



# Medyczna Racja Stanu

Honorowy Patronat Ks. Kardynała Kazimierza Nycza

## „Zdrowie Kobiety - Bezpieczeństwo Rodziny”

### Debata inauguracyjna III etapu kampanii edukacyjno-systemowej



25 maja 2023, godz. 11.00 – 15.55

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

### Informacja prasowa

Według danych GUS w końcu czerwca 2022 r. ludność Polski liczyła 37,8 mln osób. W ogólnej liczbie ludności kobiety stanowiły prawie 52% (19,6 mln osób), a współczynnik feminizacji wynosił 107 (w miastach 111, a na wsi 101).<sup>1</sup> Do tej grupy obywaterek Polski, od 24 lutego 2022 r. dołączyło ok. 1 mln uchodźczyń z Ukrainy, ponieważ według Rzecznika Praw Obywatelskich zdecydowana większość osób szukających w Polsce schronienia przed wojną w Ukrainie to kobiety i dziewczęta.<sup>2</sup> Niesie to ze sobą odpowiedzialność Państwa Polskiego za zdrowie także tych kobiet i dziewcząt, dostęp do szczepień ochronnych, leków oraz wszystkich innych potrzebnych świadczeń zdrowotnych.

Polki zapytane o najważniejsze wartości, którymi kierują się w życiu wymieniają zdrowie (51%), rodzinę (43%) i solidarność (30%). 65% kobiet przez pojęcie „zdrowie” rozumie zarówno zdrowie fizyczne, jak i psychiczne. Zdaniem ankietowanych, Polki nie do końca dbają o swoje zdrowie. Aż połowa z nich nie bada się cyklicznie, a tylko 55% twierdzi, że zdrowo się odżywia.<sup>3</sup> Kobiety bardziej dbają o zdrowie niż mężczyźni

<sup>1</sup> Ludność. Stan i struktura ludności oraz ruch naturalny w przekroju terytorialnym w 2022 r. Stan w dniu 30 czerwca 2022. GUS <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/ludnosc/ludnosc/ludnosc-stan-i-struktura-ludnosci-oraz-ruch-naturalny-w-przekroju-terytorialnym-w-2022-r-stan-w-dniu-30-czerwca-2022,6,33.html>

<sup>2</sup> <https://bip.brpo.gov.pl/pl/content/rpo-ukraina-wojna-uchodzcy-prawa-kobiet-przemoc>

<sup>3</sup> Raport – Polki 2021 – Nowe wartości na nowe czasy. <https://www.gedeonrichter.pl/aktualnosci/raport-polki-2021-nowe-wartosci-na-nowe-czasy/>

z czego większość (52%) ocenia swój stan zdrowia fizycznego, jako bardzo dobry i dobry, zaś jako zły lub bardzo zły ocenia tylko 8% kobiet. Większość Polek (61%) ocenia swój stan zdrowia psychicznego, jako bardzo dobry i dobry, a jako zły lub bardzo zły - 11 % z nich. Kobiety są bardziej zestresowane niż mężczyźni. Odnośnie stylu życia: 32% ankietowanych przyznało, że pali wyroby tytoniowe, 87% - pije alkohol, 50% - nie uprawia żadnego sportu, 28% - pije napoje słodzone co najmniej kilka razy w tygodniu, 34% - jada codziennie owoce, a zaledwie 30% - jada codziennie warzywa. 50% Polek ma problem z nadmierną masą ciała, a 29% ma nadwagę, zaś 21% cierpi na otyłość.<sup>4</sup> W dokumencie pt. „Zdrowa przyszłość. Ramy strategiczne rozwoju systemu ochrony zdrowia na lata 2021-2027, z perspektywą do 2030 r.” stwierdzono, że w roku 2019 przeciętna długość życia kobiet była o 7,7 roku dłuższa, w porównaniu do mężczyzn i wynosiła 81,8 lat (w 1990 r. przeciętna długość życia kobiet wynosiła 75,2 lata - a więc dzięki zmianie stylu życia i dostępowi do skutecznej profilaktyki, diagnostyki i terapii wzrosła o ok. 6,6 lat w przeciągu 30 lat). Jednak według szacunków Eurostatu w 2018 r. średnia długość życia Polek była o ok. 2 lata krótsza niż wartość dla ogółu mieszkanki UE (83,7 lat). W większości przypadków wyższa umieralność Polek w wieku 25–64 lata wciąż w znaczącym stopniu (w ponad 40%) jest odpowiedzialna za ich przeciętnie krótsze życie w porównaniu z mieszkankami państw Europy Zachodniej. W przypadku kobiet, nadumieralność w Polsce dotyczyła przede wszystkim chorób układu krążenia oraz nowotworów.

