i można powiedzieć, że każda dedykowana innej subpopulacji chorych. Jedną z nich jest alpelisib, lek doustny, który stosujemy przewlekłe u chorych na zaawansowanego luminalnego raka piersi. Lek, który jest pierwszym, tak zwanym inhibitorem PI3K, jaki dostaliśmy do ręki. Jest to lek niezwykle obiecujący, ale jego stosowanie będzie wymagało również od nas, lekarzy, poszerzenia swojej wiedzy w zakresie działań niepożądanych. Pojawił się talazoparyb, pierwszy inhibitor PARP, który jest przeznaczony do leczenia chorych na raka piersi. Inhibitory PARP znamy już z leczenia chorych na raka jajnika i tam jest refundowany inny przedstawiciel tej grupy. Trzeci lek, to sacytuzumab gowitekan, przeznaczony do leczenia chorych na zaawansowanego potrójnie ujemnego raka piersi. To jest też bardzo ważna refundacja, ponieważ po raz pierwszy w programie lekowym pojawia się lek dla tej populacji chorych. Potrójnie ujemny rak piersi to choroba o przebiegu agresywnym, dynamicznym, do tej pory mogliśmy ją leczyć tylko chemioterapią, a wyniki leczenia były mocno niezadowolające. Pojawienie się sacytuzumabu gowitekenu odbieramy jako bardzo ważny krok na ścieżce chorej na raka piersi o tym podtypie. Podkreślę również pewne *novum*, jakie towarzyszy tej ostatniej refundacji - jest to lek bardzo innowacyjny, bo to kolejny konjugat, który łączy przeciwciało ukierunkowane na określony cel molekularny z cytostatykiem. Lek o charakterze konjugatów to przebój leczenia systemowego nowotworów w ostatnich latach. Są bardzo intensywnie badane w wielu wskazaniach, a wyniki badań są bardzo obiecujące. Proces refundacyjny przebiegał w tym przypadku szczególnie krótko. Ze względu na wysoki poziom innowacyjności lek mógł być objęty refundacją w ramach Funduszu Medycznego, co skróciło ścieżkę refundacyjną. Jest to bardzo ważne, że mogliśmy z takiego narzędzia skorzystać, że ono jest i że już pierwszy lek jest objęty refundacją w tym trybie.

Toczą się obecnie procesy refundacyjne kolejnych ważnych leków, tym razem dla chorych na wczesnego raka piersi, leczonych radykalnie, a więc z intencją wyleczenia. Pojawiło się nowe wskazanie leku, który już znamy, abemacyklibu, refundowanego już od 2019 roku w leczeniu choroby zaawansowanej. Lek jest zarejestrowany także do leczenia wczesnego raka piersi. Jest to bardzo ważne leczenie, przeznaczone dla chorych z tzw. wysokim ryzykiem nawrotu, a więc chorych, u których występują przerzuty do pachowych węzłów chłonnych, większy guz, wysoki wskaźnik proliferacji, wysoki stopień złośliwości, czyli pewne cechy świadczące o agresywności choroby. Stosowanie tego leku oczywiście będzie niosło również dla nas pewne wyzwania, ponieważ wiemy, że jednym

z podstawowych działań niepożądanych są biegunki. Będziemy musieli edukować nasze chore w tym zakresie w czasie dwuletniej terapii.

Kolejnym lekiem stosowanym w leczeniu radykalnym chorych na raka potrójnie ujemnego jest lek immunologiczny pembrolizumab. Dodanie pembrolizumabu do chemioterapii okołoperacyjnej poprawia skuteczność tego leczenia i zwiększa możliwość uzyskania całkowitej odpowiedzi patomorfologicznej na takie leczenie. Oznacza to, że w materiale pooperacyjnym nie ma już aktywnego raka, co znacząco poprawia rokowanie chorych i zmniejsza ryzyko nawrotu.

Rak trzustki, to zupełnie odmienny obszar terapeutyczny w porównaniu do raka piersi. W raku piersi wiele się dzieje, każdy rok przynosi nowe cząsteczki. Rak trzustki w tym aspekcie jest na drugim końcu. To nowotwór, w którym bardzo trudno uzyskać postęp w leczeniu. Mimo nieustannych badań przez wiele lat, panuje pewien nihilizm terapeutyczny. Istotne zmiany, nowości, pojawiają się niezwykle rzadko. W tej chwili mamy w raku trzustki nową refundację dotyczącą zastosowania inhibitora PARP, jednak to jest leczenie dla bardzo wąskiej, wybranej grupy chorych z mutacją genu *BRCA*, co stanowi ok. 1-2% tych chorych. Natomiast w zakresie ogólnej populacji chorych na raka trzustki nadal podstawą jest chemioterapia i tutaj też bardzo oczekujemy na refundację leku, które może być zastosowane w kolejnej linii leczenia, a więc u chorych, którzy już jedno leczenie otrzymali z powodu choroby zaawansowanej, u których ta choroba postępuje, pomimo zastosowanego wcześniej leczenia, a więc w związku z tym jest potrzeba kolejnych linii chemioterapii. Póki co chemioterapia jest podstawą leczenia chorych na zaawansowanego raka trzustki i nawet jeśli postęp, który dzięki tej chemioterapii się dokonuje nie jest duży, to należy gromadzić każdy element tej ścieżki terapeutycznej chorego, który pozwoli wydłużyć jego życie.

Dr Maciej Kawecki, Narodowy Instytut Onkologii Państwowy Instytut Badawczy

Moi przedmówcy mówili o niesamowitym postępie, nowych terapiach, lekach i możliwościach w rozpoznaniach onkologicznych i nieonkologicznych. Rak trzustki jest w innym miejscu spektrum postępu medycyny. W terapii raka trzustki na przestrzeni ostatniej dekady pojawiły się tylko trzy nowe cząsteczki. Na pewno leczymy lepiej i skuteczniej, ale cały czas pozostaje olbrzymie uczucie niedosytu. Pozwolę sobie przypomnieć, że mówimy tutaj o rozpoznaniu, w którym dłużej niż rok przeżywa niecała 1/4 pacjentów w stadium rozsiewu, a osoby z przeżyciami wieloletnimi stanowią pojedyncze przypadki. Pewne „przebiśniewy terapeutyczne”, takie jak olaparyb sprawiają, że dysponujemy czymś więcej, natomiast to lek dedykowany wąskiej grupie pacjentów z rakiem trzustki. Pacjenci z rakiem trzustki w skali roku, to grupa chorych pomiędzy 4-5 tys. przypadków. Niestety mamy pewne niedoszacowanie i olaparyb można zastosować u kilkudziesięciu z nich rocznie. To jest lek wyłącznie dla pacjentów z dziedzicznymi mutacjami genów *BRCA1* i *BRCA2*. Znakomicie, że go mamy, a jego refundacja, poprawi wykrywalność dziedzicznych mutacji *BRCA1* i *BRCA2*. Niestety nie jest to taki lek, który jest przełomowy dla pozostałych pacjentów. I tutaj pojawia się pytanie, czego byśmy najbardziej chcieli, jako onkolodzy i jako pacjenci. Słyszeliśmy wypowiedź pacjentki, która mówiła o liposomowym irynotekanie. To jest nowy sposób podania klasycznej chemioterapii. Mamy w II linii leczenia jedyne badanie trzeciej fazy, w którym wykazano skuteczność podwójnej chemioterapii z zastosowaniem liposomowego irynotekanu w porównaniu z pojedynczą chemioterapią. To jest to, czego nam brakuje do II linii.



Pozwoliłoby to zbudować kontinuum leczenia, tak jak w raku jelita grubego, gdzie mówimy o I, II, III, IV, V i VI linii leczenia. W raku trzustki chcielibyśmy zbudować choćby taki dwuetapowy schemat leczenia, czyli I, II linię, z korzyścią dla naszych pacjentów.

***Prof. Renata Talar-Wojnarowska, Prezes
Polskiego Klubu Trzustkowego***

Z punktu widzenia gastroenterologa rak trzustki jest nowotworem najgorzej rokującym i najtrudniej wykrywanym. Zdecydowanie jest jeszcze wiele do zrobienia w zakresie wczesnego wykrywania raka trzustki. Mam ogromną nadzieję na rozwój endosonografii, czyli metody, która umożliwia wczesne wykrywanie raka trzustki i pobieranie celowanej biopsji z guza trzustki. Poza wczesnym wykrywaniem, na czym się koncentrujemy także w ramach prac Polskiego Klubu Trzustkowego mówimy o skutecznym leczeniu. Szczególnie tych pacjentów, którzy chorują wiele lat i mają progresję choroby po leczeniu operacyjnym, a potem powinni otrzymać leczenie I linii, a następnie II linii. Dzisiaj, był wymieniany irynotekan liposomowy, czyli lek, który jest refundowany w 18 krajach Europy, czyli jego refundacja nie dotyczy tylko krajów najbogatszych. My, jako Polski Klub Trzustkowy w ramach zarządu pisaliśmy do Ministra Zdrowia, razem z Prof. Grażyną Rydzewską i Prof. Ewą Małecką-Wojcieszko apel o zwrócenie uwagi na tych pacjentów. To nie jest liczna grupa, bo około 200-300 chorych, którzy mają progresję choroby mimo leczenia I linii, a którzy chorują kilka miesięcy lub lat. Mamy doświadczenia w wieloletnim prowadzeniu tych pacjentów, absolutnie nie przekreślamy tej grupy chorych i nie odbieramy im możliwości leczenia nowoczesnymi lekami. Bardzo dobrze, że od 1 listopada 2022 r. został zrefundowany olaparyb w leczeniu podtrzymującym pacjentów z gruczolakorakiem trzustki z mutacją w genach BRCA1/2, u których zakończono co najmniej 16-tygodniowy cykl chemioterapii z udziałem pochodnych platyny. To da nam klinicyście wybór i możliwość personalizowania terapii dla każdego pacjenta. Wiemy jednak, że olaparyb będzie refundowany tylko dla niewielkiej grupy pacjentów z mutacją genu BRCA1 i BRCA2, a większość pacjentów tej mutacji w raku trzustki nie ma. Miejmy nadzieję, że będziemy mieli w 2023 r. możliwość szerszego wyboru leków, jeśli chodzi o zaawansowanego raka trzustki, bo to jest to, co my możemy realnie zrobić. Z zazdrością patrzę na onkologów leczących inne nowotwory, którzy opisują znaczącą poprawę rokowania pacjentów, a w przypadku raka trzustki to się tak naprawdę nie zmienia, albo zmienia bardzo powoli. Zostawiam Państwa i siebie z taką nadzieją, że w przyszłym roku będziemy mieć większą możliwość leczenia pacjentów z zaawansowanym rakiem trzustki.



***Prof. Konrad Rejdak, Prezes Polskiego
Towarzystwa Neurologicznego***

Wielokrotnie w ramach Medycznej Racji Stanu i w czasie naszych spotkań konferencyjnych mówiliśmy o tym, że neurologia powinna być traktowana priorytetowo w całym systemie ochrony zdrowia. Nasze środowisko i Polskie Towarzystwo Neurologiczne podjęło bardzo intensywne działania i apele, żeby neurologię umieścić na liście dziedzin priorytetowych. Z żalem stwierdzamy, że w tej obecnie dyskutowanej propozycji listy ministerialnej neurologii nie ma, więc bijemy na alarm. Wynika to z prostej przyczyny - choroby



neurologiczne zbiorczo dotyczą ok. 1/3 populacji. W którymś momencie życia pojawiają się, czy to objawy, czy jawna choroba neurologiczna i każdy z nas niestety takie ryzyko ma, więc skala problemu jest ogromna. Przybywa nam pacjentów potrzebujących pomocy w każdym wieku. Szczególnie wysuwają się na plan pierwszy choroby neurologiczne specyficzne dla starzejącego się społeczeństwa. Ryzyko związane z wiekiem prowadzi do wystąpienia chorób neurodegeneracyjnych, ale też i różnych typów uszkodzenia układu nerwowego, czego skutkiem będzie padaczka i wiele innych schorzeń, więc dlatego tak jest to ważne, abyśmy sprościli tym zadaniom. Mamy duże problemy kadrowe, 1/3 neurologów jest już w wieku emerytalnym. Gdyby jednego dnia zaprzestali pracy, doszłoby do totalnego kryzysu w polskim systemie ochrony zdrowia, dlatego czujemy się w obowiązku, aby o tym mówić. Skutki COVID-19 są cały czas widoczne. Niestety pojawiło się wiele zaburzeń neurologicznych związanych z tym wirusem: zespoły autoimmunologiczne, zespoły bólowe, uszkodzenie obwodowego układu nerwowego i zapalenie mózgu. Zetknięcie się z wirusem indukuje szereg zmian, które doprowadzają do ataku immunologicznego na układ nerwowy. Dochodzi do tego problem odległych skutków ryzyka zaburzeń neurodegeneracyjnych. Ci pacjenci przychodzą do poradni neurologicznych, są też leczeni w warunkach szpitalnych. Bardzo cieszymy się że 2022 r. przyniósł nowe refundacje w neurologii. W lipcu wszedł w życie program lekowy w zakresie migreny przewlekłej. Mamy już w trakcie kontraktowania szereg ośrodków w Polsce. To pokazuje gotowość neurologów do zajęcia się tym tematem. W programie lekowym mamy możliwość leczenia toksyną botulinową typu A w I linii oraz zastosowania przeciwciał monoklonalnych- ertenumab i fremanezumab w II linii leczenia. Od listopada program B.29 oraz B.46 połączono w jeden kompleksowy program leczenia stwardnienia rozsianego. Dodano nową populację chorych na wtórnie postępującą postać SM i zrefundowano siponimod oraz nowe opcje terapeutyczne w I linii leczenia RRMS (ofatumumab, ponesimod i ozanimod). Złagodzone zostały kryteria kwalifikacji do II linii leczenia w rzutowo-remisyjnej postaci SM w tym również w przypadku szybko rozwijającej się, ciężkiej postaci RES (dla dotychczas stosowanych leków). Zarówno w I jak i w II linii leczenia RRMS dopuszczono zmianę leku na inny, tak aby dobrać najbardziej optymalną terapię do pacjenta. Pacjentom leczonym preparatami II linii umożliwiono deeskalację terapii na preparaty I linii leczenia. W 2023 r. oczekujemy na refundację cenobamatu i fenfluraminy w leczeniu padaczki lekoopornej, wprowadzenia modelu opieki kompleksowej w zaawansowanej chorobie Parkinsona, dalszego rozwoju trombektomii mechanicznej w terapii udaru niedokrwienego mózgu oraz wzrostu wycen świadczeń w neurologii.

Prof. Joanna Jędrzejczak, Prezes Polskiego Towarzystwa Epileptologii

Problem pacjentów chorujących na padaczkę lekooporną dotyczy przede wszystkim rozpoznania tego typu padaczki oraz dostępu refundacyjnego do leków stosowanych w terapii padaczki lekoopornej. Myślę, że warto odczarować pojęcie padaczki lekoopornej, ponieważ z reguły jest ona traktowana, jako wytlumaczenie: „jak nie bardzo wiem co mam zrobić z pacjentem, który ma napady, to mówię padaczka lekooporna”, i to w pewnym sensie „rozgrzesza brak naszych działań”. Jeśli bym zapytała Państwa : Co to znaczy padaczka lekooporna? Większość z Państwa powiedziałyby, że to padaczka trudna do leczenia, lekami, które mamy dostępne. To byłaby dobra odpowiedź. Być może ktoś odpowiedziałby,



że już nic kompletnie nie można zrobić i pacjent jest spisany na straty, co jest kompletnym nieporozumieniem. Celem leczenia jest zawsze dążenie do uwolnienia chorego od napadów i poprawy

jego życia. Padaczka lekooporna ma zupełnie inne znaczenie dla lekarzy, zupełnie inne dla decydentów, a jeszcze inne dla pacjenta. Trzeba na nią spojrzeć z tych perspektyw. Mamy zaakceptowaną, uznaną i stosowaną do badań naukowych definicję padaczki lekoopornej opracowaną przez epileptologów z Międzynarodowej Ligi Przeciwpadaczkowej. Padaczka lekooporna zdefiniowana jest, jako sytuacja, w której nie uzyskujemy kontroli napadów, pomimo dobrze dobranego leku lub leków do rodzaju napadów, dobrego dawkowania i dobrego stosowania przez pacjentów tegoż leczenia. Jeśli wprowadzamy dwa schematy terapeutyczne mijają dwa lata, pacjent nie ma poprawy, czyli nie uzyskujemy naszego celu, to mówimy, że to jest pacjent, u którego możemy rozpoznać padaczkę lekooporną. Na tym się kończy ta informacja, zapisujemy, odkreślamy, a należy pamiętać o dalszej części definicji. Taki pacjent powinien być skierowany do ośrodka referencyjnego, albo do tego, który ma większe doświadczenie w diagnostyce i leczeniu padaczki. Taki ośrodek i specjaliści w nim pracujący potwierdzi, że to jest lekooporność, a nie rzekoma lekooporność bądź uzna, że powinno być wprowadzone inne leczenie. Leczenie, o którym często zapominamy, czyli leczenie chirurgiczne padaczki, które jest najlepszą metodą terapii, bo jeżeli usuwamy ognisko padaczkorodne, to szansa na wolność od napadów jest bardzo duża. Dostępnymi lekami leczymy objawy choroby, obecnie nie mamy jeszcze leku, który zatrzyma proces epileptogenezy. Warto rozumieć, jakie konsekwencje niesie dla chorego rzeczywista biologiczna lekooporność. To nie tylko występowanie napadów, ale co za tym idzie wpływ na życie pacjenta: gorszą edukację i pracę, trudności w założeniu rodziny, lęk, niemożność prowadzenia samochodów i wszystkie sytuacje, które generują codzienne trudności. Padaczka lekooporna niesie ze sobą ryzyko wzrostu śmiertelności nie tylko z powodu depresji i samobójstw. W padaczce lekoopornej może wystąpić zespół nagłej nieoczekiwanej śmierci w przebiegu padaczki (SUDEP – sudden unexpected death in epilepsy), który stanowi jedną z głównych przyczyn przedwczesnego zgonu pacjentów chorujących na padaczkę. W padaczce lekoopornej 1 na 100 osób ginie nagle, często w czasie snu po napadzie. Zilustruję Państwu dążenie do poprawy życia pacjenta z rozpoznaniem lekoopornej padaczki konkretnym przykładem. Wczoraj konsultowałam pacjenta, który choruje na padaczkę już 38 lat, ma bardzo znaczące zmiany uszkodzenia mózgu i niestety został zdyskwalifikowany do zabiegu operacyjnego. W jego życiu było maksymalnie 26 dni wolnych od napadów. Dwa lata temu włączyliśmy lek nowej generacji. Wczoraj tego pacjenta kolejny raz konsultowałam ponad dwa lata jest wolny od napadów. Zapytał, kiedy może zrobić prawo jazdy. I to jest ten prawdziwy powrót do jakości życia. Mówimy, że padaczka lekooporna jest trudna do leczenia, ale tak naprawdę nie znamy przyczyn lekooporności. Czy są to zmiany morfologiczne, neurochemiczne, genetyczne. Trzeba również pamiętać o teorii transportu, czyli genetycznie uwarunkowanej trudności w przetransportowaniu cząsteczki leku do mózgu przez barierę krew-mózg. Zatem nie powinno dziwić, że po postawieniu właściwej diagnozy, rozpoznaniu padaczki lekoopornej my nie powinniśmy powiedzieć: „nic nie zrobimy”, tylko powinniśmy, albo szukać innej terapii farmakologicznej albo skierować do leczenia operacyjnego. Pozytywnym aspektem jest dobra współpraca między neurologami i neurochirurgami, polegająca na próbie stworzenia właściwej kwalifikacji chorych na padaczkę do leczenia operacyjnego, łącznie z diagnostyką nieinwazyjną i niezwykle skomplikowaną diagnostyką inwazyjną. To jest kwestia stworzenia całego systemu. Natomiast w zakresie leczenia farmakologicznego, możemy powiedzieć, że z jednej strony, że mamy sporo leków, ale one powstały 15 lat temu nie przyniosły przełomu, ponieważ nie znamy ani mechanizmu padaczki, ani procesu epileptogenezy, nie wiemy, w którym momencie przerwiemy ten proces. Trzeba być świadomym, że pomimo podawania leków proces epileptogenezy zachodzi, dlatego padaczka jest tak heterogenną, tak różną w zależności od pacjenta chorobą. Pacjent, o którym wspominałam, jest sygnałem, że takich historii jest znacznie więcej, co mnie cieszy, bo w ten sposób możemy dalej leczyć i oczekiwać na nowe leki, szczególnie o innowacyjnym mechanizmie działania.