Wzrost umieralności z powodu chorób nowotworowych wynika zarówno ze zjawiska starzenia się ludności, jak i nasilonego narażenia populacji na czynniki rakotwórcze.<sup>5</sup> Nowotwory złośliwe stanowią drugą przyczynę zgonów w Polsce, powodując w 2018 roku 23,1% zgonów kobiet. Stanowią one istotny problem zdrowotny przede wszystkim u osób w młodym i średnim wieku (25–64 lat). Zjawisko to jest szczególnie widoczne w populacji kobiet, w której od kilku lat nowotwory są najczęstszą przyczyną zgonów przed 65. rokiem życia, stanowiąc 31% zgonów kobiet młodych i 48% zgonów w średnim wieku. W populacji kobiet wiodącymi umiejscowieniami nowotworów nadal pozostają: piersi, płuco i jelito grube (okreźnica, odbytnica i odbyt), szyjki macicy i nowotwór jajnika. Nowotwory płuca utrzymują pierwszą pozycję wśród nowotworowych przyczyn zgonów kobiet (17,5%), wyprzedzając nowotwory piersi (15%). Dominujące wśród kobiet nowotwory piersi charakteryzowały się w ciągu minionego półwiecza stale rosnącą zachorowalnością. Trendy umieralności na raka piersi zmieniały się kilkukrotnie w ciągu ostatnich trzydziestu lat. Początkowy wzrost śmiertelności został zahamowany w połowie lat 90. ubiegłego wieku, a w latach 1996–2010 notowano jego spadek. W okresie 2010–2018 nastąpiła niekorzystna zmiana trendu, a współczynnik umieralności wzrósł o około 16,5%. Trzecią, najczęstszą przyczyną zgonów wskutek nowotworów złośliwych u kobiet w ciągu ostatnich kilku lat pozostają nowotwory jelita grubego.<sup>6</sup> Według prognoz do 2028 r. nastąpi wzrost zachorowań na nie wśród kobiet o 3,5%. Odsetek kobiet, u których wykonano badania cytologiczne, waha się od kilku do kilkunastu procent (według wyliczeń NFZ w 2016 r. zaledwie 20,5% kobiet uczestniczyło w programie profilaktyki raka szyjki macicy, a wartość ta w roku 2017 była jeszcze niższa i wyniosła 18,73%). Lepiej wygląda profilaktyka raka piersi, choć nadal na mammografię zgłasza się mniej niż połowa kobiet (w 2016 r. – 40,82%, w 2017 r. – 39,40%).<sup>7</sup> Lekarze i pacjenci na zmiany systemowe w onkologii, w tym tej zajmującej się nowotworami kobiecymi, czekają od miesięcy. Obecnie, gdy do Polski przybyły tysiące kobiet z Ukrainy - niektóre w trakcie leczenia onkologicznego – pojawiło się kolejne wyzwanie. Zdaniem ekspertów - olbrzymie. Kryzys migracyjny dokłada się do tego wywołanego przez pandemię: w ostatnich dwóch latach spadła liczba wizyt

<sup>4</sup> Narodowy Test Zdrowia Polaków 2020 Raport <https://www.nn.pl/dam/zasoby/raporty/Narodowy-Test-Zdrowia-Polakow-2020-raport.pdf>

<sup>5</sup> Dokument „Zdrowa przyszłość. Ramy strategiczne rozwoju systemu ochrony zdrowia na lata 2021-2027, z perspektywą do 2030 r. <https://www.gov.pl/web/zdrowie/zdrowa-przyszlosc--strategia-rozwoju-ochrony-zdrowia-na-kolejne-dziewiec-lat>

<sup>6</sup> Nowotwory złośliwe w Polsce w 2018 roku. KRN [http://onkologia.org.pl/wp-content/uploads/Nowotwory\\_2018.pdf](http://onkologia.org.pl/wp-content/uploads/Nowotwory_2018.pdf)

<sup>7</sup> Dokument „Zdrowa przyszłość. Ramy strategiczne rozwoju systemu ochrony zdrowia na lata 2021-2027, z perspektywą do 2030 r. <https://www.gov.pl/web/zdrowie/zdrowa-przyszlosc--strategia-rozwoju-ochrony-zdrowia-na-kolejne-dziewiec-lat>

u ginekologa, więc więcej niż przed pandemią (a wtedy również nie było najlepiej) polskich kobiet ma nowotwory w późnych stadiach.<sup>8</sup>

Choroby autoimmunologiczne dotyczą kobiet aż 2-3 razy częściej niż mężczyzn. Cechą schorzeń autoimmunologicznych jest to, że pojawiają się przed 30. rokiem życia. Należy do nich wiele jednostek chorobowych, które mogą obejmować różne narządy i układy w organizmie: przewód pokarmowy, układ nerwowy, tkankę łączną, skórę, czy też gruczoły wydzielania wewnętrznego. Do chorób autoimmunologicznych zalicza się m. in. nieswoiste zapalenia jelit - chorobę Leśniowskiego-Crohna oraz wrzodziejące zapalenie jelita grubego, stwardnienie rozsiane, łuszczycę, toczeń rumieniowaty układowy, reumatoidalne zapalenie stawów, młodzieńcze idiopatyczne zapalenie stawów, zeszywniające zapalenie stawów kręgosłupa oraz łuszczycowe zapalenie stawów. Często pomijanym aspektem przewlekłych chorób zapalnych są szczególne wyzwania i różnice w leczeniu związane z płcią. Przykładowo, niektóre kobiety z określonymi schorzeniami są znacznie później niż mężczyźni trafnie zdiagnozowane pod kątem ich choroby, co może wpłynąć na wynik leczenia. Niektóre przewlekłe choroby zapalne mogą również powodować u kobiet większy ból, stres i zmęczenie niż u mężczyzn z takimi samymi schorzeniami. Ponadto, kobiety cierpiące na przewlekłe choroby zapalne mogą mieć różne obawy zdrowotne, np. dotyczące planowania rodziny, a jednocześnie mogą nie czuć się wystarczająco pewnie, by zadać właściwe pytania swojemu lekarzowi prowadzącemu.

Na część chorób mózgu zapada więcej populacji żeńskiej. Jaskrawym przykładem jest depresja, na którą cierpi około 2 razy więcej kobiet niż mężczyzn. Istotną rolę odgrywają tutaj czynniki hormonalne, genetyczne i psychospołeczne. Problem występowania depresji poporodowej dotyczy około 7-13% kobiet w połogu. Dotyczy ona 3,1-4,9% kobiet w ciąży.<sup>9</sup> Dane NFZ wskazują, że w 2018 r. świadczeń z rozpoznaniem depresji udzielono 631,6 tys. osób, a aż 73% z nich stanowiły kobiety.<sup>10</sup> Kolejnym przykładem jest migrena, która występuje dwa razy częściej u kobiet, gdzie obserwuje się również jednoznaczny wzrost rozpowszechnienia migreny wraz z wiekiem. Największą wartość oszacowania otrzymano dla około 40. roku życia, a więc potencjalnie największych możliwości zawodowych, gdy można korzystać zarówno z sił witalnych (o ile nie są ograniczone przez chorobę), jak i ze zdobytego już doświadczenia. Kobiety cierpiące na migrenę, będące w wieku około 40 lat znajdują się więc w wyjątkowo niekorzystnej sytuacji w porównaniu z kobietami zdrowymi znajdującymi się w tym samym wieku. Doświadczają one szeregu objawów ograniczających ich możliwości, spotykając się z takimi samymi oczekiwaniami, jakie są stawiane kobietom zdrowym. Kolejnym okresem, w którym objawy migreny wyraźnie się nasilają jest czas menopauzy, która poza migreną może wywoływać wiele innych dolegliwości.<sup>11</sup>