Mając szerokie spektrum refundowanych terapii, możemy dobrać lek, nie dla padaczki, ale dla chorego z określonym rodzajem padaczki. Zwykle nie ma przełomu skuteczności, ale jest przełom objawów niepożądanych, możemy je stosować u kobiet w wieku rozrodczym, kobiety mogą rodzić dzieci. Mamy w procesie refundacji nowy lek - cenobamat, na który bardzo czekamy. Jesteśmy pełni optymizmu i głęboko wierzę, że będzie on refundowany w 2023 r. Jest to unikalny lek, o zupełnie innym mechanizmie działania i może być podawany raz dziennie, co w znakomity sposób zwiększa zgodność przyjmowania leku z naszymi zaleceniami przez pacjenta (compliance). Bardzo się cieszymy z faktu, że od 1 listopada 2022 r. jest refundowany midazolam podawany dopoliczkowo w leczeniu przedłużonych, ostrych napadów drgawkowych u niemowląt, dzieci i młodzieży (od 6 miesięcy do 18 lat). Jest to znakomita alternatywa dla refundowanego wcześniej diazepamu podawanego doodbytniczo w celu przerwania napadów drgawkowych.

Prof. Ryszard Gellert, Konsultant krajowy w dziedzinie nefrologii

Przewlekła choroba nerek, to choroba, na którą cierpi prawie 5 milionów dorosłych Polaków. Ok. 100 tys. przedwczesnych zgonów w Polsce rocznie jest spowodowanych następstwem przewlekłej choroby nerek. Ok. 3% pacjentów dożywa momentu, kiedy włączana jest dializoterapii lub przeszczepiana nerka. Co dziesiąty z tych chorych ma nowotwór, a co setny ma dwa nowotwory jednocześnie. Wynika z tego, że jest to grupa ciężko schorowanych osób, które tracą co niemiara ze swojej jakości i długości życia. Niestety, aż 90 procent tych osób, które mają przewlekłą chorobę nerek nie jest diagnozowanych. Na szczęście od 2022 r. to się bardzo mocno zmienia. W ostatnich latach pojawiło się wiele możliwości interwencji terapeutycznych i stąd może wczesna i prawidłowa diagnoza nabrała tak istotnego znaczenia. Choroby nerek i serca bardzo często współistnieją. Kardiolodzy już dawno dostrzegli, że choroba nerek jest tak samo groźna w rokowaniach sercowo-naczyniowych, jak choroba samego serca. Wiemy, że przeżycie w przewlekłej chorobie nerek jest pośrednie pomiędzy przeżyciem osób z rozpoznaną chorobą nowotworową bezprzerzutową i przerzutową, a więc nie jest to długie oczekiwane życie. Leczenie jest bardzo proste, bowiem po pierwsze trzeba chorobę rozpoznać, po drugie należy podać od dawna refundowane leki z grupy inhibitorów konwertazy angiotensyny II lub blokery receptora angiotensyny II. W listopadzie 2022 r. zrefundowano tolwaptan w ramach programu lekowego Leczenie pacjentów z autosomalnie dominującą postacią zwyrodnienia wielotorbielowatego nerek (ICD-10 Q 61.2). Lek stosuje się celem spowolnienia powstawania torbieli i progresji upośledzenia czynności nerek w autosomalnie dominującej postaci zwyrodnienia wielotorbielowatego nerek u dorosłych z przewlekłą chorobą nerek w stadium 2. lub 3. w momencie rozpoczęcia leczenia, którzy wykazują szybki postęp choroby (jest to choroba rzadka). Druga grupa leków, które niezwykle dobrze rokują w tej chwili to są flozyny (inhibitory SGLT2), czyli blokery transportera glukozy w kanaliku nerkowym proksymalnym. Są to leki, które początkowo wymyślono, jako terapię cukrzycy, ale okazało się, że chronią serce, nerki, mózg i wydłużają życie. Obserwuję pacjentów, którym postęp choroby zatrzymał się po dołączeniu flozyn. W tej chwili mamy refundowaną jedną flozynę - dapagliflozynę, w terapii przewlekłej choroby nerek u dorosłych pacjentów z eGFR<60 ml/min/1.73m², albuminurią ≥200mg/g oraz leczonych terapią opartą na ACE-i /ARB nie krócej niż 4 tygodnie, lub z przeciwwskazaniami do tych terapii. To ważne, że tak szybko została wprowadzona refundacja tego leku. Dostrzeżono korzystne efekty stosowania flozyn, które są już refundowane trzech wskazaniach: w cukrzycy, niewydolności serca i przewlekłej choroby nerek. Mam nadzieję, że dzięki



temu grupa osób umierających przedwcześnie, bez rozpoznania i błędząca między różnymi specjalistami, czyli osoby chorujące na: nadciśnienie tętnicze, cukrzycę, niewydolność serca i wiele innych, rzadkich chorób, w tym choroby nowotworowe, które do tysiąca razy częściej są spotykane u tych pacjentów niż w ogólnej populacji, będzie miała znakomity postęp w leczeniu. Pojawił się również nowy lek bloker dla receptora mineralokortykoidowego trzeciej generacji, który korzystnie wpływa na leczenie cukrzycy hamując postęp nefropatii cukrzycowej, czyli nefropatii spowodowanej cukrzycą, a jak się okazuje również u osób bez cukrzycy wywołuje niezwykle korzystny efekt. Mamy więc sporo narzędzi terapeutycznych, aby zatrzymać tę groźną i społecznie dolegliwą chorobę. Z tym większym uznaniem należy powitać program, który lekarze rodzinni dostali do rąk w ramach koordynowanej opieki POZ. Powstała ścieżka pacjenta z przewlekłą chorobą nerek - od lekarza rodzinnego do przeszczepienia nerki, którą w grudniu 2022 bardzo pozytywnie zaopiniowała Rada Przejrzystości AOTMiT. Prezes AOTMiT rekomenduje ministrowi dalsze procedowanie i wdrożenie pakietu rozwiązań dla pacjentów z przewlekłą choroby nerek. To jest przełom i ogromny postęp, a jeżeli uda się wdrożyć ten program w życie, to średnia długość życia Polaków powinna wzrosnąć o dwa lata.

***Prof. Ryszard Grenda, Kierownik Kliniki Nefrologii
Transplantacji Nerek i Nadciśnienia Tętniczego Centrum
Zdrowia Dziecka***



Atypowy zespół hemolityczno-mocznicowy (aHUS), to genetycznie uwarunkowana mikroangiopatia zakrzepowa, przebiegająca z małopłytkowością i niedokrwistością hemolityczną, spowodowana niekontrolowaną aktywacją układu dopełniacza, z dominującym w obrazie klinicznym - upośledzeniem czynności nerek. Oznacza to, że wskutek trwałego defektu układu dopełniacza dochodzi do hemolizy krwinek czerwonych w różnych inicjujących okolicznościach, pod wpływem infekcji lub w trakcie stosowania swoistych leków (np. onkologicznych). W przebiegu aHUS często również uszkodzane są także inne narządy, w tym ośrodkowy układ nerwowy – stąd obok zakrzepicy nerek i hemolizy mogą występować poważne objawy neurologiczne stanowiące stan zagrożenia życia. Kiedyś leczyliśmy te choroby plazmaferezą. Plazmafereza, czyli wymiana osocza, polega na „oczyszczaniu” osocza krwi z niepożądanych cząsteczek techniką pozaustrojową. Osocze pacjenta wymienia się na osocze pobrane wcześniej od zdrowych dawców krwi. Obecnie podstawową metodą leczenia jest podawanie monoklonalnego przeciwciała doraźnie blokującego układ dopełniacza (ekulizumabu), które jest w stanie szybko zatrzymać chorobę na bardzo wstępnym etapie. Lek ten jest dostępny od kilku lat w programie lekowym dla dzieci i dla chorych dorosłych, bo ta sama choroba występuje w różnym wieku. W tej chwili ok. 100 osób w Polsce było już ocenianych przez (powołany przez NFZ) zespół koordynujący, który szybko kwalifikuje każdy nowy przypadek do tej terapii, dzięki czemu większość tych chorych jest skutecznie i w porę leczona. Ekulizumab bywa również stosowany po transplantacji nerki. Nadal na liście oczekujących na transplantację nerki są pacjenci dializowani, którzy w przeszłości utracili czynność własnych nerek w przebiegu mikroangiopatii zakrzepowej (w czasach, kiedy ten lek nie był jeszcze dostępny) i teraz, jako potencjalni biorcy przeszczepu nerki-trafiają do transplantologów. To jest między innymi domena Centrum Zdrowia Dziecka, które od wielu lat jest jedynym ośrodkiem dziecięcym przeszczepiającym nerki w Polsce (do tej pory łącznie przeszczepiono tu ok. 1100 nerek). Pacjenci chorujący na aHUS w przeszłości, mogą być skutecznie przeszczepieni pod warunkiem, że od pierwszego dnia po operacji dostają ekulizumab, którego dawki (tak jak w leczeniu pierwotnej choroby) podaje się potem dożylnie co 2 tygodnie. Inaczej groziłby im szybki nawrót

choroby, niszczący przeszczep nerki. Obecnie czekamy na refundację nowej odmiany tego leku, o przedłużonym działaniu – czyli rawulizumabu. Nasi pacjenci jak dotąd, dojeżdżają do szpitala co drugi tydzień, niekiedy pokonując duże odległości, celem podania dożylnie kolejnych dawek ekulizumabu. Leczymy tak m.in. małe dzieci – więc np. 1,5 rocznemu dziecku trzeba ponad 20 razy w roku zakładać dostęp naczyniowy, żeby podać kolejną dawkę. Przy refundacji (dostępności) rawulizumabu można by to robić tylko 6 razy w roku, co znakomicie poprawiłoby jakość życia pacjenta i jego rodziny. Mam nadzieję, że rawulizumab będzie refundowany dla polskich pacjentów w 2023 r. i zastąpi poprzednią odmianę leku.

Korzystając z okazji powiem o innej ultraradkiej chorobie, jaką jest pierwotna hiperoksaluria typu I, czyli oksaloza. Jest to choroba genetyczna, związana z nadmierną kumulacją szczawianów wapnia w ustroju, rozwijającą wskutek wrodzonego niedoboru enzymu swoistego dla metabolizmu szczawianów. Brak enzymu powoduje, że w całym organizmie (w wielu narządach) odkładają się liczne złogi szczawianu wapnia, nieodwracalnie uszkadzając ich czynność oraz strukturę. M.in. tacy pacjenci potrzebują dializoterapii, bo jednym z uszkodzonych narządów są nerki. Do niedawna docelową metodą leczenia oksalozy było przeszczepienie nie tylko nerki, ale także wątroby, ponieważ niedobór swoistego enzymu ma swoje źródło w wątrobie. Dzięki Ministrowi Zdrowia od 1 marca 2022 r., w ramach programu lekowego „B.129 - Leczenie chorych na pierwotną hiperoksalurię typu 1” do programu lekowego zawierającego lumasiran kwalifikowani są pacjenci z oksalozą i przewlekłą chorobą nerek w stadium I-III. Lumasiran jest oparty na najnowszej technologii, podobnej do tej stosowanej przy produkcji szczepionek na COVID-19. Wstrzykiwanie tego leku podskórnie raz na kilka tygodni powoduje, że metabolizm szczawianów się poprawia do tego stopnia, że nie trzeba już przeszczepiać wątroby w tym wskazaniu. Jest to olbrzymi sukces technologii medycznej, w wyniku której wstrzykiwanie podskórnie innowacyjnego leku pozwala na eliminację konieczności przeszczepienia wątroby. Moim osobistym marzeniem, jako osoby, która kwalifikuje dzieci do transplantacji jest rozszerzenie wskazań refundacyjnych dla lumasiranu również dla chorych dializowanych (czego obecne kryteria kwalifikacji do leku nie obejmują), po to, by można było im przeszczepiać samą nerkę, bez konieczności transplantacji wątroby. Mam nadzieję, że kryteria dla stosowania lumasiranu zostaną rozszerzone w 2023 r.

Prof. Paweł Bogdański, Prezes Polskiego Towarzystwa Leczenia Otyłości

Z ogromnym zainteresowaniem przysłuchiwałem się postępowi, który dokonuje się w medycynie. Jestem pod ogromnym wrażeniem nowych terapii, które możemy wykorzystać w onkologii, czy w leczeniu chorób rzadkich. Otyłość jest ogromnym zagrożeniem zdrowotnym i systemowym. Jeśli nie podejmiemy, tu i teraz działań w celu zmierzenia się z pandemią otyłości to za moment może zabraknąć środków w systemie ochrony zdrowia, w tym również nowoczesne opcje terapeutyczne. Dane OECD pokazały, że jeśli nie podejmiemy odpowiednich działań, to do 2050 r. średnia długość życia przeciętnego Polaka z powodu otyłości zmniejszy się o 4 lata. Jest to drugi najgorszy wynik wśród 52 badanych krajów, po Meksyku. Otyłość jest ogromnym zagrożeniem zdrowotnym. Obserwujemy wzrost otyłości bez precedensu w historii Polski, a polskie dzieci tyją najszybciej w Europie - to dane Światowej Organizacji Zdrowia (raport z maja 2022 r.). Pacjenci chorujący na otyłość, ustawiają się w coraz dłuższych kolejkach do wielu różnych specjalistów, którzy tak naprawdę leczą powikłania otyłości. Otyłość generuje ponad 200



chorób i zaburzeń zdrowotnych. Otyłość była najważniejszą przyczyną gorszego przebiegu COVID-19 i doprowadzając do przedwczesnej śmierci wielu Polaków. Jako Polskie Towarzystwo Leczenia Otyłości próbujemy podejmować działania w trzech obszarach. Po pierwsze, zwiększamy świadomość w zakresie zagrożeń wynikających z choroby otyłościowej. Już trzy lata prowadząc kampanię społeczną „Porozmawiajmy szczerze o otyłości” odnotowujemy wzrost zrozumienia wśród mieszkańców naszego kraju, że otyłość jest chorobą, którą trzeba leczyć po to, żeby zapobiegać rozwojowi wielu powikłań. Szkolimy lekarzy, którzy nabywają wiedzy kompetencji i umiejętności, między innymi poprzez prowadzony program certyfikacji. Jako Polskie Towarzystwo Leczenia Otyłości w maju 2022 r. opublikowaliśmy „Zalecenia kliniczne dotyczące postępowania u chorych na otyłość 2022”. Pracujemy nad zmianami systemowymi. Bardzo cieszymy się z powołania 24 października 2022 r. przez Ministra Zdrowia Zespołu, który ma przygotować pilotażowe programy kompleksowego leczenia otyłości dla pacjentów poniżej 18 roku życia, jak i dorosłych. Bardzo cieszymy się również z powołanego 8 grudnia 2022 r. Partnerstwa na Rzecz Profilaktyki i Leczenia Otyłości. Obserwujemy postęp w zakresie możliwości wykorzystania nowoczesnych form terapii farmakologicznej. Będzie to rzeczywiście szansa dla wielu Polaków na poprawę skuteczności terapii. Amerykanie policzyli, że jeden dolar zainwestowany w profilaktykę leczenia otyłości zwraca się pięciokrotnie.

Prof. Brygida Kwiatkowska, Krajowy konsultant w dziedzinie reumatologii

Najistotniejsze kwestie związane z opieką nad pacjentem z chorobami autoimmunologicznymi, które zadziały się w 2022 r. to nowe refundacje leków w reumatologii oraz projekt kompleksowej opieki nad wczesnym zapaleniem stawów. Projekt pilotażowy, który pozwoli nam przenieść opiekę nad tymi pacjentami z lecznictwa szpitalnego do lecznictwa ambulatoryjnego, a jednocześnie traktować tych pacjentów kompleksowo, bo w ramach tego projektu jest również możliwość konsultowania z innymi specjalistami. Choroby reumatyczne obejmują wszystkie narządy. W związku z powyższym jest bezwzględnie konieczna współpraca interdyscyplinarna. Nie ma chorego na zapalną chorobę reumatyczną, który by nie wymagał wsparcia diagnostyki różnicowej, czy na pewnym etapie leczenia swoistego u innych specjalistów. I to jest rzeczywiście spektakularny sukces. Kolejnym projektem, który powinien być zrealizowany w reumatologii, to jest referencyjność ośrodków klinicznych. Jest duże zróżnicowanie w jakości opieki nad pacjentem z zapalną chorobą reumatyczną. Są ośrodki, w których pacjent traci cenny czas na diagnostykę, do której te placówki nie są merytorycznie przygotowane. Uważam, że bardziej skomplikowane choroby, takie jak toczeń rumieniowaty układowy, czy inne choroby tkanki łącznej, wymagają specjalistycznego podejścia tak, aby w krótkim czasie pacjentowi pomóc i włączyć właściwe leczenie. Bardzo dużym wyzwaniem jest osteoporoza. Bardzo ważnym jest kontynuowanie refundacji nowych leków w reumatologii. Liczę na to, że pierwszy lek w toczeniu rumieniowatym układowym zostanie zrefundowany w 2023 r. Jest to jedyna w tej chwili możliwość skutecznego leczenia tych chorych, którzy nie reagują na te leki, które mamy w tej chwili w ramach refundacji.



Mec. Grzegorz Rychwalski, Wiceprezes Polskiego Związku Pracodawców Przemysłu Farmaceutycznego



Jako Polski Związek Pracodawców Przemysłu Farmaceutycznego często podkreślaliśmy, jak istotna jest niezależność lekowa Polski. Temat bezpieczeństwa lekowego podnosimy już od kilku lat. Kiedy zaczęliśmy mówić o bezpieczeństwie lekowym, często spotykało się to z uśmiechem i komentarzem: „o czym Wy w ogóle mówicie, bezpieczeństwo lekowe? Leki są, będą i nie ma żadnego problemu”. Jak pokazała perspektywa ostatnich kilku lat, pandemia COVID-19, wojna w Ukrainie nic nie jest dane raz na zawsze. Leki to nie jest coś, co zawsze będzie, a zerwane łańcuchy dostaw, ryzyko braku leków są realnym zagrożeniem. Wskazujemy na to, że dostępność do produktów leczniczych powinna być priorytetem rządu. Braki leków mogą powstawać na różnych etapach. Najczęściej skupiamy się na tym, że w aptece nie ma leku. Pojawia się wiadomość medialna, że pacjent musi czekać 2-3 dni na lek, albo ten lek jest zamieniany. Wtedy jest największa dyskusja, że brakuje leków w aptece. Tylko trzeba postawić pytanie, dlaczego tego leku brakuje? Pragniemy przypomnieć, że konieczne są mechanizmy wsparcia dla producentów leków. Powinno to mieć jeden cel – żeby mechanizm, który zostanie wypracowany, służył pacjentom i zwiększał produkcję lekową w kraju. W projekcie ustawy refundacyjnej są zapisy, które miałyby przybliżać nas do tego celu. Wskazujemy na pewne założenia, które powinny być zmierzone, żeby ten cel osiągnąć. Niemniej, projekt ustawy wykuwa się w „bólach legislacyjnych”, a my wskazujemy na to, że projekt, który był pisany przed wojną, przed pandemią COVID-19, w zupełnie innej sytuacji geopolitycznej i gospodarczej powinien być zmieniony. Według Polskiego Związku Pracodawców Przemysłu Farmaceutycznego, powinny być opracowane i wdrożone jak najszybciej mocne mechanizmy wsparcia i rozwoju krajowej produkcji leków. Bo mówimy nie tylko o rozwoju krajowej produkcji leków, ale także stymulowaniu tego, żeby inne firmy, które teraz sprzedają swoje leki w Polsce - dobre, potrzebne, o których to lekach Państwo mówicie - przy decyzjach strategicznych o wyborze kraju, w którym warto zainwestować, lokowały tę produkcję w Polsce. Te mechanizmy wsparcia mogłyby temu służyć i mamy nadzieję, że jeżeli prace legislacyjne nad projektem ustawy refundacyjnej by się przedłużyły, to wyjęcie takiego mechanizmu i przeprowadzenie go szybką ścieżką legislacyjną - czy to rządową, czy poselską - mogłoby mieć miejsce. Jedną z dobrych rzeczy, która jest w tym projekcie jest zmiana wskaźnika procenta dopłaty pacjentów. Najnowszy raport „Health at a Glance” pokazuje, że w Polsce dopłata pacjenta do leków jest najwyższa. Więc jeżeli jakiegokolwiek mechanizmy są już zawarte w projekcie ustawy, to może warto je szybciej procedować.

Często jesteśmy pytani: „jak to jest, że przemysł farmaceutyczny mówi, że jest ciężko, a produkcja farmaceutyczna rośnie w Polsce”. Z jednej strony bardzo dobrze, że rośnie, tylko pytanie – dlaczego rośnie? Rośnie sprzedaż leków OTC i leków nier refundowanych, a więc tych produktów leczniczych, których cena nie jest sztywna. Warto, aby Ministerstwo Zdrowia bardziej skupiło się na walce z brakami leków refundowanych.

Apeluję do Ministerstwa Zdrowia, żeby wspólnie przekonać Ministerstwo Klimatu do tego, żeby branżę farmaceutyczną i hurtowników wpisać na listę podmiotów chronionych w dostępie do energii i do gazu. Oczywiście można powiedzieć, żeby produkcję przenieść na inny moment, kiedy będzie większy dostęp do energii. Jednak przechowywanie leku musi być cały czas w określonym reżimie. Jeżeli w jakimś momencie wyjdziemy z tego reżimu, który jest monitorowany przez Główny Inspektorat Farmaceutyczny, to cała partia leku będzie musiała być zniszczona. Więc nie dość, że to spowoduje braki leków i zagrożenie bezpieczeństwa zdrowotnego pacjentów w Polsce, to będzie też generować

starty finansowe. Latem 2022 r. apelowaliśmy całą branżą o zespół przy Ministrze Zdrowia, który by wypracował zmiany legislacyjne. Zespół niestety nie powstał, a my wypracowaliśmy kluczowe zapisy, więc zachęcam do współpracy.

***Prof. Marcin Czech, Prezes Polskiego
Towarzystwa Farmakoekonomicznego***

W obecnej sytuacji światowego kryzysu zdrowia i w zupełnie nowej sytuacji geopolitycznej powinny być aktualizowane priorytety polityki lekowej. Jediną pewną rzeczą, jeśli chodzi o 2023 r. będzie niepewność. Uważam, że trzeba zwrócić uwagę na różne wyzwania kryzysowe, które są wokół nas. Powinniśmy wspierać, jako Państwo wszystkich, którzy w Polsce zajmują się produkcją i dystrybucją leków. Przemysł farmaceutyczny powinien być jednym ze strategicznych zasobów Polski i że trzeba o niego w szczególny sposób dbać. Jako autor pierwszego dokumentu pt. „Polityka Lekowa Państwa 2018-2022” apeluję, żeby spojrzeć jeszcze raz na wszystkie regulacje, które mamy i na to, co jest najważniejsze i zrobić przegląd tego, co ten dokument regulował. Można to zrobić na różne sposoby. Możemy zrobić raport, co jeszcze nie zostało zrobione, co zostało wykonane dobrze, co trzeba uzupełnić. Możemy też, co pewnie jeszcze jest ambitniejsze, uaktualnić dokument i stworzyć nową politykę lekowa na następne lata – tym bardziej że obecny dokument kończy się w tym roku. Za tym powinny pójść zmiany legislacyjne, te które są najbardziej potrzebne. Są to m. in. zmiany dotyczące Funduszu Medycznego, ustawy refundacyjnej, czy też ciągłe zmiany prawa farmaceutycznego.



Dr Krzysztof Łanda, Fundacja Watch Health Care

Polsce jest potrzebny silny Refundacyjny Tryb Rozwojowy, ponieważ należy budować, wzmacniać i rozwijać przemysł medyczny, zarówno sektor farmaceutyczny, jak i wyrobów medycznych. Polska ma bardzo duży potencjał, który mam wrażenie, że wszystkie kolejne rządy tak naprawdę niszczyły i niszczą, utrudniając nie tylko rozwój przemysłu farmaceutycznego w Polsce, ale oprócz tego jeszcze dokręcając mu śrubę. To jest dwugłós, schizofrenia, którą słyszę w polskiej polityce od lat. Z jednej strony mamy zespoły parlamentarne do spraw patriotyzmu ekonomicznego, które mają pełne usta górnolotnych frazesów, natomiast z drugiej strony przecież – po czynach ich poznać. I zobaczcie Państwo, co się dzieje z przemysłem medycznym. Każda konstruktywna regulacja, która nawet nie generuje zbyt wysokich kosztów, albo nawet żadnych kosztów po stronie publicznej, spotyka się albo z niechęcią, albo z odmową, albo jest kompletny brak działania. Refundacyjny Tryb Rozwojowy został opracowany przecież wniosek inicjatywy Premiera Mateusza Morawieckiego. No i co? I nic. Projekt jest gotowy od 2016 r. Jest zgodny z prawem unijnym, a podobne systemy funkcjonują w Hiszpanii czy Belgii. Tam szanuje się przemysł medyczny. W Korei Południowej jednym z najważniejszych priorytetów rządu jest rozwój przemysłu medycznego, bo oni wiedzą, że wokół niego może się rozwinąć jeszcze kilka innych branż. Tam priorytety są traktowane poważnie. Koreańczycy wiedzą, w wyrobach medycznych jest szybki zwrot z inwestycji i potrzebne stosunkowo niewielkie nakłady. W farmacji są projekty o gigantycznych budżetach, dlatego dziwi mnie wypowiedzi medialne niektórych polityków, że 300 milionów złotych inwestowane w przemysł farmaceutyczny w Polsce mogą coś zmienić. To jest po prostu śmieszne. Nie tylko ja mam wrażenie, że przemysł medyczny jest w Polsce mordowany, chociaż łatwo mógłby się stać kołem zamachowym



gospodarki. Trzeba jak najszybciej wprowadzić silny RTR, jako kryterium refundacyjne. Wtedy w świat poszłaby informacja, że w Polsce dzielimy 15 miliardów złotych na refundację przy uwzględnieniu partnerstwa z polską gospodarką. To można zrobić w ciągu jednego dnia. Nasz obecny parlament ma doskonałe doświadczenia we wprowadzaniu szybkich regulacji prawnych, a tutaj akurat są gotowe od 2016 r. W zakresie refundacji leków Pan Minister Miłkowski naprawdę wykonuje dobrą robotę i zwiększa dostęp do innowacyjnych leków i innowacyjnych metod leczenia, praktycznie we wszystkich dziedzinach. Chciałem Państwu zwrócić jednak uwagę na to, że to wszystko dzieje się w ramach odsetkowo spadającego budżetu na refundację leków. Czyli tak naprawdę są dodatkowe pieniądze, są dodatkowe refundacje, ale też z drugiej strony działają mechanizmy erozji cen, czyli wiele leków wprowadzonych wcześniej jest już dziś znacznie tańszych. Uwolnione w ten sposób i dodatkowe środki w NFZ pozwalają na nowe refundacje w jeszcze szerszym zakresie. Tak naprawdę moglibyśmy refundować znacznie więcej innowacji, gdyby procent wydatków na leki w całkowitym budżecie NFZ przynajmniej nie spadał, gdyby był z roku na rok stabilny. Wg. naszych analiz prowadzonych przez Fundację Watch Health Care niestety rosną kolejki do lekarzy, do świadczeń zdrowotnych, do terapii i do diagnostyki. A kolejka jest technologią o udowodnionej szkodliwości. Tak, kolejka jest technologią medyczną, ponieważ zgodnie z definicją technologii medycznych, aranżacje systemowe są również technologiami medycznymi, a więc można i ocenia się ich skuteczność, bezpieczeństwo, efektywność kosztową oraz wpływ na budżet płatnika, czy państwa. Kolejki niestety wydłużają się porównując dane rok do roku, niezależnie oczywiście od przyczyn.. Średni czas oczekiwania na wszystkie świadczenia wskaźnikowe, które my monitorujemy, we wszystkich możliwych dziedzinach medycyny wzrosły o 0,2 miesiąca – z 3,4 miesięcy do 3,6 miesięcy. Wydawałoby się, że to jest niedużo, ale jednak to w niektórych obszarach wygląda fatalnie. Jeśli chodzi o lekarzy specjalistów, to kolejka rok do roku wzrosła z 2,9 miesiąca do 4,1 miesiąca. Na badania diagnostyczne – z 1,9 do 2,5 miesiąca. Oczywiście, to co się wydarzyło w naszym systemie ochrony zdrowia ostatnio, to wszyscy wiemy. Po pierwsze, to wpływ pandemii COVID-19, która wywołała dług zdrowotny. Z jednej strony ludzie nie chodzili do lekarzy, a choroby rozwijały się, osiągały bardziej zaawansowane stadia i to dziś wpływa na wydłużenie kolejek. Ale z drugiej wielu umarło. 200 tysięcy zgonów, to jednak jest pokaźna liczba i to szczególnie chorych z wieloma chorobami, co teoretycznie powinno kolejki skrócić. Zmniejszyła się populacja Polski, ale z kolei na zwiększenie kolejek wpłynęło pojawienie się w Polsce paru milionów uchodźców z Ukrainy. My nie badamy przyczyn zwiększania długości kolejek, ale mierzymy i pokazujemy, jakie to efekty wywołuje. Fundacja Watch Health Care opracowuje Barometr już od 10 lat. 10 lat temu, średni czas oczekiwania pacjenta na wskaźnikowe świadczenia zdrowotne monitorowane na stałe wynosił między 2,5 a 2,7 miesiąca. Teraz to jest 3,6 miesiąca, czyli czas oczekiwania zwiększył się o około miesiąc. Konstatacja jest jednoznaczna. Publiczny system opieki zdrowotnej w Polsce osiada jak kompost. To dobrze, że mamy coraz większy dostęp do innowacyjnych metod leczenia, ale pacjenci mają coraz gorszy dostęp do opłacalnych, skutecznych i powszechnie potrzebnych świadczeń zdrowotnych oraz po prostu na wizytę u lekarza. Prywatna opieka zdrowotna na szczęście się rozwija, ale publiczna niestety się pogarsza – może o to właśnie politykom chodzi? Zachęcam Państwa do przeczytania tygodnika „Wprost”, w którym jest obszerny wywiad z Prezeską Fundacji Watch Health Care – Panią Mileną Kruszewską. Ten wywiad przedstawia przyczyny fatalnego stanu opieki zdrowotnej w Polsce i punktuje zaniechania ze strony polityków w zakresie poważnych reform systemu oraz braku nauki od krajów, w których opieka zdrowotna działa bardzo dobrze.

Dyrektor Joanna Parkitna, Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji



W 2022 r. w Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji opracowano raporty bądź przygotowano projekty dla bardzo dużej liczby zmian systemowych, których rezultaty albo jeszcze w tym albo kolejnym roku odczują przede wszystkim pacjenci. Oczywiście, tutaj chcę podkreślić, że sukcesem AOTMiT jest przygotowanie materiałów analitycznych, projektów taryf, wydanie rekomendacji, czy opinii, natomiast wdrożenie tych rozwiązań, refundacja leku lub świadczenia medycznego to już jest sukces ministra zdrowia i jego współpracowników, którzy są odpowiedzialni za przygotowanie zmian ustawowych i kolejnych obwieszczeń refundacyjnych. To był bardzo trudny rok, jeśli chodzi o ilość zadań, które realizowaliśmy. Jeśli chodzi o świadczenia nielekowe, to opracowaliśmy duże zmiany w zakresie zasadności przesunięcia górnej granicy wieku kwalifikującego do udziału w programach badań przesiewowych raka piersi, raka szyjki macicy, raka jelita grubego. Przygotowane zostały raporty i oceny nowych świadczeń i nowych technologii medycznych w leczeniu ostrej, lub przewlekłej choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi, mechanicznego wspomaganie serca pompą wspomagającą lewą komorę serca oraz wiele, wiele innych. W sumie powstało około 50 obszernych raportów analitycznych wspomagających wydanie decyzji refundacyjnych Ministra Zdrowia, które były wykonane przez zespół Wydziału Świadczeń. Jeśli chodzi o świadczenia lekowe, wykonaliśmy ponad 200 raportów. Jeśli lek znalazł się na liście leków refundowanych, czy też na liście leków o wysokiej innowacyjności, to oznacza, że Agencja go oceniła. Rok 2022 to też bardzo duża liczba ocen proponowanych przez Ministra Zdrowia zmian w programach lekowych. Część tych propozycji wejdzie w życie jeszcze w 2022 roku ale na pewno duża część ocenionych już programów wdrażana będzie przez MZ w związku z kolejnymi listami refundacyjnymi już w 2023 roku. Obecnie przygotowujemy ocenę HTA, dla długo oczekiwanej przez różne środowiska propozycji, objęcia dziewczynek i chłopców szczepieniami przeciwko HPV. Od 2023 Minister Zdrowia planuje rozpoczęcie szczepień zarówno u chłopców, jak i dziewczynek od rocznika 2010/2011. Jeśli chodzi o plany w obszarze lekowym na 2023 r., to czeka nas jeszcze praca nad kilkoma zmianami w programach lekowych m. in. dot. raka gruczołu krokowego, raka przełyku i żołądka czy też dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego. Na pewno też sporo wniosków refundacyjnych – już dziś wiem że będą to wnioski dotyczące takich obszarów jak nowotwory przełyku i żołądka, nie drobnokomórkowy rak płuca, rak piersi, szpiczak plazmocytowy czy też cukrzyca typu 2.

W tej chwili w Europie przygotowywana jest metodologia wspólnej oceny HTA. 2023 r. upłynie pod hasłem przygotowania zmian legislacyjnych pod rozporządzenie unijne. Od 2025 do 2028 r., wspólnej europejskiej ocenie HTA będą podlegały nowo zarejestrowane leki onkologiczne. Pozwoli to na ujednoczenie opinii europejskie, jeśli chodzi o ocenę kliniczną leków oraz prawdopodobnie przyspieszy proces składania wniosków refundacyjnych w poszczególnych krajach. W tej chwili Ministerstwo Zdrowia czeka mniej więcej około 2-3 lat na złożenie wniosku refundacyjnego przez firmę farmaceutyczną. W innych krajach dzieje się to zdecydowanie szybciej. Stąd też bierze się długi czas oczekiwania na refundację niektórych leków w Polsce. Od 2028 r. będą objęte wspólną oceną leki sieroce, natomiast od 2030 r. wspólne raporty HTA wykonywane będą dla wszystkich leków nowo rejestrowanych przez EMA. Więc to duża zmiana, która nas czeka i do której dobrze musimy się przygotować. Warto wspomnieć, że w Ministerstwie Zdrowia został powołany zespół do ustalenia standardów i zasad wczesnego dostępu do leków. Państwa członkowskie Unii Europejskiej mogą udostępnić pacjentowi lek do indywidualnego stosowania w chwili, kiedy jest on przedmiotem wniosku

o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, lub jest w trakcie badań klinicznych. Takim wczesnym dostępem, mogą być objęci pacjenci, którzy mają chorobę chroniczną, wycieńczającą, czy traktowaną jako zagrażająca życiu. Jest to kolejny pomysł na to, żeby pacjentom udostępnić terapię jeszcze przed albo w trakcie oceny przez Europejską Agencję Leków. Zatem jeśli do tego dojdzie, a mam nadzieję, że 2023 r. wypracowane zostaną konkretne rozwiązania, to nie tylko będziemy mieć Ratunkowy Dostęp Do Technologii Lekowych IRDTL), szybką ścieżkę refundacyjną leków o wysokim stopniu innowacyjności (TLI), ale również leki, które będą dostępne dla pacjentów w ramach indywidualnego stosowania wczesnego w czasie rejestracji.

W 2023 r. taryfikacją zostaną objęte choroby układu nerwowego, opieka paliatywna i hospicyjna. W 2022 r., jeśli chodzi o taryfy, do AOTMiT dane kosztowe przekazało około 1 600 świadczeniodawców – to niebagatelna ilość materiału analitycznego która posłużyła do przygotowania projektów taryf. Również w ramach Wydziału Taryfikacji w Agencji uruchomiony został projekt szkoleniowy „kolegium AOTMiT”. Jest to projekt szkoleniowy w ramach którego dzielimy się naszą wiedzą i doświadczeniami przede wszystkim z zakresu rachunku kosztów. Projekt jest dedykowany głównie dla pracowników szpitali oraz innych świadczeniodawców. Już dziś chętnych do wzięcia udziału w tym projekcie jest około pół tysiąca osób.

***Ksiądz Władysław Duda, Dyrektor
Archidiecezjalnego Zespołu Domowej
Opieki Paliatywnej***

2022 r. był bardzo trudny w opiece paliatywnej i hospicyjnej. To był czas, kiedy hospicja zostały „zasypane żniwem pandemii”, a przeżycia chorych były nawet kilkudniowe. A z tym się wiąże również problem finansowania tej opieki. Parę dni temu, z przedstawicielami Forum Hospicjów Polskich rozmawialiśmy z Panem Prezesem AOTMiT na temat retaryfikacji świadczeń w opiece hospicyjnej i paliatywnej. Wiadomo, że hospicja zawsze były niedofinansowane. Hospicja stacjonarne dokładały średnio do stawki NFZ około 40%, a hospicja domowe w granicach 20-30%, żeby mogły funkcjonować i się utrzymać. Społeczeństwo ubożeje, w związku z tym możliwość pozyskiwania środków poza środkami NFZ również spada. Hospicja nie mogą się zadłużać, bo są to w większości instytucje pozarządowe. Już w tej chwili mamy kilka hospicjów w Polsce, które zakończyły swoją działalność, właśnie ze względu na niemożność dalszego funkcjonowania.



***Dr Małgorzata Gałązka-Sobotka, Dyrektor Instytutu
Zarządzania w Ochronie Zdrowia Uczelni Łazarskiego***

Wielokrotnie pada w debacie słowo „dług zdrowotny”, ale podkreślenia wymaga fakt, że nie pojawił się od tylko w kontekście pandemii, już na jej starcie polskie społeczeństwo charakteryzowała dosyć słaba kondycja zdrowotna, co potwierdzały wskaźniki epidemiologiczne ilustrując ogromny dystans w stanie zdrowia Polaków na tle innych społeczeństw europejskich. Tłumaczyliśmy sobie to tym, że przez wiele lat zaniedbywaliśmy inwestycje w zdrowie co odzwierciedlały chociażby wydatki na zdrowie, jako odsetek PKB. Wprawdzie tylko w ostatnich



pięciu latach publiczne nakłady na opiekę zdrowotną wzrosły z ok. 90 mld zł w 2017 r. do ok. 125 mld w 2021 to najnowsze dane OECD pozbawiły nas złudzeń, i jednoznacznie pokazały, że należymy do krajów o najniższych nakładach względem osiąganego dochodu narodowego. Dynamika nakładów na zdrowie, względem tempa rozwoju gospodarczego jest porównywalna co utrzymuje prawie *status quo* nakładów na zdrowie do PKB na przestrzeni ostatnich lat. Kończąc jeden rok i wchodząc w kolejny, przepełniony niepewnością i licznymi zagrożeniami musimy być jednak zdolni do większego pragmatyzmu w ocenie sytuacji. Często wpadamy w pułapkę pewnej poprawności politycznej, która nie służy nam, społeczeństwu i najważniejszemu z kapitałów, czyli kapitałowi zdrowia. W czasie kryzysu gospodarczego oraz wojny, która toczy się za naszą granicą i generuje bezprecedensową falę uchodźstwa musimy wiedzieć, o jaką stawkę walczymy, jaką rolę i znaczenie dla naszego bezpieczeństwa ma zdrowie naszych obywateli, zatem stabilność systemu ochrony zdrowia. Mamy, z jednej strony pewien powód do satysfakcji, ponieważ wartościowo pieniędzy w budżecie NFZ jest systematycznie coraz więcej, natomiast jeśli oceniamy ich realną wartość, to widzimy, że ich siła nabywcza słabnie. Plan finansowy publicznego płatnika pęcznieje nieustannie z roku do roku, ale czy to nam gwarantuje wzrost wartości zdrowotnej, czy poprawia dostępność, bezpieczeństwo, równość, skuteczność. Wydolność systemu ochrony zdrowia mierzona jest nie tylko ilością dostępnych zasobów ludzkich, finansowych, organizacyjnych, sprzętowych, ale przede wszystkim efektywnością ich wykorzystania. Tymczasem my nie do końca sprawnie radzimy sobie z wydawaniem tej większej liczby banknotów (nominału), co widać zarówno w sprawozdaniu z realizacji planu finansowego NFZ za rok 2021, w którym znalazło się ok 10 mld niewykorzystanych środków, jak również Funduszu Medycznego, w którym wykorzystano jedynie ok 30% zabezpieczonych na ten rok środków. A z drugiej strony, zderzamy się z kolejkami, niezaspokojonymi potrzebami zdrowotnymi, w wielu obszarach dalekimi od satysfakcjonujących wyników leczenia. Pojawia się pytanie, jak wyjść z tego impasu? Wydaje się, że stoimy w obliczu bardzo głębokiej redefinicji modelu organizacji i finansowania opieki zdrowotnej. Wiele prac systemowych, regulacyjnych podjętych w ostatnich latach wskazuje na świadomość tej potrzeby. Rozwijają się programy opieki koordynowanej, zarówno na poziomie POZ, jak i opieki specjalistycznej, powstają fundamenty krajowej sieci onkologicznej, kardiologicznej, szerokim strumieniem zwiększa się dostęp do nowoczesnych technologii lekowych, wprowadza mechanizmy premiowania wyników leczenia, poprawia warunki pracy personelu medycznego. Teoretycznie powinno być znacznie lepiej. Ale niestety w wielu obszarach nadal mamy do czynienia bardziej z dostępnością administracyjną i refundacyjną. A pacjenta interesuje dostępność rzeczywista – dostępność do lekarza, dostępność do kompleksowej diagnostyki, nierozpisanej na tygodnie i miesiące, tylko dostępnej we właściwym czasie. Mówimy wciąż o długich kolejkach i czasie oczekiwania na świadczenia decydujące o sprawności, wydajności pracy. O sukcesie w organizacji opieki nie decyduje jednak liczba porad i procedur, ale ich skuteczność. Może powinniśmy sobie przewrotnie postawić cel, że procedur będziemy realizowali mniej w systemie opieki zdrowotnej, ale będą one bardziej kompleksowe, lepiej skoordynowane, skuteczne. Na pewno, niezbędne jest przemodelowanie mechanizmów finansowania świadczeń, które będą motywowały świadczeniodawców do optymalizacji ścieżki pacjenta i uzyskania najbardziej optymalnych efektów terapii. Paradoksalnie doszliśmy do momentu, gdy w wielu obszarach mamy dostęp do wielu nowoczesnych terapii, ale wciąż w wielu ośrodkach się z nich nie korzysta w pełnym wymiarze i adekwatnie do standardów postępowania diagnostyczno-terapeutycznego. Mamy coraz więcej środków, ale nie przekładają się one wprost na jakość. Wciąż kultura jakości i bezpieczeństwa jest naszym celem a nie stanem, który procentuje kapitałem zdrowia. Wiemy, że jest to wielka słabość polskiego systemu ochrony zdrowia. Mamy dwie rzeczywistości – rzeczywistość naukową, w której optymalne algorytmy postępowania są opisane i praktykę kliniczną, która często mija się z wytycznymi.