W 2018 r. kobiety w Polsce mogły oczekiwać, że przeżyją w zdrowiu (bez ograniczonej sprawności) 64,3 lat (79% długości życia). Różnica w oczekiwanej długości życia w zdrowiu kobiet w Polsce (3,8 lat) jest obecnie największa w krajach UE.<sup>12</sup> Tylko co czwarta kobieta powyżej 50. roku życia była aktywna zawodowo (26,2%) w 2019 r.<sup>13</sup> Według danych ZUS w 2020 r. świadczenia wypłacone kobietom związane

---

<sup>8</sup> <https://pap-mediaroom.pl/zdrowie-i-styl-zycia/diagnostyka-i-leczenie-onkologiczne-kryzys-migracyjny-kolejne-wyzwanie>

<sup>9</sup> <https://forumprzeciwdepresji.pl/depresja/kazdy-moze-miec-depresje/depresja-u-kobiet>

<sup>10</sup> NFZ o zdrowiu. Depresja 2020 <https://ezdrowie.gov.pl/portal/home/zdrowe-dane/raporty/nfz-o-zdrowiu-depresja>

<sup>11</sup> Społeczne znaczenie migreny z perspektywy zdrowia publicznego systemu ochrony zdrowia. PZH 2019

<https://www.pzh.gov.pl/wp-content/uploads/2019/06/RAPORT-MIGRENA-ca%C5%82y.pdf>

<sup>12</sup> Raport „Sytuacja zdrowotna ludności Polski i jej uwarunkowania”. PZH 2020

<http://bazawiedzy.pzh.gov.pl/wydawnictwa>

<sup>13</sup> Osoby powyżej 50. roku życia na rynku pracy w 2019 roku GUS 2021 <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/rynek-pracy/opracowania/osoby-powyzej-50-roku-zycia-na-ryнку-pracy-w-2019-roku,19,4.html>

z niezdolnością do pracy (renty, absencje chorobowe, zasiłki) wyniosły ok. 21 mld zł i stanowiły 49,2% wydatków ogółem. Co ciekawe – kobiety generowały więcej absencji chorobowej, ale mniej rent, w porównaniu z mężczyznami. W populacji żeńskiej największy udział wydatków stanowiły wydatki związane z opieką położniczą z powodu stanów związanych głównie z ciążą (O26) – 21,0%, z reakcjami na ciężki stres i zaburzenia adaptacyjne (F43) – 3,5%, zaburzeniami korzeni nerwowych (G54) i ostrymi zakażeniami dróg oddechowych (J06) – po 2,8% oraz schizofrenią (F20) i innymi chorobami kręgosłupa międzykręgowego (M51) – po 2,4%.<sup>14</sup>

Reasumując, zdrowie kobiet powinno być traktowane jako najcenniejsza inwestycja z perspektywy polskiego społeczeństwa. Jest to bowiem, nie tylko zdrowie jednej osoby, lecz także zabezpieczenie funkcjonowania całej rodziny. Edukacja zdrowotna, profilaktyka i zdrowy styl życia powinny możliwie długo utrzymywać optymalny stan zdrowia kobiety, a w przypadku wczesnie rozpoznanej choroby właściwa diagnostyka, terapia i rehabilitacja gwarantować szybki powrót do zdrowia lub godne życie z chorobą przewlekłą.

Poniżej opisano przykładowe problemy zdrowotne z zakresu zdrowia kobiety.

## Spis treści

Onkologia .....	5
Sacituzumab govitecan w terapii potrójnie ujemnego raka piersi .....	5
Abemacyklid w leczeniu wczesnej postaci raka piersi .....	6
Nowe formy trastuzumabu, jako wyjście naprzeciw optymalizacji opieki zdrowotnej i jakości życia pacjenta.....	8
Dostarlimab w terapii raka endometrium (trzonu macicy) .....	9
Choroby rzadkie .....	10
Trientyna w leczeniu choroby Wilsona .....	10
Cukrzyca .....	13
Semaglutyd w terapii cukrzycy typu 2 .....	13
Otyłość .....	13
Program pilotażowy w zakresie kompleksowej opieki specjalistycznej nad pacjentami leczonymi z powodu otyłości olbrzymiej KOS-BAR.....	13
Działania propagujące zdrowe nawyki żywieniowe w szkołach .....	14
Krajowy Ośrodek Wsparcia Rolnictwa .....	14
„Program dla szkół” .....	14
Urologia.....	15
Refundacja jednorazowych cewników urologicznych hydrofilowych - zniesienie dopłaty dla pacjentów od 18-26 r.ż. oraz obniżenie dopłaty do 10% dla pacjentów dorosłych .....	15
Ginekologia i położnictwo .....	17