Dlatego na progu 2023 r., w którym toczyć się będzie zażarta walka polityczna warto zapytać polityków jak chcą wzmocnić sektor zdrowia. Jakie działania są skłonni podjąć, aby wzmocnić determinację, nie tylko świadczeniodawców i kadr medycznych w trosce o poprawę zdrowia pacjentów, ale też samych obywateli, aby poczuli swoją odpowiedzialność za ten kapitał. Istnieje bowiem obawa, granicząca z pewnością, że w walce wyborczej będzie zwiększało się finansowanie usług, infrastruktury, ale nie koniecznie przełoży się to na skuteczność i efektywność opieki. W zrównoważonym systemie ochrony zdrowia, nie chodzi tylko o to, aby mieć dostęp administracyjny do świadczeń oraz refundowanych nowoczesnych, innowacyjnych technologii, ale żeby móc z nich realnie korzystać, w optymalnym miejscu i czasie. I jeszcze jeden kluczowy warunek, który musimy spełnić, tj. zmniejszyć nierówności w zdrowiu. Niestety sam postęp technologiczny generuje ryzyko pogłębiania się nierówności, których determinantą jest wykształcenie, dochody, miejsce zamieszkania. I tylko roztropni i mądrzy regulatorzy starają się zarządzać tym ryzykiem i przeciwdziałać temu zjawisku. Reformując polski system musimy widzieć przede wszystkim tych, którzy są w najgorszej sytuacji. Niestety, dotychczasowy model organizacji opieki i finansowania ochrony zdrowia w Polsce nie sprzyja najłabszym, wykluczonym informatycznie, mieszkającym w małych miastach i wsiach. W systemie ochrony zdrowia musi być więcej równości i więcej realnej solidarności z tymi, których kompetencje społeczne, a zatem także zdrowotne są zdecydowanie najłabsze.

Dyrektor Krystyna Płukis, Dyrektor Szpitala Zachodniego w Grodzisku Mazowieckim

Bardzo istotnym elementem systemu ochrony zdrowia jest szpital i jego funkcjonowanie, zwłaszcza w tak trudnej sytuacji związanej z kosztami jego utrzymania. W tym systemie często dochodzi do konfrontacji oczekiwań pacjenta z możliwością placówek by je zaspokoić. Statystyczny pacjent niestety nie zapoznaje się ze swoimi prawami i obowiązkami wynikającymi z funkcjonowania systemu ochrony zdrowia. Pacjenta nie interesują jego prawa i obowiązki, to my pracownicy szpitala, musimy o nich informować, wykonujemy pracę za innych. Należy poprawić poziom edukacji w celu uzyskania jak największej korzyści przez pacjenta i również personel szpitala. Nie może być tak, że pacjentowi wszystko wolno, nie respektuje regulaminów, przyjętych zasad postępowania w placówkach medycznych. Pacjent w tym systemie jest najważniejszy, lecz powinien szanować i respektować te regulacje. Zdarzają się przypadki nagannych zachowań pacjentów wobec personelu medycznego, które nie ułatwiają im pracy. Jeżeli można mieć swój głos w tej debacie, to bardzo proszę o zwrócenie uwagi na potrzebę zwiększenia edukacji pacjentów, tak aby umieli sprawnie z korzyścią dla siebie, poruszać się w tym zawiłym systemie z poszanowaniem tych, którzy chcą im pomóc.



Dr Jakub Gierczyński, Ekspert systemu ochrony zdrowia

Rok 2022 to następny rok aktywnych działań Medycznej Racji Stanu. Na stronie <https://medycznaracjastanu.pl/raporty/> jest już opublikowanych 23 raportów przekrojowych. W sumie ponad 200 osób z różnych stron sektora ochrony zdrowia i sektora opieki społecznej współtworzyło te opracowania, Pokazuje to wagę i interdyscyplinarność poruszanych tematów i problemów. Myślę, że czeka nas z perspektywy ekonomicznej, bardzo trudny 2023 r. Jeżeli chodzi o gospodarkę i ekonomię odnotowujemy wiele zagrożeń: spadek Produktu Krajowego Brutto,



wzrost kosztów oraz inflację. Natomiast patrzymy też na wiele zjawisk, które się dzieją w kontekście możliwości. Aktualnie, w Polsce płaci składki do ZUS ok. 16 milionów pracujących, w tym milion cudzoziemców (w tym ok. 700 tysięcy Ukraińców). I to jest ten kierunek, który może wzmocnić też wzrost gospodarczy w Polsce. 1,2 mln uchodźców trzeba również potraktować, jako potencjał zagospodarowania kadr, szczególnie w sektorze ochrony zdrowia. pokazuje, jak dramatyczna jest sytuacja kadr medycznych w Polsce w zakresie lekarzy i pielęgniarek. Ale większym problemem jest fakt, że nie mamy kadr pomocniczych. Polska wykazuje mniej niż 5% kadr zatrudnionych w sektorze ochrony zdrowia, gdy np. Szwecja – ponad 15%. Zdecydowanie wzrost finansowania publicznego i prywatnego sektora ochrony zdrowia w Polsce musi się zwiększyć, co przełoży się nie tylko na wzrost efektów zdrowotnych, ale również wzrost gospodarczy wynikający z zatrudnienia, podatków i efektu mnożnikowego w sektorze ochrony zdrowia. Wg. najnowszego raportu OECD pt. “Health at a Glance Europe 2022”, Polska wydawała w 2020 r. 6,5% PKB ogółem na zdrowie (czyli wydatki prywatne i publiczne), gdy średnia dla Unii Europejskiej wynosiła ok. 11% PKB. W bezwzględnych wartościach Polska wydawała w 2020 r. rocznie 1 591 euro PPP na głowę mieszkańca, średnia unijna - 3 159 euro PPP, a Czechy - 2 649 euro PPP, czyli ponad 1 000 euro PPP więcej od Polski. Minęły dwa lata, bardzo dramatyczne, lata pandemii i wojny w Ukrainie. Te lata pokazały że zdrowie to ekonomia, a ekonomia to zdrowie. OECD i Eurostat przedstawiły również dramatyczne dane dotyczące spadku oczekiwanej długości życia i życia w zdrowiu. Dla Polski te spadki są bardzo znaczące - oczekiwana długość życia statystycznego obywatela Polski wynosiła w 2021 r. - 75,6 lat (średnia UE- 80,1 lat), a życia w zdrowiu w 2020 r. dla kobiet – 64,4 lata (średnia UE - 64,5 lat) i dla mężczyzn – 60,3 lat (średnia UE - 63,5 lat). Wynika z tego My wszyscy musimy spowodować, że zdrowie w Polsce będzie traktowane priorytetowo.

4. Wnioski i rekomendacje

Wnioski	Rekomendacje
W czasach pandemii COVID-19 i wojny w Ukrainie mamy do czynienia z zachwianiem poczucia bezpieczeństwa zdrowotnego społeczeństwa Unii Europejskiej – w tym Polski.	Wyzwania zdrowia powinny być traktowane priorytetowo we wszystkich aspektach funkcjonowania wspólnoty i poszczególnych krajów.
Pandemia COVID-19 oraz wojna w Ukrainie pokazały, jak ważne jest bezpieczeństwo dostaw leków i zapewnienie dostępu do nich chorym.	Polski rząd powinien wprowadzić mechanizmy zachęcające do zwiększenia produkcji leków i substancji do ich wytwarzania w Polsce. Rekomendowane jest utrzymanie dotychczasowych cen urzędowych leków produkowanych w Polsce oraz zagwarantowanie dostaw prądu i gazu.
Rak piersi jest najczęściej występującym nowotworem złośliwym u kobiet – według KRN stanowił 23% wszystkich nowo rozpoznanych nowotworów w 2019 r. Był też drugą przyczynę zgonów na nowotwory złośliwe, tuż po nowotworze płuc. Szczyt zachorowań występuje u kobiet w wieku 50-69 lat. 1 na 8 kobiet zachoruje na ten nowotwór w ciągu swojego życia. W przypadku raka piersi HER2+, obecnie chore z wczesnym nowotworem są w Polsce	W zakresie raka piersi rekomendowana jest: <ul style="list-style-type: none"> • Standaryzacja i rozwój „Breast Units”; • Poprawa działania programu przesiewowego; • Edukacja zdrowotna; • Skrócenie diagnostyki – do 1 m-ca z kilku miesięcy; • Redefinicja nowotworu HER2+ - poziom ekspresji;

<p>optymalnie zaopiekowane. Na równie pozytywne rozstrzygnięcia oczekują pacjentki z zaawansowanym HER2+. Tym bardziej, że pojawiła się terapia, która wykazała wręcz bezprecedensową skuteczność w obszarze raka piersi: prawie wszystkie pacjentki odpowiedziały na leczenie. To oznacza wyniki na poziomie wyników osiąganych obecnie w przypadku celowanej terapii pierwszoliniowej.</p>	<ul style="list-style-type: none"> Wykonywanie diagnostyki w kierunku mutacji w genach BRCA1/BRCA2 u wszystkich chorych, co daje szansę na włączenie optymalnego leczenia. <p>Refundacja nowych leków:</p> <ul style="list-style-type: none"> Abemacyklid w połączeniu z hormonoterapią u pacjentek z wczesnym rakiem piersi o wysokim ryzyku nawrotu; Pembrolizumab w leczeniu wczesnego, potrójnie ujemnego raka piersi wysokiego ryzyka. Trastuzumab derukstekan w II linii leczenia HER2- dodatniego przerzutowego raka piersi, bądź w dalszych liniach, jeśli lek ten nie został wykorzystany w II linii leczenia
<p>Nowotwory układu pokarmowego - rak jelita grubego, rak żołądka, rak trzustki, rak wątrobowokomórkowy stanowią 30% wszystkich nowotworów.</p>	<p>W zakresie raka trzustki rekomendowana jest refundacja leku:</p> <ul style="list-style-type: none"> Irynotekan liposomowy w leczeniu gruczolakoraka trzustki z przerzutami, w połączeniu z 5-fluorouracylem (5-FU) i leukoworyną (LV), u dorosłych pacjentów z progresją choroby po terapii opartej na gemcytabinie.
<p>Cukrzyca jest jedną z najczęściej występujących chorób przewlekłych, stanowi ogromny problem zdrowotny i ekonomiczny wielu krajów.</p>	<p>W zakresie leczenia cukrzycy rekomendowana jest dalsza refundacja leków i wyrobów medycznych zawartych w Zaleceniach Polskiego Towarzystwa Diabetologicznego.</p>
<p>Według WHO otyłość to jedna z głównych chorób cywilizacyjnych, która szczególnie zagraża mieszkańcom Europy. W ciągu ostatnich 20 lat trzykrotnie przybyło tutaj ludzi z otyłością. W Polsce na otyłość cierpi co czwarta osoba.</p>	<p>W zakresie leczenia otyłości rekomendowana jest refundacja leków oraz chirurgii bariatrycznej – w tym wdrażanie programu KOS-BAR oraz programu kompleksowej opieki specjalistycznej nad chorymi w wieku powyżej 18 lat, leczonymi z powodu otyłości (KOS-BMI 30+).</p>
<p>Padaczka to przewlekła choroba mózgu, w której w sposób samoistny i nawracający dochodzi do napadów padaczkowych. Rokowanie jest zależne od rozpoznania ewentualnego zespołu padaczkowego lub typu napadów padaczkowych. Największe ryzyko zgonu jest u chorych z nieopanowanymi napadami. Padaczka lekooporna jest rozpoznawana, gdy dwie kolejne próby interwencji lekowych w monoterapii lub terapii dodanej nie doprowadzą do osiągnięcia utrwalonej i pełnej kontroli napadów. Pacjenci z padaczką lekooporną stanowią grupę z wciąż niezaspokojonymi potrzebami medycznymi.</p>	<p>W zakresie leczenia padaczki lekoopornej rekomendowana jest refundacja leku:</p> <ul style="list-style-type: none"> Cenobamat, który wskazany jest do stosowania w leczeniu wspomagającym u pacjentów dorosłych z padaczką lekooporną, u których nie osiągnięto dostatecznej kontroli choroby pomimo zastosowania co najmniej dwóch leków przeciwpadaczkowych. Fenfluramina

<p>W przewlekłej chorobie nerek po dwóch dekadach pojawił się przełom w farmakoterapii pozwalający na redukcję śmiertelności oraz opóźnienie przejścia na dializoterapię.</p>	<p>Rekomendowane jest:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Złagodzenie kryterium pomiaru stosunku albumin do kreatyniny, czyli tzw. UACR w kryteriach refundacji dapagliflozyny w przewlekłej chorobie nerek u dorosłych, aby więcej pacjentów i w krótszym czasie uratować od zgonu lub przejścia na dializoterapię.
<p>Nocna napadowa hemoglobinuria (PNH) to przewlekła, postępująca, wyniszczająca i zagrażająca życiu choroba ultraradka. Objawy kliniczne obejmują między innymi zakrzepicę i niewydolność nerek, które mogą być przyczyną przedwczesnego zgonu.</p>	<p>Rekomendowana jest refundacja leku:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Rawulizumab, który pozwoli na dostosowanie optymalnej terapii do potrzeb pacjenta i wpłynie na zmniejszenie obciążenia chorobą, poprawę jakości życia i aktywizację pacjentów oraz opiekunów, przynosząc jednocześnie korzyści dla systemu ochrony zdrowia oraz ośrodków realizujących program lekowy.
<p>Atypowy zespół hemolityczno-mocznicowy (aHUS) to ultraradka, zagrażająca życiu choroba, w której pacjenci doświadczają nagłych i postępujących epizodów mikroangiopatii zakrzepowej.</p>	<p>Rekomendowana jest refundacja leku:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Rawulizumab, który pozwoli na dostosowanie optymalnej terapii do potrzeb pacjenta i wpłynie na zmniejszenie obciążenia chorobą, poprawę jakości życia i aktywizację pacjentów oraz opiekunów, przynosząc jednocześnie korzyści dla systemu ochrony zdrowia oraz ośrodków realizujących program lekowy.
<p>Pierwotna hiperoksaluria (oksaloz), to choroba rzadka, wrodzona, związana z nadmierną endogenną produkcją szczawianów na skutek wrodzonych bloków metabolicznych. Brak enzymu powoduje, że w całym organizmie odkładają się złogi szczawianu wapnia i wszystkie narządy są uszkodzone. Część tych chorych wymaga dializ.</p>	<p>Rekomendowana jest poszerzenie wskazań refundacyjnych leku:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Lumasiran dla chorych, którzy już muszą dostać nerkę, po to, żeby można było stosować to leczenie także po transplantacji.
<p>Zespół Huntera należy do chorób rzadkich. Prowadzi do deformacji kośćca, opóźnienia umysłowego, uszkodzenia narządu słuchu oraz mięśnia sercowego</p>	<p>Rekomendowana jest dalsza refundacja leku:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Idursulfaza, który istotnie poprawia ruchomość stawów, wpływa na redukcję wielkości wątroby i śledziony, a jakość życia chorych ulega znaczącej poprawie.*
<p>Nietrzymanie gazów i stolca jest schorzeniem znacznie upośledzającym jakość życia pacjenta w sferze osobistej, zawodowej i społecznej. Najczęstszą przyczyną inkontynencji (prawie 70%) jest uszkodzenie zwieraczy w trakcie porodu u kobiet.</p>	<ul style="list-style-type: none"> • Zabieg rekonstrukcji zwieraczy powinien znaleźć się na liście operacji refundowanych przez NFZ. Refundacja powinna być odpowiednia do poniesionych kosztów przez szpital i kompatybilna z trudnością operacji; • Należy stworzyć ośrodki szkoleniowe w zakresie rekonstrukcji zwieraczy oraz sieć ośrodków rehabilitacyjnych dla

pacjentów z inkontynencją, dostępnych w ramach świadczeń NFZ;

- Ze względu na trudność zabiegów operacje powinny być wykonywane w dedykowanych, referencyjnych ośrodkach przez wykwalifikowaną kadrę specjalistów.

* Decyzja refundacyjna dostępnej idursulfazy została przedłużona.

5. Kluczowe informacje przy gotowane na debatę przez Medyczną Rację Stanu z zakresu wyzwań zdrowia i poczucia bezpieczeństwa pacjenta

Poniżej przedstawiono wybrane obszary terapeutyczne w aspekcie zakresu wyzwań zdrowia i poczucia bezpieczeństwa pacjenta w Polsce.

Onkologia

Irynotekan liposomowy w terapii raka trzustki

Rak trzustki w Polsce jest przyczyną 3% wszystkich diagnoz onkologicznych. Zajmuje 10. pozycję pod względem zachorowalności – rocznie raka trzustki rozpoznaje się u około 4 000 chorych, z tego aż u ponad 80% w momencie rozpoznania występują już przerzuty. Pod względem przyczyn zgonów z powodu chorób nowotworowych rak trzustki zajmuje 6. pozycję. Jest jednym z najgorzej rokujących nowotworów – szansę na 5-letnie przeżycie ma zaledwie ok 5% pacjentów, a rok od postawienia diagnozy przeżywa zaledwie 25 proc. chorych. W krajach UE np. w UK przeżywalność utrzymuje się na stałym poziomie od lat 70. ubiegłego wieku, a 10-letnia przeżywalność wynosi 1%. Tylko ok. 20% przypadków RT jest operacyjnych/potencjalnie operacyjnych. W takich przypadkach wskazana jest terapia adjuwantowa w oparciu o gemcytabinę, która wykazała skuteczność kliniczną w badaniach Conco001 oraz ESPAC-3.(DFS – 13,4 mies., OS – 22,8 mies.). Ogromny postęp w zakresie terapii i rokowań w niektórych rakach (np. w raku piersi, czy prostaty), nie poprawił rokowań dla pacjentów z rakiem trzustki. RT pozostaje wciąż w czołówce raków o najgorszym rokowaniu. To sprawia, że RT jest nowotworem o niezaspokojonych potrzebach medycznych. Fatalne rokowanie w raku trzustki związane jest z budową guza nowotworu, która jest odmienna od pozostałych raków: w guzie dominuje podścielisko łącznotkankowe, jest on słabo unaczyniony, co ogranicza penetrację leków do guza, wewnątrz guza jest mało komórek immunokompetentnych, które są punktem uchwytu dla leków immuno-onkologicznych. Nowotwór ten jest mało wrażliwy na terapie celowane. W RT największe innowacje dotyczą form podawania chemioterapii, a nie wprowadzenia nowych leków - lekarze mają bardzo ograniczone możliwości terapeutyczne w tej chorobie. Poza standardową chemioterapią, możliwości leczenia raka trzustki wciąż pozostają ograniczone. Na świecie dostępne są opcje terapii celowanej, takie jak inhibitory TRK dla pacjentów z fuzją NTRK. Dodatkowo, immunoterapia może być opcją dla wąskiego grona pacjentów z chorobą o wysokiej niestabilności mikrosatelitarnej. Pacjenci z mutacjami germinacyjnymi BRCA mogą być kwalifikowani do leczenia inhibitorami PARP. Tylko około 5% pacjentów z rakiem trzustki kwalifikuje się do tych ukierunkowanych terapii. Pozostałe 95% pacjentów ma wciąż bardzo ograniczone możliwości leczenia; mimo wielu przeprowadzonych prób klinicznych nie udało się wykazać efektywności kolejnych molekuł.

Jedyną nową opcją terapeutyczną, która wykazała się skutecznością i bezpieczeństwem i została zarejestrowana przez FDA i EMA jest lek irynotekan liposomowy. Irynotekan liposomowy blokuje enzym zwany topoizomerazą I. Poprzez blokowanie tego enzymu komórki nowotworowe nie mogą się rozmnażać i w końcu umierają. W preparacie irynotekan liposomowy jest zawarty w małych cząsteczkach tłuszczu zwanych "liposomami". Liposomy gromadzą się wybiórczo w obrębie raka trzustki i następnie powoli uwalniają lek, dzięki czemu może on działać dłużej w obrębie guza. Irynotekan liposomowy jest stosowany w II linii leczenia i jest rekomendowany przez międzynarodowe wytyczne: ESMO, NCCN, ASCO. Zarejestrowane wskazanie to leczenie gruczolakoraka trzustki z przerzutami, w połączeniu z 5-fluorouracylem (5-FU) i leukoworyną (LV), u dorosłych pacjentów z progresją choroby po terapii opartej na gemcytabinie. Standardem terapii postaci przerzutowej raka trzustki w 1 linii u pacjentów PS 0-1, według wytycznych ESMO oraz NCCN jest polichemioterapia FOLFIRINOX lub nab-paklitaxel w połączeniu z gemcytabiną. Obie opcje terapeutyczne uznane są jako równoznaczne pod względem skuteczności. Irynotekan liposomowy jest pierwszym i jedynym lekiem zarejestrowanym dla dorosłych pacjentów z przerzutowym rakiem trzustki, wykazujących progresję choroby po terapii opartej na gemcytabinie, którego skuteczność w zakresie istotnego przedłużenia OS została wykazana w randomizowanej próbie klinicznej (badanie NAPOLI-1). Badanie NAPOLI-1 wykazało istotne statystycznie i znaczące klinicznie wydłużenie OS o 45% (całkowita korzyść OS – 1,9 mies.; Irynotekan liposomowy+5FU+LV 6,1 mies. vs 4,2 mies. w ramieniu 5FU+LV). Zastosowanie terapii opartej na irynotekanie liposomowym pozwoliło pacjentom na wydłużenie OS o 45% (vs grupa 5FU+LV). Po 12 miesiącach terapii nadal żyło 26% pacjentów stosujących terapię opartą na irynotekanie liposomowym (vs 16% grupa porównywana). U pacjentów, którzy otrzymali min. 80% intensywność leczenia w ciągu pierwszych 6 tygodni terapii zaobserwowano największe korzyści – wydłużenie mediany OS o 75% (3,8 mies.; 8,9 mies vs 5,1 mies.) vs. grupa porównywana. W analizie post hoc wykazano, że w grupie pacjentów dobrego rokowania: z PS Karnofsky => 90 ; u pacjentów poniżej 65 roku życia, z niskimi mianami Ca 19.9, wskaźnikiem limfocyty/neutrofile poniżej lub = 5 oraz bez przerzutów do wątroby OS wyniósł ponad 1 rok. Zamknięcie cząsteczki leku irynotekan liposomowy w nanoliposomie pozwala na wydłużenie czasu obecności i aktywności leku w obrębie guza nowotworowego oraz zwiększa konwersję do aktywnego metabolitu SN-38 i wydłuża czas na jego ekspozycję. W oparciu o dane z badania Napoli-1: terapia lekiem irynotekan liposomowy nie pogarsza jakości życia chorych. AEs podczas terapii mają przewidywalny charakter, są łatwe w większości przypadków do zarządzenia, poprzez leczenie objawowe lub dostosowanie dawki terapii do stanu pacjenta.¹ Irynotekan liposomowy został zarejestrowany w Unii Europejskiej w dniu 14 października 2016 r. i aktualnie jest refundowany w 17 krajach wspólnoty.² Refundowane wskazanie to: Leczenie gruczolakoraka trzustki z przerzutami, w połączeniu z 5-fluorouracylem (5-FU) i leukoworyną (LV), u dorosłych pacjentów z progresją choroby po terapii opartej na gemcytabinie.³

Abemacyklid w leczeniu wczesnej postaci raka piersi

Rak piersi jest najczęściej występującym nowotworem złośliwym u kobiet – według KRN, stanowił 23% wszystkich nowo rozpoznanych nowotworów w 2019 r. Stanowił on też drugą przyczynę zgonów na nowotwory złośliwe, tuż po nowotworze płuc. Rokowanie w raku piersi zależy m.in. od stadium

¹ https://journals.viamedica.pl/onkologia_w_praktyce_klin_edu/article/download/66378/49509

² <https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/h1130.htm>

³ https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2016/20161014135718/anx_135718_pl.pdf

zaawansowania nowotworu oraz konkretnego podtypu molekularnego. Najczęściej spotykany jest rak hormonozależny, diagnozowany we wczesnym stadium. Wczesny rak piersi oznacza taki etap choroby, w którym nie ma jeszcze przerzutów odległych. Celem terapii wczesnego raka piersi jest całkowite wyleczenie. Zaawansowany rak piersi to choroba z przerzutami. Zaawansowany rak piersi nie może być całkowicie wyleczony, celem terapeutycznym jest wydłużenie przeżycia pacjenta i utrzymanie go w jak najlepszej jakości życia. Populacja pacjentów z diagnozą wczesnego raka piersi nie jest jednorodna - zdarzają się w niej również pacjenci z bardziej rozwiniętą chorobą – np. mający przerzuty do licznych węzłów czy większy rozmiar guza. Czynniki te przyczyniają się do gorszego rokowania. Mimo wczesnego stadium, u tych pacjentów choroba jest groźniejsza - w tej grupie pomimo dostępnego leczenia nawrót choroby występuje u nawet 30% osób. Nawrót występuje najczęściej w postaci przerzutów odległych, co czyni chorobę nieuleczalną. Możemy z dużym prawdopodobieństwem określić, czy u danego pacjenta występuje wysokie ryzyko nawrotu choroby, korzystając z cech kliniczno-patologicznych takich jak m.in. podtyp molekularny guza, liczba zajętych lokalnych węzłów chłonnych, stopień złośliwości guza czy wielkość zmiany nowotworowej i dzięki temu dostosować terapię tak, aby jak najskuteczniej zredukować u niego podwyższone ryzyko wystąpienia nawrotu choroby. Rak piersi wiąże się z poważnymi konsekwencjami zarówno dla chorego, jego rodziny, jak i społeczno-ekonomicznymi. Z perspektywy pacjenta deficyt zdrowia odbija się na wszystkich aspektach jego życia. W przypadku wczesnej postaci choroby, przebyte leczenie może pozostać jedynie epizodem zakończonym trwałym wyleczeniem, powrotem do pełnego zdrowia, ról społecznych, zdolności do pracy - pełni normalnego funkcjonowania. W przypadku zaawansowanego raka piersi jest to choroba nieuleczalna, wymagająca długotrwałej farmakoterapii i monitorowania, mogąca tym samym prowadzić do wypadania z ról społecznych, obniżenia jakości życia, cierpienia – wiążąca się ze znacznym obciążeniem psychicznym chorego, wymagająca wsparcia psychologicznego. Konsekwencje społeczne i ekonomiczne raka piersi są znaczne, mimo że rokowanie raka piersi na przestrzeni ostatnich lat bardzo się poprawiło dzięki dostępowi do innowacyjnych terapii, które zmieniają oblicze tej choroby. Konsekwencje obejmują zarówno koszty dla systemu ochrony zdrowia, jak i systemu ubezpieczeń społecznych i całej gospodarki kraju – wynikają z przedwczesnych zgonów, rent z tytułu niezdolności do pracy, absenteizmu i prezenteizmu zarówno samych chorych jak i ich opiekunów. W tym kontekście kluczowe jest podkreślenie, że im szybciej, na wcześniejszym etapie zdiagnozowana jest choroba, tym większa szansa na całkowite wyleczenie pacjenta i tym samym uniknięcie systemowych kosztów wygenerowanych przez trwałą niezdolność do pracy, renty i straty spowodowane przedwczesnymi zgonami.

Aktualnie w Polsce dla pacjentów z rakiem piersi refundowanych jest w ramach programu lekowego wiele cząsteczek, jednak nie wszystkie podtypy raka mają aktualnie zapewnione optymalne leczenie - pacjenci z najczęstszą postacią raka – hormonozależnym, wczesnym rakiem piersi HER2- nie mają aktualnie dostępu do innowacyjnej terapii, a jedynie do niespecyficznego chemioterapii oraz hormonoterapii klasycznej. W przypadku tego rodzaju raka, mimo że większość pacjentów dobrze reaguje na aktualnie dostępne leczenie, istnieje szczególna populacja chorych, mających wysokie ryzyko nawrotu choroby. Nawet u 30% pacjentów w ciągu pierwszych kilku lat od wdrożenia terapii wytwarza się oporność na aktualnie dostępne leczenie, skutkując nawrotem choroby w postaci przerzutów odległych, które nie są uleczalne i prowadzą do przedwczesnego zgonu. W związku z tym, w tej szczególnie narażonej na nawrót subpopulacji chorych z wczesnym rakiem hormonozależnym

HER2-, istnieje niezaspokojona potrzeba wdrażania skutecznego leczenia redukującego ryzyko nawrotu choroby. Dla tych właśnie pacjentów w ostatnim czasie pojawiły się nowe opcje terapeutyczne, polegające na skojarzeniu hormonoterapii z leczeniem celowanym, dla którego wykazano skuteczność w redukcji ryzyka nawrotu choroby. Aktualnie dostępne, refundowane leczenie pacjentów z hormonozależnym HER2- rakiem piersi obejmuje kombinację leczenia chirurgicznego, radioterapii, chemioterapii i hormonoterapii – jest to leczenie powszechnie dostępne, natomiast charakteryzujące się małą specyficznością w walce z nowotworem. Ostatni przełom jaki dokonał się w leczeniu tego typu raka to właśnie zastosowanie hormonoterapii. Kolejne badania prowadzone w tym obszarze na przestrzeni ostatnich dwóch dekad nie przynosiły przełomu. Nowy trend terapeutyczny to inhibitory CDK 4 i 6, znane już z terapii zaawansowanego, hormonozależnego raka piersi, wchodzące teraz również do terapii na wczesnym etapie choroby. Dane z badań klinicznych wskazują, że u pacjentek z wczesnym rakiem piersi o wysokim ryzyku nawrotu, zastosowanie terapii skojarzonej abemacyklibem (inhibitorem CDK 4 i 6) w połączeniu z hormonoterapią o ponad 30% obniża ryzyko nawrotu choroby, przy akceptowalnym profilu bezpieczeństwa. Ma to szczególnie istotne znaczenie, bo dotyczy chorych z grupy wysokiego ryzyka wystąpienia nawrotu choroby. Ze względu na fakt, że nawrót choroby najczęściej występuje w postaci przerzutów odległych, prowadząc tym samym do rozwinięcia choroby nieuleczalnej, jest to grupa chorych, u której mimo wczesnego stadium choroby jest ona szczególnie groźna. Biorąc pod uwagę pojawianie się nowych opcji terapeutycznych adresujących aktualnie niezaspokojone potrzeby, kluczowe jest ich jak najszybsze udostępnianie pacjentom, umożliwiające optymalizację terapii w celu zapobiegania wczesnym nawrotom choroby w tej szczególnie narażonej na nie grupie chorych.

W 2018 r. Komisja Europejska wydała zgodę na stosowanie abemacyklibu w skojarzeniu z hormonoterapią w leczeniu uzupełniającym dorosłych pacjentów we wczesnym stadium raka piersi wykazującego ekspresję receptora hormonalnego (ang. hormone receptor, HR) i niewykazującego ekspresji receptora typu 2. dla ludzkiego naskórkowego czynnika wzrostu (ang. human epidermal growth factor receptor 2, HER2), z przerzutami do węzłów chłonnych, z wysokim ryzykiem wystąpienia nawrotu.⁴ Abemacyklib to pierwszy i jedyny inhibitor CDK4 i 6 w terapii HR+, HER2- wczesnego raka piersi z wysokim ryzykiem nawrotu. Pozytywna opinia Europejskiej Agencji Leków zapadła w oparciu o wyniki badania 3 fazy monarchE1, które osiągnęło swój pierwszorzędowy punkt końcowy w drugiej pośredniej analizie skuteczności, wykazując statystycznie istotną poprawę w zakresie przeżycia wolnego od choroby inwazyjnej (IDFS). W listopadzie 2019 r. Prezes AOTMiT wydał pozytywną rekomendację dotyczącą objęcia refundacją abemacyklibu w skojarzeniu z inhibitorami aromatazy we wskazaniu: „Leczenie raka piersi”.⁵ Zgodnie z danymi z raportu Modern Healthcare Institute z 2020 r. obserwowane w ostatnich latach przyspieszenie wydawania decyzji refundacyjnych zahamowało narastające opóźnienia związane z zaleceniami onkologicznych wytycznych klinicznych. Aby utrzymać ten dobry trend w Polsce konieczne jest sukcesywne obejmowanie refundacją nowych opcji terapeutycznych - zgodnie z raportem o ok. 25% w skali roku.⁶

⁴ <https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/h1307.htm>

⁵ https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2019/193/REK/rp_102_2019_verzenio_nsai_mkp_zaczerniona.pdf

⁶ <https://www.mzdrowie.pl/wp-content/uploads/2020/08/raport-onkologia-0826.pdf>

Pembrolizumab w leczeniu wczesnego, potrójnie ujemnego raka piersi wysokiego ryzyka

Statystycznie istotne wyniki przeżycia wolnego od zdarzeń (event-free survival – EFS) w badaniu KEYNOTE-522 stanowiły silny sygnał do aktualizacji wytycznych ASCO z 2021 r. dotyczących roli pembrolizumabu w leczeniu wczesnego TNBC wysokiego ryzyka. W 2021 r. Association for Clinical Oncology (ASCO) opublikowało wytyczne dotyczące chemioterapii neoadjuwantowej, terapii hormonalnej i terapii celowanej w raku piersi. Niedawno zaprezentowano wyniki czwartej analizy pośredniej danych z randomizowanego, zaślepionego, kontrolowanego placebo badania KEYNOTE-522. W ramach badania KEYNOTE-522 oceniano połączenie neoadjuwantowej chemioterapii z karboplatiną i paklitakselem, a następnie doksorubicyną lub epirubicyną i cyklofosfamidem z pembrolizumabem (n = 784) lub placebo (n = 390), z rocznym leczeniem adjuwantowym pembrolizumabem lub placebo po operacji u 1174 pacjentek z wcześniej nieleczonym, potrójnie ujemnym rakiem piersi w stadium II lub III (triple-negative breast cancer – TNBC). Pacjentki kwalifikowały się do KEYNOTE-522 niezależnie od ekspresji PD-L1.

Stosowanie kapecytabiny jako terapii adjuwantowej nie było dozwolone. Statystycznie istotne wyniki przeżycia wolnego od zdarzeń (event-free survival – EFS) w badaniu KEYNOTE-522 stanowiły silny sygnał do aktualizacji wytycznych ASCO z 2021 r. dotyczących roli pembrolizumabu w leczeniu wczesnego TNBC wysokiego ryzyka. Przy medianie czasu obserwacji wynoszącej 39,1 miesiąca zaktualizowana analiza wykazała statystycznie istotną poprawę EFS wśród pacjentek, które otrzymywały pembrolizumab w skojarzeniu z chemioterapią neoadjuwantową, a następnie pembrolizumab adjuwantowo po operacji, w porównaniu z pacjentkami, które otrzymywały chemioterapię z placebo (3-letni EFS 84,5% wobec 76,8%; współczynnik ryzyka 0,63, 95% CI, 0,48 do 0,82; p <0,001). Po 36 miesiącach szacowane przeżycie całkowite (OS) w grupie otrzymującej chemioterapię z pembrolizumabem wyniosło 89,7% (95% CI, 87,3 do 91,7), natomiast szacowany OS w grupie placebo-chemioterapii wyniósł 86,9% (95% CI, 83,0 do 89,9). Zmarło 80 pacjentów (10,2%) w grupie otrzymującej pembrolizumab i chemioterapię oraz 55 pacjentów (14,1%) w grupie otrzymującej placebo (współczynnik ryzyka zgonu 0,72; 95% CI, 0,51 do 1,02). Warto zauważyć, że dane OS przedstawione wyłącznie w celach opisowych były niedojrzałe w tej analizie okresowej i trwają dalsze obserwacje uczestników w fazie follow up. W fazie neoadjuwantowej i adjuwantowej badania zdarzenia niepożądane związane z leczeniem (treatment-related adverse events – TRAE), które były stopnia III lub wyższego, wystąpiły odpowiednio u 77,1% i 73,3% pacjentów w grupie chemioterapii z pembrolizumabem i chemioterapii z placebo. Większość zdarzeń niepożądanych wystąpiła w fazie leczenia neoadjuwantowego w porównaniu z fazą adjuwantową. Najczęściej występującymi TRAE stopnia III lub wyższego w grupach chemioterapii z pembrolizumabem i chemioterapii z placebo były neutropenia (34,5% wobec 33,4%), obniżenie liczby neutrofilii (18,6% wobec 23,1%) i niedokrwistość (18,0% wobec 14,9%). Cztery zgony w grupie otrzymującej chemioterapię z pembrolizumabem i jeden zgon w grupie otrzymującej chemioterapię z placebo przypisano stosowanemu leczeniu. TRAE, które doprowadziły do przerwania schematu leczenia, wystąpiły u 27,7% pacjentów w grupie chemioterapii z pembrolizumabem i 14,1% pacjentów w grupie otrzymującej chemioterapię z placebo. Zdarzenia niepożądane o podłożu immunologicznym stopnia III lub wyższego (immune-mediated adverse events – irAE) wystąpiły u 12,9% pacjentów w grupie chemioterapii z pembrolizumabem i u 1,0% pacjentów w grupie otrzymującej placebo. Stwierdzono większą częstość występowania zaburzeń

endokrynologicznych dowolnego stopnia – niedoczynność lub nadczynność tarczycy, niewydolność nadnerczy, zapalenie tarczycy i zapalenie przysadki — obserwowaną w grupie chemioterapii z pembrolizumabem (26,8%) niż w grupie otrzymującej chemioterapię z placebo (9,1%). Na podstawie powyższych wyników badania KEYNOTE-522 u pacjentek z potrójnie ujemnym rakiem piersi (TNBC) T1c N1-2 lub T2-4 N0 (stadium II lub III)) eksperci ASCO zalecają stosowanie pembrolizumabu (200 mg raz na 3 tygodnie lub 400 mg raz na 6 tygodni) w skojarzeniu z chemioterapią neoadjuwantową, a następnie adjuwantową terapię pembrolizumabem po operacji. Terapię uzupełniającą pembrolizumabem można podawać jednocześnie z radioterapią lub po jej zakończeniu. Biorąc pod uwagę, że irAE związane z terapią pembrolizumabem mogą być ciężkie i trwałe, wymagane są staranne badania przesiewowe i postępowanie w przypadku wystąpienia toksyczności. Wytyczne ASCO dotyczące postępowania w przypadku irAE u pacjentów leczonych inhibitorami immunologicznych punktów kontrolnych zawierają szczegółowe zalecenia dotyczące praktyki klinicznej i powinny być znane przez klinicystów stosujących pembrolizumab u pacjentów z wczesnym TNBC.⁷