<sup>14</sup> Wydatki na świadczenia z ubezpieczeń społecznych związane z niezdolnością do pracy w 2020 r. ZUS 2021  
<https://www.zus.pl/baza-wiedzy/statystyka/opracowania-tematyczne/wydatki-na-swiadczenia-z-ubezpieczen-spoecznych-zwiazane-z-niezdolnoscia-do-pracy>

Małoinwazyjny test diagnostyczny EndoRNA w szybkiej diagnostyce endometriozy .....	17
Neurologia.....	18
Okrelizumab w terapii I linii stwardnienia rozsianego .....	18
Chirurgia.....	19
Zabieg rekonstrukcji zwieraczy w terapii nietrzymania gazów i stolca, jako powikłania porodu u kobiet	19

## Onkologia

### Sacituzumab govitecan w terapii potrójnie ujemnego raka piersi

Rak piersi był w roku 2020 najczęściej diagnozowanym spośród nowotworów złośliwych na świecie. W Polsce sytuacja jest podobna. Według danych z Krajowego Rejestru Nowotworów w 2017 r. w Polsce stwierdzono 18 529 nowych zachorowań na ten nowotwór, a z powodu raka piersi zmarło 6670 kobiet. Szczyt zachorowań występuje u kobiet w wieku 50-69 lat. 1 na 8 kobiet zachoruje na ten nowotwór w ciągu swojego życia. Podział molekularny ma znaczenie dla ustalenia dalszego postępowania terapeutycznego, odbywa się poprzez ocenę: ekspresji receptorów ER, ekspresji receptorów PgR oraz statusu receptora HER2. Uwzględniając powyższe, czyli ocenę ekspresji receptorów, raka piersi możemy podzielić na 4 główne podtypy: HR+/HER2- (Luminal A), HR+/HER2+ (Luminal B), HR-/HER2+ (HER2-enriched) oraz HR-/HER2 (TNBC). Potrójnie ujemny rak piersi (TNBC, triple-negative breast cancer) to nowotwór, który nie wykazuje obecności receptorów estrogenowych (ER), receptorów progesteronowych (PgR) i nadekspresji ludzkiego naskórkowego receptora typu 2 (HER2, human epidermal receptor 2) w ocenie immunohistochemicznej. Ujemne wyniki oceny tych parametrów oznaczają, że proliferacja (rozwój) komórek tego nowotworu i jego progresja nie są stymulowane przez receptory dla estrogenu i progesteronu ani poprzez receptor HER2. Rak potrójnie ujemny stanowi około 10-15% wszystkich nowotworów piersi. Według danych z Narodowego Instytutu Onkologii w Warszawie w latach 2016–2018 w Polsce pierwotne TNBC stanowiły 9,6%, a rozsiane (czyli z przerzutami) - 17,9%. TNBC, jest podtypem biologicznym raka piersi charakteryzującym się najgorszym rokowaniem i najczęstszym występowaniem u chorych w młodszym wieku. Wynika to z samej biologii komórek nowotworowych, charakteryzujących się większą dynamiką wzrostu, większą złośliwością kliniczną, czy niższym zróżnicowaniem komórek nowotworu, ale również z braku możliwości zastosowania wielu terapii systemowych skutecznych w innych podtypach biologicznych raka piersi, takich jak hormonoterapii czy terapii anty-HER2 (Human epidermal growth factor receptor 2 -receptor ludzkiego naskórkowego czynnika wzrostu). Wobec tego bardzo ważny jest dalszy rozwój terapii systemowych dostępnych dla tej grupy chorych. Przeciwnowotworowe leczenie systemowe (inaczej „układowe”) polega na stosowaniu leków podawanych w taki sposób, by działały na cały organizm. Obecnie można wskazać trzy główne sposoby przeciwnowotworowego leczenia systemowego: chemioterapia, czyli leczenie cytotoksyczne (powodujące śmierć komórek); hormonoterapia, czyli celowe oddziaływanie na produkcję/działanie hormonów (rzadko wywołuje śmierć komórek, ale często powoduje zatrzymanie ich rozwoju – leczenie cytostatyczne); leczenie biologiczne, czyli wpływające na działanie układu odpornościowego i ukierunkowane na określone cele molekularne (np. szczególne receptory na powierzchni komórek). Część przypadków TNBC ściśle wiąże się z zaburzeniami genów BRCA i ich produktów białkowych. W grupie kobiet z mutacją w genie BRCA1 75% rozpoznawanych raków piersi ma postać raka potrójnie ujemnego. Ogólna charakterystyka TNBC to: agresywny przebieg kliniczny, bardzo ograniczona liczba opcji terapeutycznych, gorsze prognozy przeżycia 5-letniego w porównaniu do innych podtypów molekularnych, oraz wyższym ryzykiem występowania przerzutów do narządów trzewnych (najczęściej