Pembrolizumab został zarejestrowany przez EMA w dniu 19 października 2021 r. w skojarzeniu z chemioterapią jako leczenie neoadjuwantowe, a następnie kontynuowany w monoterapii, jako leczenie adjuwantowe po zabiegu chirurgicznym, w leczeniu osób dorosłych z miejscowo zaawansowanym lub we wczesnym stadium potrójnie ujemnym rakiem piersi, u których ryzyko nawrotu jest wysokie. Produkt leczniczy pembrolizumab w skojarzeniu z chemioterapią jest wskazany do stosowania w leczeniu miejscowo nawrotowego potrójnie ujemnego raka piersi nieoperacyjnego lub z przerzutami u osób dorosłych, u których CPS z ekspresją PD-L1 w tkance nowotworowej wynosi ≥ 10 i które wcześniej nie otrzymywały chemioterapii w związku z chorobą nowotworową z przerzutami.⁸

Trastuzumab derukstekan w leczeniu HER2-dodatniego raka piersi

Postęp medycyny w leczeniu raka piersi idzie szybko do przodu. Mimo to przerzutowy rak piersi HER2-dodatni jest dalej nowotworem źle rokującym o agresywnym przebiegu. Mediana czasu przeżycia dla tego podtypu wynosi ok. 4-5 lat. Nowoczesne, celowane leczenie jest nadzieją dla pacjentek na osiągnięcie długotrwałej remisji lub wręcz doczekanie do momentu, aż pojawi się kolejna przełomowa terapia. Kluczowe jest, aby dostęp do tych terapii był na jak najwcześniejszych liniach leczenia, bowiem każda kolejna progresja choroby skraca życie pacjentek około o połowę. Nadzieją dla pacjentek na poprawę tej sytuacji jest trastuzumab derukstekan. W badaniu (DESTINY-Breast03) porównującym jego działanie do trastuzumabu emtanzyny (obecnego standardu leczenia), wykazał on wręcz bezprecedensową skuteczność w obszarze raka piersi. Prawie 100% pacjentek odpowiedziało na terapię (doszło albo do całkowitej remisji, do zmniejszenia guza, albo do stabilizacji choroby). Zaobserwowano 3-krotne wydłużenie mediany PFS (25,1 miesiąca vs 7,2 miesiąca) i redukcja ryzyka progresji lub zgonu na poziomie 72%. Odnotowano silny trend w kierunku poprawy całkowitych przeżyć (OS). Po 12 miesiącach obserwacji aż 94,1% pacjentek wciąż pozostaje przy życiu. To wszystko

⁷ Pembrolizumab w leczeniu wczesnego, potrójnie ujemnego raka piersi wysokiego ryzyka – zalecenia ASCO. Termedia. 13.05.2022 <https://www.termedia.pl/onkologia/Pembrolizumab-w-leczeniu-wczesnego-potrójnie-ujemnego-raka-piersi-wysokiego-ryzyka-zalecenia-ASCO,46966.html>

⁸ https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/keytruda-epar-product-information_pl.pdf

pozwała wnioskować, że terapia trastuzumabem derukstekanem w przeleczonej populacji chorych daje wyniki na poziomie co najmniej równym wynikom osiąganym obecnie w przypadku celowanej terapii pierwszoliniowej. W zaledwie 2 miesiące od momentu prezentacji danych z badania DESTINY-Breast03 ustalono nowy konsensus terapeutyczny. Wytyczne kliniczne (ESMO 2021, NCCN 2022) wskazują terapię trastuzumabem derukstekanem jako jedyną preferowaną opcję terapeutyczną w 2. linii leczenia HER2-dodatniego przerzutowego raka piersi, bądź w dalszych liniach, jeśli lek ten nie został wykorzystany w 2. linii leczenia. Polscy eksperci czekają teraz na możliwość udostępnienia trastuzumabu derukstekanu również dla polskich pacjentek. Członkowie zarządu Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej wytypowali terapie, które powinny w 2022 r. zostać objęte refundacją. Liczba wskazań konkretnego leku decydowała o jego pozycji na liście, a tegorocznym liderem zestawienia został trastuzumab derukstekan. Lek ten został również umieszczony na wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności jako terapia, która powinna zostać objęta finansowaniem w ramach Funduszu Medycznego.

Cukrzyca

Semaglutyd w terapii cukrzycy typu 2

Cukrzyca jest jedną z najczęściej występujących chorób przewlekłych, stanowi ogromny problem zdrowotny i ekonomiczny wielu krajów.

Od 1 września 2022 r. semaglutyd jest refundowany we wskazaniu: „Cukrzyca typu 2 u pacjentów leczonych co najmniej dwoma lekami hipoglikemizującymi, z HbA1c \geq 7,5%, z otyłością definiowaną jako BMI \geq 30 kg/m² 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).”

Semaglutyd, który pełni rolę agonisty receptora GLP-1 selektywnie wiąże się z receptorem GLP-1 aktywując go, podobnie jak natywny GLP-1. GLP-1 to fizjologiczny hormon o wielorakim działaniu w zakresie regulowania apetytu i stężenia glukozy oraz czynności układu sercowo-naczyniowego. Jego wpływ na stężenie glukozy i apetyt jest związany z receptorami GLP-1 znajdującymi się w trzustce i mózgu. Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL) semaglutyd jest wskazany do stosowania u dorosłych z niedostatecznie kontrolowaną cukrzycą typu 2 łącznie z odpowiednią dietą i wysiłkiem fizycznym w monoterapii, u pacjentów, u których stosowanie metforminy jest niewskazane ze względu na nietolerancję lub istniejące przeciwwskazania oraz w skojarzeniu z innymi produktami leczniczymi stosowanymi w leczeniu cukrzycy. Wnioskowane wskazanie zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym.

Wg. wyników badania SUSTAIN 5 wśród pacjentów z cukrzycą typu 2 w grupach SEM 0,5 mg i 1 mg stosowanych razem z MET i INS po 30 tygodniach leczenia obserwowano statystycznie istotną większą redukcję poziomu hemoglobiny glikowanej: HbA1c, stężenia glukozy na czczo w osoczu: FPG, stężenia glukozy w osoczu wg samodzielnego pomiaru: SMPG, masy ciała, wskaźnika BMI i obwodu talii oraz większą redukcję skoków glikemii po posiłku w porównaniu do grupy otrzymującej PLA razem z MET i INS. W grupie SEM 1 mg stosowanym razem z MET i INS po 30 tygodniach leczenia obserwowano również statystycznie istotny większy wzrost częstości rytmu serca i statystycznie istotną większą

redukcję wartości ciśnienia skurczowego (SBP) w porównaniu do grupy otrzymującej PLA razem z MET i INS.

Otyłość

Program pilotażowy w zakresie kompleksowej opieki specjalistycznej nad pacjentami leczonymi z powodu otyłości olbrzymiej KOS-BAR

Według WHO otyłość to jedna z głównych chorób cywilizacyjnych, która szczególnie zagraża mieszkańcom Europy. W ciągu ostatnich 20 lat trzykrotnie przybyło tutaj ludzi z otyłością. W Polsce na otyłość cierpi co czwarta osoba. Nadmierną masę ciała w Polsce ma 65,7 proc. mężczyzn i 45,9 proc. kobiet. Otyłość występuje u 15,4 proc. mężczyzn i 15,2 proc. kobiet, otyłość olbrzymia (BMI 40,0 lub więcej) u 0,5 proc. mężczyzn i 0,4 proc. kobiet. To wyniki badań realizowanych przez IŻŻ/NIZP-PZH w ramach współpracy z EFSA, przeprowadzonych w latach 2019-2020.

Nadwaga i otyłość zwiększają ryzyko zachorowalności na cukrzycę typu 2, nadciśnienie tętnicze, zaburzenia lipidowe, chorobę niedokrwinną serca, obturacyjny bezdech senny, chorobę zwyrodnieniową stawów, depresję oraz sprzyja rozwojowi niektórych typów nowotworów i podwyższa ryzyko zgonu. Leczenie operacyjne chorych otyłych wydłuża ich życie, jednocześnie znacząco poprawiając jego jakość. Chirurgiczne zmniejszenie żołądka zapewnia wyraźną utratę wagi i pomaga w leczeniu ponad 40 schorzeń związanych z otyłością, takich jak: cukrzyca typu 2, choroby serca, obturacyjny bezdech senny i niektóre nowotwory, włączając zapobieganie im, łagodzenie ich objawów oraz ustąpienie choroby. Po zabiegu bariatrycznym u pacjentów obserwowano redukcję incydentów kardiologicznych, udarów, występowania nowotworów oraz w szczególności lepszą kontrolę lub remisję cukrzycy, co wpływa na zmniejszenie śmiertelności związanej z patologiczną otyłością. Program pilotażowy w zakresie kompleksowej opieki specjalistycznej nad pacjentami leczonymi z powodu otyłości olbrzymiej KOS-BAR zakłada, że pacjent będzie leczony w ośrodku koordynującym, który zapewni mu kompleksową opiekę przed- i po operacji. Pilotaż ma poprawić jakość i efektywność leczenia pacjentów z rozpoznaniem otyłości olbrzymią. Program KOS-BAR zostaje wprowadzony, gdyż stale rośnie liczba osób otyłych, a ich leczenie stanowi coraz większe obciążenie finansowe dla systemów opieki zdrowotnej oraz społeczeństwa. Do realizacji programu pilotażowego wytypowano 15 ośrodków, które będą mogły go przeprowadzić pod warunkiem zawarcia umowy z Narodowym Funduszem Zdrowia. Po dokonaniu kwalifikacji do programu pilotażowego, ośrodek koordynujący wyda pacjentowi kartę KOS-BAR i od chwili jej otrzymania przez cały okres leczenia chory będzie pod opieką tego ośrodka. Szacuje się, że w ramach pilotażu opieką zostanie objęte ok. 2907 pacjentów. Pilotaż KOS-BAR, w zależności liczby pacjentów włączonych do programu, będzie kosztował ok. 71 mln zł. Środki na ten program zostaną przekazane m.in. z tzw. opłaty cukrowej, która zgodnie z przepisami jest przeznaczona na działania o charakterze edukacyjnym i profilaktycznym oraz na świadczenia opieki zdrowotnej związane z utrzymaniem i poprawą stanu zdrowia pacjentów z nadwagą i otyłością.

Neurologia

Cenobamat w terapii padaczki lekoopornej

Padaczka (ICD 10: G40) to przewlekła choroba mózgu, w której w sposób samoistny i nawracający dochodzi do napadów padaczkowych. Napady padaczkowe to występujące w sposób przemijający dolegliwości i/lub objawy, które są efektem nieprawidłowej, nadmiernej lub synchronicznej czynności

bioelektrycznej w mózgu. Napady padaczkowe mogą mieć charakter ruchowy, czuciowy, wegetatywny i psychiczny. Ocenia się, że na padaczkę choruje do 1% ludzi (w Polsce ok. 300 tys., na świecie 60-70 mln). Rokowanie jest zależne od rozpoznania ewentualnego zespołu padaczkowego lub typu napadów padaczkowych. Śmiertelność chorych na padaczkę jest 2-4 razy większa niż w populacji ogólnej. Roczna śmiertelność wśród osób z padaczką waha się od 1 do 8 na 100 tys. osób. Największe ryzyko zgonu jest u chorych z nieopanowanymi napadami. Padaczka lekooporna jest rozpoznawana, gdy dwie kolejne próby interwencji lekowych w monoterapii lub terapii dodanej nie doprowadzą do osiągnięcia utrwalonej i pełnej kontroli napadów. Pacjenci z padaczką lekooporną stanowią grupę z wciąż niezaspokojonymi potrzebami medycznymi. Pomimo rejestracji wielu nowych leków przeciwpadaczkowych w ciągu ostatnich 20–30 lat, ogólne wyniki w tej grupie chorych nie uległy znacznej poprawie – u około 30% pacjentów wciąż nie udaje się uzyskać odpowiedniej kontroli napadów padaczkowych. Głównym problemem w polskim systemie ochrony zdrowia w obszarze leczenia padaczki, w szczególności padaczki lekoopornej jest bardzo ograniczona liczba nowoczesnych leków przeciwpadaczkowych, które są finansowane ze środków publicznych. O sukcesie terapeutycznym w terapii padaczki decyduje odpowiedni dobór leczenia uwzględniający indywidualne cechy pacjenta. Im większy wybór leków o różnych mechanizmach działania, w szczególności leków nowoczesnych charakteryzujących się korzystniejszym profilem bezpieczeństwa, tym większa szansa na całkowite ustąpienie napadów padaczkowych lub znaczne zmniejszenie ich częstości pozwalające na poprawę funkcjonowania pacjenta w społeczeństwie. Jak podkreślono już wcześniej, nadrzędnym celem leczenia przeciwpadaczkowego jest całkowite uwolnienie od napadów lub istotne zmniejszenie częstości i zapobieganie ich nawrotom, przy jak najmniejszych objawach niepożądanych. Zmniejszenie liczby napadów wpływa bezpośrednio na poprawę standardu i jakości życia chorego. Zwykle przyjmuje się, że co najmniej 50-procentowa redukcja częstości napadów padaczkowych stanowi istotną klinicznie poprawę stanu pacjenta. Jednak, z perspektywy chorego istotne jest uzyskanie remisji, tj. całkowitego uwolnienia od napadów padaczkowych. Jak wskazują klinicyści - Pacjenci z reguły nie rozróżniają redukcji liczby napadów o 30 - 50 proc., bo niestety nawet jeden napad może być fatalny w skutkach – upadek, uraz - więc walczymy o brak napadów, kładziemy duży nacisk w rekomendacjach właśnie na ten aspekt. W Polsce w leczeniu padaczki pacjenci mają dostęp do kilkunastu leków przeciwpadaczkowych, które finansowane są ze środków publicznych, w tym finansowane wyłącznie w terapii padaczki lekoopornej są: tiagabina, wigabatryna, gabapentyna, topiramid oraz lakozamid i brywaracetam (po spełnieniu dodatkowych kryteriów refundacyjnych). Większość refundowanych leków stanowią substancje zarejestrowane ponad 20 lat temu, spośród najnowszych leków zarejestrowanych po 2008 roku finansowane są wyłącznie lakozamid i brywaracetam. Wiele nowszych leków wciąż nie jest finansowanych ze środków publicznych w Polsce, pomimo iż są rekomendowane w polskich wytycznych praktyki klinicznej. W 2022 roku powstały nowe rekomendacje kliniczne Polskiego Towarzystwa Neurologicznego, w których są określone ścieżki diagnostyczne dla osób z nową diagnozą padaczki, ale także wskazanie ścieżki dla pacjentów lekoopornych i wczesna identyfikacja lekooporności. Nowością w rekomendacji są leki nowe leki, takie jak cenobamat, ale też takie, których używamy od lat w grupie leków podstawowych. Cenobamat wskazany jest do stosowania w leczeniu wspomagającym u pacjentów dorosłych z padaczką, u których nie osiągnięto dostatecznej kontroli choroby pomimo zastosowania co najmniej dwóch przeciwpadaczkowych produktów leczniczych w przeszłości, nie będzie on zastępował leków I rzutu lub tych zarejestrowanych i finansowanych w monoterapii, gdyż będą one stanowiły terapię tła. Terapia wspomagająca cenobamatem stanowi

skuteczną i bezpieczną opcję w leczeniu dorosłych pacjentów z niekontrolowaną padaczką ogniskową. Wyniki badań klinicznych wskazują, że lek ten w terapii skojarzonej z innymi lekami przeciwpadaczkowymi pozwala uzyskać 50% redukcję częstości napadów padaczkowych nawet u 60% chorych, a całkowite ich ustąpienie nawet u 20% pacjentów. Zgodnie z opinią ekspertów cenobamat jest nadzieją dla pacjentów z lekoopornością, którzy chcą pracować i nie chcą iść na rentę, chcą mieć normalne życie zawodowe i rodzinne. Aktualnie na refundację publiczną czekają cenobamat, fenfluramina i cannabidiol.

Nefrologia

Dapagliflozyna w terapii przewlekłej choroby nerek

W przewlekłej chorobie nerek po dwóch dekadach pojawił się przełom w farmakoterapii pozwalający na redukcję śmiertelności oraz opóźnienie przejścia na dializoterapię. Ministerstwo Zdrowia w ekspresowym tempie, bo w zaledwie pół roku od rejestracji nowego wskazania w Unii Europejskiej zrefundowało 1 lipca 2022 roku terapię dapagliflozyną w przewlekłej chorobie nerek u dorosłych pacjentów z eGFR<60 ml/min/1.73m², albuminurią ≥200mg/g oraz leczonych terapią opartą na ACE-i /ARB nie krócej niż 4 tygodnie lub z przeciwwskazaniami do tych terapii. Było to następne rozszerzenie aktualnie obowiązujących wskazań refundacyjnych dla tego leku, obok leczenia niewydolności serca oraz cukrzycy. Po pół roku doświadczeń nefrologów z refundacją okazuje się, że niewielu pacjentów z niej może skorzystać i wymaga ona modyfikacji – kryterium silnie ograniczającym okazuje się pomiar stosunku albumin do kreatyniny czyli tzw. UACR – ważny parametr prognostyczny. Problem jednak polega na tym, że badanie jest niezwykle rzadko wykonywane w Polsce ale jak się okazuje również na świecie – we Francji tylko 4% pacjentom zdiagnozowanym oznaczono UACR, w USA 4% w Japonii 15% a we Włoszech i Niemczech badania się praktycznie nie wykonuje. Warto złagodzić to kryterium by więcej pacjentów i w krótszym czasie uratować od zgonu lub przejścia na dializoterapię.

Choroby rzadkie

Rawulizumab – pierwszy długodziałający inhibitor C5 układu dopełniacza w leczeniu nocnej napadowej hemoglobinurii (PNH) i atypowego zespołu hemolityczno-mocznicowego (aHUS)

Nocna napadowa hemoglobinuria to przewlekła, postępująca, wyniszczająca i zagrażająca życiu bardzo rzadka choroba charakteryzująca się wewnątrznaczyniową hemolizą spowodowaną ciągłym stanem aktywacji układu dopełniacza.ⁱ Szacuje się, iż na PNH rocznie zapada ok. 1,3 osób na 1 mln populacji, a choroba dotyka przede wszystkim osób młodych – mediana wieku zachorowania to ok. 30 lat.ⁱⁱ Objawy kliniczne obejmują między innymi zakrzepicę i niewydolność nerek, które mogą być przyczyną przedwczesnego zgonu. Historycznie, ok. 35% pacjentów umierało z powodu PNH w ciągu 5 lat od postawienia diagnozy, a zakrzepica była przyczyną 40-67% zgonów.ⁱⁱⁱ Ponadto osoby z PNH doświadczają wielu innych objawów takich jak nadciśnienie płucne, anemia, duszności, przewlekłe zmęczenie, hemoglobinuria, dysfagia, dystonia, bóle brzucha czy zaburzenia erekcji. Wszystkie te objawy w znaczący sposób wpływają na jakość życia pacjentów z PNH uniemożliwiając im normalne funkcjonowanie. Przewlekłe objawy choroby mogą towarzyszyć pacjentowi przez wiele lat,

a manifestacja w postaci incydentu zatorowego niemal zawsze jest nagła.ⁱ Atypowy zespół hemolityczno-mocznicowy to ultraradka, zagrażająca życiu choroba, w której pacjenci doświadczają nagłych i postępujących epizodów mikroangiopatii zakrzepowej (TMA) spowodowanych niekontrolowaną aktywacją dopełniacza z dominującym w obrazie klinicznym upośledzeniem czynności nerek.^{iv} Dane epidemiologiczne wskazują, iż zapadalność na aHUS wynosi ok. 0,26-0,75 na 1 mln w populacji osób poniżej 20 r.ż. oraz 0,23 do 1,9 na 1 mln w populacji całkowitej. Choroba manifestuje się w różnym wieku, ale głównie dotyka dzieci.^v Choroba wpływa na funkcjonowanie wielu organów, charakteryzuje się niedokrwistością hemolityczną, małopłytkowością, ostrym uszkodzeniem nerek i powikłaniami takimi jak infekcje, cytopenie, występowania zakrzepicy i krwotoku w narządach. Około 20-48% pacjentów doświadcza uszkodzenia narządów pozanerkowych, obejmujące ośrodkowy układ nerwowy, układ sercowo-naczyniowy, płuca czy układ pokarmowy, prowadzące do udarów, drgawek, zawału serca, krwotoków płucnych, czy zapalenia trzustki. W wielu przypadkach dysfunkcje wielonarządowe wiążą się ze złym rokowaniem, a pacjenci wymagają intensywnej opieki, w tym są uzależnieni od dializoterapii.^{vi} Historycznie, ponad 20% dzieci oraz 30% dorosłych doświadczało schyłkowej niewydolności nerek lub zgonu w ciągu roku od postawienia diagnozy.^{vii} Jakość życia chorych na aHUS jest obniżona ze względu na fakt, iż cierpią oni na zmęczenie, nadciśnienie oraz powikłania nerkowe i neurologiczne. Brak leczenia prowadzi do schyłkowej niewydolności nerek i zgonu, a leczenie objawów klinicznych (wlewy, dializy, wymiana osocza) wpływa negatywnie na interakcje społeczne i życie codzienne.

W leczeniu PNH i aHUS zarejestrowane są dwa inhibitory C5 układu dopełniacza – ekulizumab i rawulizumab. Ekulizumab to pierwszy, przełomowy lek w leczeniu PNH i aHUS finansowany w Polsce ze środków publicznych od 2018 roku, który odmienił życie pacjentów. Terapia ekulizumabem istotnie zwiększyła przeżycie chorych z PNH i aHUS oraz wpłynęła na poprawę jakości ich życia. W 2021 roku w Polsce leczonych ekulizumabem było 136 pacjentów z PNH i aHUS. W PNH dzięki leczeniu ekulizumabem znacząco zmienia się życie pacjenta, gdyż dzięki zmniejszeniu hemolizy, niedokrwistość jest mniej nasiloną, a pacjent nie jest już uzależniony od transfuzji czerwonych krwinek.^{viii} W przypadku aHUS ekulizumab prowadzi do normalizacji parametrów hematologicznych, poprawy czynności nerek, która jest na tyle duża, aby zaprzestać dializoterapii, poprawy w zakresie odczuwanego zmęczenia oraz istotnej poprawy jakości życia.^{ix} Rawulizumab to pierwszy długodziałający inhibitor C5 układu dopełniacza z ponad 4-krotnie dłuższym okresem półtrwania niż ekulizumab, dzięki czemu zapewnia natychmiastową, kompletną oraz długotrwałą inhibicję C5. Rawulizumab charakteryzuje się podobną skutecznością i profilem bezpieczeństwa, co ekulizumab. Stwierdzono natomiast jego przewagę nad terapią ekulizumabem pod względem zmniejszenia ryzyka występowania przełomów hemolitycznych u pacjentów z PNH. Nawet do 29% pacjentów leczonych ekulizumabem może doświadczyć występowania przełomów hemolitycznych ze względu na krótszy okres półtrwania i niewystarczający poziom inhibicji układu dopełniacza, co prowadzi do powrotu objawów PNH i może wymagać dodatkowego leczenia np. w postaci transfuzji czerwonych krwinek. Terapia rawulizumabem charakteryzuje się mniejszą częstością występowania przełomów hemolitycznych u pacjentów z PNH ze względu na trwalszą i całkowitą inhibicję białka C5. Należy podkreślić, że schemat podawania leku jest znacznie korzystniejszy niż w przypadku ekulizumabu. Rawulizumab podawany jest we wlewie dożylnym co 8 tygodni, a ekulizumabu co 2 tygodnie, a więc terapia rawulizumabem wymaga jedynie 6-7 podań rocznie, a terapia ekulizumabem nawet 26 podań. Zmniejszenie częstości podań leku

redukuje obciążenie choroba pacjentów i wpływa na poprawę jakości ich życia. Ograniczenie częstych wizyt w ośrodkach realizujących program oznacza zarówno dla pacjentów, jak i ich opiekunów możliwość powrotu do normalnej aktywności zawodowej, szkolnej i społecznej. Zwiększenie aktywności zawodowej chorych ora opiekunów przynosi długoterminowe korzyści systemowe w związku ze zwiększoną produktywnością. Redukcja częstości wizyt związanych z podaniem leku przynosi korzyści także dla ośrodka realizującego leczenie i systemu ochrony zdrowia poprzez redukcję obciążenia personelu medycznego oraz redukcję kosztów związanych z wizytami i podaniem leku. Badania wśród pacjentów pokazują, iż rawulizumab jest terapią preferowaną ze względu na korzystniejszy schemat dawkowania, lepszą kontrolę objawów takich jak zmęczenie, skuteczność leku w okresach pomiędzy infuzjami, a także poprawę jakości życia – 93% pacjentów wskazuje rawulizumab jako terapię preferowaną.^x Rawulizumab jest wyczekiwaną opcją terapeutyczną zarówno przez pacjentów, jak i klinicystów, która pozwoli na dostosowanie optymalnej terapii do potrzeb pacjenta i wpłynie na zmniejszenie obciążenia chorobą, poprawę jakości życia i aktywizację pacjentów oraz opiekunów, przynosząc jednocześnie korzyści dla systemu ochrony zdrowia oraz ośrodków realizujących program lekowy.

Piśmiennictwo:

1. Spychalska J., Brojer E., Nocna napadowa hemoglobinuria — patofizjologia, klasyfikacja i nowoczesna diagnostyka, *Hematologia* 2013, 4 (4): 301-320
2. Hill A, Richards SJ, Hillmen P. *Br J Haematol.* 2007 May;137(3):181-92.
3. Hill A., DeZern A.E, Kinoshita T., Brodsky R.A., *Nat Rev Dis Primers.* 2017, 3: 17028
4. Campistol JM, Arias M, Ariceta G, et al. An update for atypical haemolytic uraemic syndrome: diagnosis and treatment. A consensus document. *Nefrologia.* 2015;35(5):421-447
5. Yan K, Desai K, Gullapalli L, Druyts E, Balijepalli C. Epidemiology of atypical hemolytic uremic syndrome: A systematic literature review. *Clin Epidemiol.* 2020;12:295-305.
7. doi:10.2147/CLEP.S24564
8. George JN, Nester CM. Syndromes of Thrombotic Microangiopathy. *N Engl J Med.* 2014;371(7):654-666. doi:10.1056/NEJMra1312353
9. Schaefer F et al. *Kidney International.* 2018;94(2):408-18.
10. Hillmen, P. 2007. et al. *Blood.* 110(12):4123-4128
11. Cofiell R et al. *Blood.* 2015;125(21):3253-62
12. Peipert J. D., Kulasekararaj A. G., Gaya A et al. (2020) Patient preferences and quality of life implications of ravulizumab (every 8 weeks) and eculizumab (every 2 weeks) for the treatment of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. *PLoS ONE* 15(9): e0237497

Idursulfaza w terapii zespołu Hunter’a

Zespół Huntera należy do chorób rzadkich, a częstość jego występowania wynosi 1 na 150 000 urodzeń, najczęściej chłopców to każdego roku można spodziewać się 1- 2 noworodków obciążonych tą chorobą. Schorzenie manifestuje się objawami u dzieci w wieku 2-3 lat. Przy szybko postępującym schorzeniu prowadzącym m.in. do deformacji kośćca, opóźnienia umysłowego, uszkodzenia narządu słuchu oraz mięśnia sercowego powoduje to, iż kontynuowanie leczenia dla pacjentów Huntera jest koniecznością. Dane publikowane w światowej literaturze dowodzą, iż wczesne wdrożenie i stałe kontynuowanie enzymatycznej terapii zastępczej skutecznie przeciwdziała dalszemu rozwojowi zmian chorobowych, stabilizując chorobę szczególnie w zakresie charakterystycznych dla MPSII zmian neurologicznych/funkcji poznawczych.

Wg Europejskiej Agencji Leków (EMA), produkt leczniczy idursulfaza jest wskazany do długotrwałego leczenia pacjentów z zespołem Huntera (Mukopolisacharydoza II, MPS II). Wskazanie rejestracyjne pozwala na zastosowanie leku bezpośrednio po postawieniu diagnozy, niezależnie od wieku pacjenta. Lek jest dostępny w Polsce od 2009 r. w ramach publicznego systemu ochrony zdrowia. Skuteczność tej terapii została potwierdzona w badaniach obserwacyjnych, umożliwiających porównanie przeżywalności pacjentów leczonych oraz nieleczonych. Mediana przeżycia dla pacjentów leczonych wyniosła 33 lata, podczas gdy dla chorych nieleczonych wartość ta wyniosła 21,2 lat. Oznacza to, że leczenie idursulfazą wydłuża życie o średnio 11,8 lat. Obecnie, pacjenci z zespołem Hunter'a, są objęci leczeniem, w ramach programu lekowego „Leczenie mukopolisacharydozy typu II (Zespół Huntera) (ICD-10 E 76.1), jednak przyszłość leczenia tych pacjentów stoi aktualnie pod znakiem zapytania. Aktualnie obowiązująca decyzja refundacyjna wygasa 31 grudnia 2022 r, na ten moment, przedłużenie decyzji refundacyjnej nie jest pewne. Zgodnie z obowiązującymi przepisami, za zgodą Ministra Zdrowia, pacjenci zakwalifikowani w okresie do 31 grudnia 2022 r. do ww. programu lekowego, w przypadku nieprzedłużenia decyzji refundacyjnej, będą mogli kontynuować leczenie jedynie przez dwanaście miesięcy. Po okresie dwunastu miesięcy, w przypadku dalszego braku porozumienia między MZ, a wnioskodawcą, leczenie w ramach aktualnie istniejącego programu przestanie być dostępne dla polskich pacjentów. Od 1 stycznia 2023 r. pacjenci spełniający warunki kwalifikacji do obecnie obowiązującego programu lekowego, w przypadku nieprzedłużenia decyzji refundacyjnej, nie będą mogli rozpocząć terapii. Klinicyści podkreślają, że nadrzędnym celem jest zapewnienie ciągłości leczenia dla wszystkich pacjentów, którzy aktualnie korzystają i mogą skorzystać w przyszłości ze skutecznego i bezpiecznego leczenia zespołu Huntera. Zaprzeszanie leczenia idursulfazą związane jest z nagłym i gwałtownym pogorszeniem stanu pacjenta, dlatego kluczowym jest, aby po rozpoczęciu terapii utrzymać ją, nie tracąc tego, co zostało dzięki niej osiągnięte; (*Jurecka 2012, Jurecka 2014*). Obecnie terapia idursulfazą jest refundowana w 16 krajach europejskich, w tym państwach o podobnym do Polski poziomie rozwoju gospodarczego, np. w Słowacji, Słowenii, czy Łotwie. Co więcej, pomimo wygaśnięcia wyłączności rynkowej dla idursulfazy nie są dostępne produkty generyczne. Według publicznie dostępnych informacji nie toczą się również prace nad dopuszczeniem takich produktów do obrotu. Oznacza to, że w przypadku wygaśnięcia obowiązującej decyzji refundacyjnej dla tego produktu pacjenci zostaną pozbawieni jedynej dostępnej i skutecznej opcji terapeutycznej w tym wskazaniu. Efektywność praktyczna idursulfazy w leczeniu mukopolisacharydozy typu II (MPS II) została wykazana w rejestrze HOS. Rejestr gromadzi dane z real-world data od leczonych i nieleczonych pacjentów z MPS II, umożliwiając porównanie przeżywalności w obu grupach pacjentów (porównanie przeżycia u pacjentów leczonych sulfatazą iduronianu i nieleczonych pacjentów z MPS II) – Mediana przeżycia całkowitego dla kohorty pacjentów przyjmujących idursulfazę wynosiła 33 (95%CI: 30,4; 38,4) lata, podczas gdy dla chorych nieleczonych jedynie 21,2 (95%CI: 16,1; 31,5) lat, leczenie Elaprasy wydłuża przeżycie całkowite o średnio 11,8 lat. Lek poprawia lub stabilizuje funkcje sercowe (np. poprawa geometrii komór). Pozwala na normalizację tempa wzrostu u dzieci z MPS II, w porównaniu do chorych nieleczonych. Zastosowanie idursulfazy istotnie poprawia ruchomość stawów, wpływa na istotną redukcję wielkości wątroby i śledziony, a jakość życia chorych ulega znaczącej poprawie.*

*Decyzja refundacyjna dostępnej idursulfazy została przedłużona.

Piśmiennictwo:

1. Giugliani R, Hwu WL, Tylki-Szymanska A, Whiteman DA, Pano A. A multicenter, open-label study evaluating safety and clinical outcomes in children (1.4-7.5 years) with Hunter syndrome receiving idursulfase enzyme replacement therapy. *Genet Med.* 2014 Jun;16(6):435-41

2. Pano, A. Barbier, A. J. Bielefeld, B. Whiteman, D. A. Amato, D. A. Immunogenicity of idursulfase and clinical outcomes in very young patients (16 months to 7.5 years) with mucopolysaccharidosis II (Hunter syndrome). *Orphanet J Rare Dis.* 2015 Apr 24;10:50. doi: 10.1186/s13023-015-0265-2.
3. Wyniki ze strony bazy Clinicaltrials:
<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT00607386?term=elapraxe+or+idursulfase&draw=2&rank=4/>
4. Lampe, C., Atherton, A., Burton, B. K., Descartes, M., Giugliani, R., Horovitz, D. D., Kyosen, S. O., Magalhaes, T. S., Martins, A. M., Mendelsohn, N. J., Muenzer, J. and Smith, L. D. Enzyme Replacement Therapy in Mucopolysaccharidosis II Patients Under 1 Year of Age. *JIMD Rep.* 2014. 14(99-113).

Chirurgia

Zabieg rekonstrukcji zwieraczy w terapii nietrzymania gazów i stolca, jako powikłania porodu u kobiet

Problem uszkodzeń zwieraczy odbytu u kobiet po porodzie jest bardzo niezauważony. Mam tu na myśli mechaniczne uszkodzenia zwieraczy odbytu podczas porodu, a nie przejściową niewydolność zwieraczy odbytu, która występuje w pewnym odsetku u kobiet po porodzie siłami natury w wyniku samego porodu i która z czasem ustępuje. Uszkodzenia zwieraczy odbytu są ciężkimi uszkodzeniami ciała. Jest to problem wstydlivy i niedoszacowany. Uszkodzenia zwieraczy podczas porodu zwykle doprowadzają do nietrzymania stolca, które ujawnia się stosunkowo krótko po porodzie. Trzeba jednak wspomnieć, że u części kobiet występują mechanizmy działające niejako zastępczo w celu zapewnienia kontynencji (trzymania stolca). Polegają one na angażowaniu innych, poza uszkodzonymi zwieraczami, mięśni w celu zapewnienia trzymania stolca: np. mięśni ud czy pośladków. W ten sposób uszkodzenie zwieraczy jest maskowane zwykle do okresu menopauzy gdy mięśnie słabną, a nietrzymanie stolca staje się olbrzymim problemem nie tylko pacjentki ale także lekarzy. Nietrzymanie stolca po porodzie jest jednostką chorobową, która ma absolutnie dewastujący wpływ na zdrowie kobiety: brak kontynencji wymusza m. in. konieczność noszenia wkładek czy pieluch, w sposób istotny wpływa na aktywność życiową, seksualną, zawodową, spędzanie czasu wolnego. Dodatkowo powoduje ciężką dysfunkcję seksualną i psychiczną. Warto zwrócić też uwagę na kontekst wystąpienia nietrzymania stolca w związku z uszkodzeniami zwieraczy po porodzie: Pacjentka przychodzi do szpitala urodzić dziecko, a wychodzi - w przypadku nieleczenia - z ciężką i potencjalnie tylko częściowo uleczalną jednostką chorobową. W sposób szczególny na mechaniczne uszkodzenia zwieraczy narażone są kobiety, u których poród przebiega z trudnościami lub wymaga szybkiego ukończenia np. z powodu objawów zagrożenia życia płodu. Te działania, zwykle ratunkowe wobec płodu, wymuszają stosowanie szerokich nacięć krocza, wyciągaczy próżniowych czy też kleszczy. To z kolei przekłada się na wyższe ryzyko uszkodzeń tkanek miękkich kanału rodowego i okolicy odbytu. Po ciężkich porodach ocena zwieraczy stanowi wyzwanie zarówno z powodu trudności w rozpoznaniu jak i zaopatrzeniu, gdyż mięśnie te po rozerwaniu zwykle bardzo krwawią. Tym niemniej mechaniczne uszkodzenia zwieraczy odbytu można - i należy - rozpoznawać i leczyć niemal natychmiast lub w krótkim czasie po porodzie. Dane literaturowe nie pozostawiają wątpliwości, że im szybciej zwieracz zostanie zaopatrzony, tym większa szansa, że naprawa będzie wysoce skuteczna. Jako wysoką skuteczność rozumiemy prawidłową pracę zwieracza w długim okresie czasu. Wiadomo bowiem że głównym problemem tych odroczonej napraw zwieraczy, to jest napraw wykonywanych w odległym czasie po porodzie, jest ich malejąca skuteczność wraz z upływem czasu. Wczesne naprawy zwieraczy uszkodzonych podczas porodu mają jeszcze jeden ważny wymiar: oszczędzają Pacjentce, która co dopiero urodziła dziecko,

wszystkich niedogodności związanych z nietrzymaniem stolca w tym noszeniem pieluch, z którymi Pacjentka musi mierzyć się do czasu operacji naprawczej, i to ciągle sprawując opiekę nad nowo narodzonym dzieckiem a jednocześnie krążąc po poradniach w przygotowaniu do operacji naprawczej. W Polsce w przypadku amputacji w obrębie np. kończyny górnej pacjenci mają zapewnioną całodobowo dyżur replantacyjny pełniony w ośrodkach referencyjnych, do których ich się kieruje. U podstaw utworzenia tych ośrodków było zrozumienie kalectwa jakie niesie ze sobą utrata choćby części kończyny górnej. Nie mam najmniejszych wątpliwości, że uszkodzenie zwieraczy, szczególnie podczas porodu w przypadku jego nieleczenia także prowadzi do ciężkiego kalectwa. Dlatego uważam za niezbędne objęcia tych Pacjenteń uporządkowanym programem opieki już od czasu rozpoznania uszkodzenia zwieraczy ze szczególnym zwróceniem uwagi na pilność postępowania diagnostycznego, chirurgicznego i szalenie ważnego postępowania rehabilitacyjnego (!) oraz uprzywilejowanie w otrzymywaniu porad ambulatoryjnych. W jakiś sposób należałoby także uwzględnić poradnictwo dla pacjentek po uszkodzeniach zwieraczy, które planują kolejną ciążę. Podsumowując uważam że temat uszkodzeń okołoporodowych zwieraczy powinien znaleźć zrozumienie tak aby Polki otrzymywały w zakresie tej potencjalnie ciężko okaleczającej jednostki chorobowej świadczenia odpowiadające aktualnemu stanowi wiedzy.

Bezpieczeństwo lekowe w Polsce

Pandemia COVID-19 oraz wojna na Ukrainie pokazały, jak ważne jest bezpieczeństwo dostaw i dostępu chorych do leków. Na listach refundacyjnych jest kilka tysięcy leków, z których korzystają miliony Polaków oraz parę milionów uchodźców. Wiele z tych podstawowych leków to ratujące życie. Dziś w aptece i szpitalu zawsze możemy otrzymać potrzebne medykamenty i nawet nie wyobrażamy sobie, że mogłoby ich zabraknąć. Dla wielu ludzi, ale też urzędników dostęp do podstawowych leków jest tak oczywisty jak woda w kranie. Prawie połowę z tych leków dostarcza krajowy przemysł farmaceutyczny, czyli firmy polskie i zagraniczne, które w Polsce posiadają fabryki produkujące leki. Niestety, udział krajowych leków w polskim rynku spada. Tymczasem import podstawowych leków mogą zatrzymać nie tylko pandemie, ale i kryzysy ekonomiczne i energetyczne, konflikty zbrojne i geopolityczne, a nawet wybuch wulkanu, tsunami czy trzęsienie ziemi. Wówczas wszystkie kraje wprowadzają zakaz wywozu leków, a fabryki produkują wyłącznie na wewnętrzne potrzeby państwa. Brak leków to takie samo zagrożenie, jak wojna, kataklizm czy klęski żywiołowe. W trakcie pandemii wiele krajów, które nie posiadają własnego przemysłu farmaceutycznego borykało się z problemem zapewnienia ciągłości ich dostaw. Polacy nie mieli tego problemu, bo rodzimi wytwórcy dostosowywali produkcję do najpilniejszych potrzeb. A choć wszyscy mówili wówczas tylko o szczepionkach, w szpitalach wzrosło dramatycznie zapotrzebowanie na sterydy, antybiotyki czy leki anestetyczne niezbędne do zastosowania mechanicznego wspomaganie oddychania. Poza tym pomimo pandemii choroby przewlekłe nie zniknęły. Wyobraźmy sobie kolejny kryzys, zamknięcie granic i szczątkową produkcję leków w Polsce - życie prawie 3 milionów cukrzyków byłoby zagrożone, 4 milionów astmatyków i wielu innych chorych, dla których już dwutygodniowe braki leków mogą skończyć się śmiercią, jak choćby brak diuretyków niezbędnych pacjentom z przewlekłą niewydolnością serca, brak antybiotyków, nie wspominając o lekach stosowanych w chorobach onkologicznych. Dlatego większość krajów UE robi wszystko, aby relokować produkcję farmaceutyczną u siebie. Polski rząd również powinien wprowadzić mechanizmy zachęcające do zwiększenia produkcji leków i substancji do ich wytwarzania w Polsce. W ten sposób zapewnimy ciągłość dostaw podstawowych leków, a więc bezpieczeństwo lekowe Polek i ich rodzin. Rodzimi producenci leków nie oczekują wiele – apelują o utrzymanie

dotychczasowych cen urzędowych, a nie zmuszanie ciągłego ich obniżania. To niewiele dla zapewnienia bezpieczeństwa lekowego w Polsce.

6. Tezy dla Zdrowia

W trosce o zdrowie polskiego społeczeństwa, rozumiane jako najwyższej notowana wartości w życiu osobistym każdego z nas, a także istotny gwarant bezpieczeństwa narodowego, powstał *think-tank* „Medyczna Racja Stanu”. 29 czerwca 2018 r. pod patronatem księdza Kardynała Kazimierza Nycza w siedzibie Polskiej Akademii Nauk odbyła się zorganizowana przez ISP PAN, PUO, Kolegium Lekarzy Rodzinnych i Green Communication, systemowo-ekspercka debata prezentująca inicjatorów powołania *think-tanku*, skład Rady Naukowej oraz **Tezy dla Zdrowia** wytyczające kierunki niezbędnych zmian w systemie ochrony zdrowia. Po trwających kilka miesięcy dyskusjach i konsultacjach powstała obecna wersja **Tez dla Zdrowia**, w których proponujemy:

1. PRZYJĘCIE ZASADY „ZDROWIE W POLITYCE”

ZDROWIE znajduje się na pierwszej pozycji naszych potrzeb. Nie stało się jednak priorytetem programu żadnej partii. Proponujemy zapisanie w regulaminie Sejmu zasady dorocznego expose Premiera odnoszącego się także do wyzwań związanych ze zdrowiem Polaków, wygłaszanego w Światowym Dniu Chorego – 11 lutego i odnoszącego się do aktualnej sytuacji w ochronie zdrowia.

2. PROPAGOWANIE, KONTROLOWANIE I NAGRADZANIE POSTAW SŁUŻĄCYCH TROSCE O JAKOŚĆ

JAKOŚĆ powinna stać się wyznacznikiem wszelkich działań w obszarze ochrony zdrowia poczynając od stosunku do pacjenta, dbałości o jego dostęp do wykwalifikowanych kadr, procedur diagnostycznych, terapeutycznych, rehabilitacyjnych, przez kadry i procesy decyzyjne zapobiegające marnotrawieniu rosnących środków na opiekę medyczną i służących racjonalizacji wydatków. Wszystko to z myślą o budowaniu międzypokoleniowej atmosfery *continous improvement* – ciągłej poprawy jako głównego elementu zarządzania przez jakość.

3. PRZYJĘCIE, ŻE NAJWAŻNIEJSZE REFORMY POWINNY ZOSTAĆ PRZEPROWADZONE W CIĄGU 5 LAT. NAZYWAMY TO ZASADĄ „HORYZONT 2023”

Proponujemy by po zakończeniu społecznych konsultacji dotyczących Tez dla Zdrowia podpisana została pod patronatem Prezydenta RP, umowa społeczna uwzględniająca najważniejsze reformy w systemie ochrony zdrowia z założeniem, że w ciągu 5 lat nastąpi zwiększenie dostępności środków finansowych, organizacyjnych i infrastrukturalnych w tym obszarze. Stronami umowy powinny być wszystkie znaczące siły polityczne, a jej sens powinien polegać na kontynuacji najważniejszych zmian przez kolejne rządy. Konieczne jest też uwzględnienie aspektów zdrowotnych w procesie tworzenia i uchwalania prawa. Musimy nauczyć się dostrzegania konsekwencji wprowadzanych regulacji także pod kątem ich wpływu na zdrowie obywateli, a nie tylko skutków budżetowych.

4. SKRÓCENIE CZASU OCZEKIWANIA NA REFUNDACJĘ LEKÓW I REALIZACJĘ PROGRAMÓW LEKOWYCH, ZMNIJSZAJĄCE W DŁUŻSZEJ PERSPEKTYWIE OBCIĄŻENIE PUBLICZNYCH FINANSÓW, A CO NAJWAŻNIEJSZE OSZCZĘDZAJĄCE CIERPIENIA CHORYM I ICH BLISKIM

Wydatki na leki powinny rosnać wraz z wydatkami publicznymi na ochronę zdrowia i stanowić co najmniej 17% całego budżetu przeznaczanego na świadczenia gwarantowane. Procedura refundacyjna powinna być przejrzysta i odbywać się tak sprawnie by zapewnić pacjentom możliwie najszybszy dostęp do leków. Konieczne jest wprowadzenie szybkiej ścieżki refundacyjnej dla terapii stanowiących jedyny ratunek w stanach bezpośrednio zagrażających życiu i zapobiegających poważnym powikłaniom chorób przewlekłych oraz określenie jakich terapii to dotyczy i wskazanie

kryteriów oraz zasady ich typowania. Jesteśmy za automatyczną refundacją danego leku w ciągu 6 miesięcy od uzyskania pozytywnej oceny AOTMiT i poszerzeniem wskazań refundacyjnych zgodnie z ChPL produktu i aktualną wiedzą medyczną, przy jednoczesnym, szerszym wykorzystaniu instrumentów dzielenia ryzyka w korelacji z dowodami skuteczności terapii. W gestii Ministra Zdrowia powinna pozostać kwestia ustalenia progu refundacji. Refundacją powinny być obejmowane leki, których miesięczny koszt stosowania, w typowej dawce przekraczałby 20 zł. W trosce o budżet państwa konieczne jest tworzenie rejestrów pacjentów i dokonywanie oceny jakości terapii finansowanych ze środków publicznych.

5. USTALENIE ZASADY, ŻE CELEM JEST ZAPEWNIENIE WSZYSTKIM PRZEWLEKLE CHORYM TAKIEGO POZIOMU LECZENIA, BY MIELI MOŻLIWOŚĆ JAK NAJDŁUŻEJ POZOSTAWAĆ NA RYNKU PRACY

Jesteśmy za wprowadzeniem ustawowego wymogu uwzględniania kosztów pośrednich i społecznych związanych z decyzjami refundacyjnymi dla wskazanej przez ekspertów grupy chorób przewlekłych i powszechnych, w tym chorób rzadkich i ultraradkich. Wprowadzenie analizy kosztów pośrednich pozwoli przeznaczyć środki publiczne na terapie, które przynoszą najlepsze efekty zdrowotne i pomagają zredukować koszty pośrednie, co w dłuższej perspektywie poprawi kondycję zdrowotną Polaków i będzie miało pozytywny wpływ na budżet państwa.

6. RACJONALNE OKREŚLENIE ZAWARTOŚCI KOSZYKA ŚWIADCZEŃ GWARANTOWANYCH W SYSTEMIE OCHRONY ZDROWIA, PRZEPROWADZONE W OPARCIU O AKTUALNĄ WIEDZĘ MEDYCZNĄ I DOKŁADNE ROZPOZNANIE POTRZEB POLSKIEGO SPOŁECZEŃSTWA

Zasadą każdego ubezpieczenia jest precyzyjne określenie zakresu: szkód, działań i rekompensat pokrywanego przez firmę ubezpieczającą. Taka sama zasada powinna dotyczyć działań podejmowanych przez NFZ. Przy określeniu zawartości koszyka świadczeń gwarantowanych proponujemy przyjęcie zasady finansowania świadczeń diagnostycznych i terapeutycznych z następujących obszarów medycyny: ostre stany zagrażające życiu, drogie procedury szpitalne, diagnostyka i leczenie chorób przewlekłych. System powinien gwarantować równy dostęp do świadczeń zdrowotnych zgodnych z aktualną wiedzą medyczną i adekwatnych do stanu zdrowia pacjenta.

7. WPROWADZENIE ZASADY RÓWNOŚCI PODMIOTÓW LECZNICZYCH WOBEC PŁATNIKA – NFZ

NFZ powinien finansować określone procedury wszędzie tam, gdzie są one wykonywane, bez względu na rodzaj placówki leczniczej. Jedynym warunkiem podpisania umowy z NFZ powinno być zweryfikowane spełnianie przez placówkę określonych wymogów jakości, umożliwiających realizację konkretnej procedury i zapewnienie kontynuacji leczenia, nie zaś wygranie procedury konkursowej. Pozwoliłoby to na faktyczny przepływ pieniędzy „za pacjentem”.

8. UMOŻLIWIENIE POZABUDŻETOWEGO DOPŁYWU ŚRODKÓW FINANSOWYCH NA OCHRONĘ ZDROWIA I ZRÓWNANIE WYSOKOŚCI SKŁADEK ZDROWOTNYCH WSZYSTKICH GRUP SPOŁECZNYCH

Najpilniejsze zadania w tym zakresie to wprowadzenie:

- zasady powszechnego (tj. obejmującego wszystkich obywateli w wieku 18-62 lata) opłacania składki na ubezpieczenie zdrowotne, co zwiększając liczebność owej grupy mogłoby nawet pozwolić na obniżenie składki.
- możliwości finansowania przez obywateli szerszego poziomu usług poprzez umożliwienie opłacania via ZUS lub niepubliczne formy ubezpieczeniowe wyższych składek ubezpieczenia zdrowotnego (składki premium), co radykalnie zwiększyłoby strumień środków kierowanych do placówek lecznictwa publicznego.

- reguły, że składka publicznego ubezpieczenia zdrowotnego uzależniona będzie od indywidualnego, podejmowanego przez nas samego poziomu ryzyka chorobowego (palenie tytoniu, nadwaga...).

Alternatywne rozwiązanie to wprowadzenie ubezpieczeń komplementarnych na zasadach solidaryzmu społecznego.

9. POWOŁANIE FUNDUSZU WALKI Z RAKIEM

W związku z faktem, iż choroby nowotworowe stanowią jedno z największych zagrożeń cywilizacyjnych oraz wobec ogromnego postępu jaki dokonuje się w ich diagnostyce i terapii niezbędne jest zapewnienie odpowiedniego finansowania stosowanych tu procedur. Szczególną wagę należy przykładac do profilaktyki nowotworów, których czynniki sprawcze zostały dobrze poznane, a dzięki wczesnemu wykryciu mogą być skutecznie eliminowane; np. wdrożenie badań przesiewowych w kierunku zakażeń HCV, których dostępne już w Polsce, skuteczne leczenie zapobiega rakowi wątroby. Proponujemy, wzorem rozwiązań brytyjskich skupienie się na podobnych działaniach i powołanie na 10 lat Funduszu Walki z Rakiem zasilanego przez państwo z akcyzy na papierosy i alkohol, która powinna wzrosnąć oraz z kar nakładanych na przemytników i nielegalnych producentów papierosów i alkoholu. Wsparciem Funduszu mogłyby być również nadwyżka finansowa uzyskana z polisy dobrowolnych ubezpieczeń komplementarnych.

10. POWOŁANIE FUNDUSZU NA RZECZ CHOROÓB RZADKICH I ULTRARZADKICH

Uważamy, że we współczesnym społeczeństwie wyznającym zasady solidaryzmu, pacjentowi, którego spotkało wyjątkowe nieszczęście w postaci diagnozy rzadkiego schorzenia winni jesteśmy realną pomoc w dostępie do najskuteczniejszych metod diagnostyki, terapii i rehabilitacji. Wsparcie Funduszu powinno odbywać się na zasadach takich, jak w przypadku Funduszu Walki z Rakiem.

11. SYSTEMOWE WSPARCIE DLA OSÓB UCZESTNICZĄCYCH W PROGRAMIE WALKI Z OTYŁOŚCIĄ I NADWAGĄ – „MOTYWACJA+”

Schorzenia te stają się coraz poważniejszym zagrożeniem cywilizacyjnym w państwach wysokorozwiniętych. Proponujemy zatem wprowadzenie finansowych form zachęty do walki z otyłością dla osób decydujących się na kurację odchudzającą według zasad określonych przez AOTMiT i realizowanych w POZ; w tym możliwość zmniejszenia składki zdrowotnej.

12. PROPAGOWANIE WIEDZY NA TEMAT SKUTECZNEGO ZAPOBIEGANIA CHOROBOM CYWILIZACYJNYM (SERCOWO-NACZYNIOWYM, ONKOLOGICZNYM, METABOLICZNYM) I PREMIOWANIE PRZESTRZEGANIA ZASADY WSPÓŁODWIEDZIALNOŚCI KAŻDEGO Z NAS ZA WŁASNE ZDROWIE

Fundamentem promocji zdrowia powinno być wprowadzenie do szkół przedmiotu pod nazwą „Podstawy zdrowego życia” będącego elementem Krajowego Programu Promocji Zdrowia realizowanego we współpracy Rządu z Kościołem. Aktywny udział w programie i poprawa parametrów zdrowotnych powinny być premiowane zmniejszeniem obciążeń podatkowych, zmniejszeniem składki zdrowotnej lub ułatwieniem w dostępie do określonych świadczeń opieki zdrowotnej. Realizację Tezy 11 i 12 wspierałoby opodatkowanie żywności o wysokiej gęstości kalorycznej (dużo kalorii w małej objętości) i zakaz reklamy takich produktów, a także powszechne wprowadzenie zasady informowania o kaloryczności produktów i posiłków.

13. POSTAWIENIE NA POZ I STWORZENIE PROGRAMU WSPARCIA OPIEKI ŚRODOWISKOWEJ

Koordynacja opieki na poziomie POZ i AOS jest gwarancją efektywności całego systemu ochrony zdrowia. Nowy program wsparcia opieki środowiskowej powinien koncentrować się na rozwoju opieki

geriatrycznej, kardiologicznej i rehabilitacyjnej. Wymaga to intensywnego rozwoju w każdej gminie pielęgniarstwa środowiskowego i placówek dziennego pobytu dla seniorów oraz osób ze znacznym upośledzeniem funkcji poznawczych czy motorycznych. W ramach koordynacji opieki w POZ i wsparcia opieki środowiskowej postulujemy aktywizację programu wolontariatu szkolnego skierowanego do osób potrzebujących pomocy.

14. POWOŁANIE EUROPEJSKIEJ UNII ZDROWIA

Przygotowanie z inicjatywy polskiego rządu, założeń wspólnego działania na rzecz ZDROWIA na poziomie unijnym w oparciu o doświadczenia takich rozwiązań jak Europejska Unia Energetyczna. Założenia EUZ powinny stać się częścią polskiej strategii budowania koalicji wewnątrz wspólnoty. Jeden z postulatów to stworzenie europejskiej solidarnościowej listy leków dla całego obszaru UE, poczynając od leków sierocych i stopniowo –wszystkich innych, równając do najpełniejszych list w najbogatszych krajach wspólnoty. Celem tego przedsięwzięcia, w którym powinny partycypować wszystkie kraje członkowskie będzie zrównanie poziomu dostępu do nowoczesnej diagnostyki oraz leków refundowanych na całym terenie UE a także wspólna strategia dawania odporu ruchom antyszczepionkowym.

15. UTRZYMANIE ZASADY OBOWIĄZKOWOŚCI SZCZEPIEŃ OCHRONNYCH W POLSCE

Obowiązkowe szczepienia, stanowiąc ochronę indywidualną oraz środowiskową, są jednymi z najważniejszych elementów zdrowia wspólnotowego i wyrazem solidaryzmu społecznego. Należy zdecydowanie:

- zwiększyć wiedzę społeczną na temat szczepień,
- nasilić wszelkie formy przeciwdziałania Państwa przejawom deprecjonowania ich roli - konsekwentnie walczyć z fałszującymi prawdę mitami,
- zapewnić możliwie najskuteczniejszą ochronę osobom z medycznymi przeciwwskazaniami do szczepień
- zapewnić wzrost wyszczepialności osób dorosłych.

16. PROMOCJA POLSKI PRZEZ ZDROWIE

Dotychczasowe doświadczenia projektów z zakresu zdrowia promujących Polskę wskazują na dużą efektywność tego typu działań, szczególnie w państwach biedniejszych (Afryka, Azja Środkowa). Proponujemy, by w ramach promocji Polski za granicą, jako stały element, oprócz działań w zakresie kultury i nauki, włączyć działania prozdrowotne promujące polskie przedsięwzięcia w dziedzinie medycyny (leczenie słuchu, kardiologia, kształcenie pielęgniarzek, itp.).

7. Siedem Zasad Doktora Janusza Medera- jak zadbać o wzajemne dobre relacje z pacjentem

„Tym, co pełnią misję lekarską, niosą ulgę w chorobie i cierpieniu – dedykuję kilka myśli ku rozwadze”.
Dr Janusz Meder (1980)

1. Powitaj pacjenta – podaj mu rękę na przywitanie.
2. Skup, choć kilka minut, tylko na nim swoją uwagę – dając do zrozumienia, że w tym czasie on jest najważniejszy dla ciebie i bierz wywiad lekarski w sposób zwięzły i taktowny, komunikując się językiem zrozumiałym dla swojego rozmówcy i dochowując tajemnicy lekarskiej oraz innych praw pacjenta.
3. Poproś pacjenta o rozebranie się z zachowaniem jego prawa do wolności, godności i intymności, a następnie, mając jego przyzwolenie, dokładnie zbadaj jego ciało w całości.

4. Na każdym etapie diagnozy i leczenia wyobrażaj sobie, że to ty jesteś na miejscu pacjenta i pomyśl, czy chciałbyś być tak samo traktowany.
5. Zważaj na każde wypowiedziane do pacjenta słowa i nigdy nie odbieraj mu nadziei, mając przede wszystkim pokorę do własnej wiedzy niezależnie od stopnia swoich kwalifikacji, zajmowanego stanowiska czy też posiadanego tytułu naukowego.
6. Pełniąc swoją niełatwą misję lekarską, bądź cierpliwy, nie zapominaj o dobrych i ciepłych słowach, nie obrażaj się i nie gniewaj na pacjenta, a swoją postawą i działaniem zaświadcza o zbieżności swoich celów z celami pacjenta stosownie do jego potrzeb, oczekiwań i życzeń oraz zgodnie z jego wolą, światopoglądem i filozofią życia.
7. Traktuj zawsze pacjenta podmiotowo w sposób holistyczny, nie oddzielając jego części fizycznej od psychicznej i duchowej, bowiem stanowią one jedną nierozdzielalną całość.

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

Raport powstał dzięki wsparciu partnerów:



ⁱ Spychalska J., Brojer E., Nocna napadowa hemoglobinuria — patofizjologia, klasyfikacja i nowoczesna diagnostyka, *Hematologia* 2013, 4 (4): 301-320

ⁱⁱ Hill A, Richards SJ, Hillmen P. *Br J Haematol.* 2007 May;137(3):181-92.

ⁱⁱⁱ Hill A., DeZern A.E, Kinoshita T., Brodsky R.A., *Nat Rev Dis Primers.* 2017, 3: 17028

^{iv} Campistol JM, Arias M, Ariceta G, et al. An update for atypical haemolytic uraemic syndrome: diagnosis and treatment. A consensus document. *Nefrologia.* 2015;35(5):421-447

^v Yan K, Desai K, Gullapalli L, Druyts E, Balijepalli C. Epidemiology of atypical hemolytic uremic syndrome: A systematic literature review. *Clin Epidemiol.* 2020;12:295-305.
doi:10.2147/CLEP.S24564

^{vi} George JN, Nester CM. Syndromes of Thrombotic Microangiopathy. *N Engl J Med.* 2014;371(7):654-666.
doi:10.1056/NEJMra1312353

^{vii} Schaefer F et al. *Kidney International.* 2018;94(2):408-18.

^{viii} Hillmen, P. 2007. et al. *Blood.* 110(12):4123-4128

^{ix} Cofiell R et al. *Blood.* 2015;125(21):3253-62

^x Peipert J. D., Kulasekararaj A. G., Gaya A et al. (2020) Patient preferences and quality of life implications of ravulizumab (every 8 weeks) and eculizumab (every 2 weeks) for the treatment of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. *PLoS ONE* 15(9): e0237497