płuca - 40%, mózg - 30%, wątroba - 20%, kości - 10%), występuje częściej u kobiet młodszych, w wieku przed-menopauzalnym. Wytyczne europejskie (ESMO - European Society of Medical Oncology) rekomendują u pacjentek we wczesnym stadium choroby zastosowanie chemioterapii. Gdy pacjentka przestaje odpowiadać na leczenie i pojawią się przerzuty, rekomendowane są inhibitory PARP (w przypadku wystąpienia mutacji BRCA), immunoterapia lub kontynuowana jest chemioterapia. W kolejnym etapie preferowaną opcją jest terapia lekiem - sacituzumab govitecan lub w przypadku braku jego dostępności - chemioterapia. Pacjentki z przerzutowym TNBC (mTNBC) gorzej odpowiadają na chemioterapię niż pacjentki z innymi podtypami. Pozytywna odpowiedź na to leczenie uzyskiwana jest u maksimum 10-15% chorych z mTNBC. Mediana przeżycie całkowitego (OS) dla pacjentek z mTNBC leczonych konwencjonalną chemioterapią to 9-12 miesięcy. Lek został zarejestrowany przez EMA w listopadzie ubiegłego roku. W dniu 25 lutego lek sacytuzumab gowitekan został ujęty w opublikowanym przez Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności na rok 2022. Zgodnie z opinią Rady Przejrzystości Agencji sacytuzumab gowitekan zakwalifikowany został do kategorii A, czyli technologii przewidzianych do finansowania w ramach Funduszu Medycznego w pierwszej kolejności. Dzięki decyzji Ministra Zdrowia opublikowanej w obwieszczeniu refundacyjnym nr 66 od dnia 1 listopada 2022 r. sacytuzumab gowitekan będzie refundowany publicznie w ramach programu lekowego B.9.FM „LECZENIE CHORYCH NA RAKA PIERSI (ICD-10: C50)” we wskazaniu „Leczenie II lub III linii przerzutowego potrójnie ujemnego w przypadku pacjentów, którzy wcześniej otrzymali co najmniej dwie linie leczenia systemowego”. Jest to technologia lekowa o wysokim poziomie innowacyjności finansowana z Funduszu Medycznego.<sup>15</sup>

### Abemacyklib 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 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

<sup>15</sup> <https://www.gov.pl/web/zdrowie/obwieszczenie-ministra-zdrowia-z-dnia--20-pazdziernika-2022-r-w-sprawie-wykazu-refundowanych-lekow-srodkow-spozywczych-specjalnego-przeznaczenia-zywniowego-oraz-wyrobow-medycznych-na-1-listopada-2022-r>

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 szczególnie 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.<sup>16</sup> Abemacyklub 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 abemacyklubu w skojarzeniu z inhibitorami aromatazy we wskazaniu: „Leczenie raka piersi”.<sup>17</sup> 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.<sup>18</sup>

## Nowe formy trastuzumabu, jako wyjście naprzeciw optymalizacji opieki zdrowotnej i jakości życia pacjenta

Trastuzumab to produkt leczniczy, który spektakularnie zmienił sposób leczenia agresywnej postaci HER2-dodatniego raka piersi pacjentek na całym świecie, poprawiając istotnie wyniki leczenia i podnosząc jakość życia chorych na raka piersi. Udostępniona w 2016 roku nowa, innowacyjna forma podania leku jest preferowana przez pacjentki. Terapia w formie podskórnej poprawia komfort leczenia, skraca czas podania leku, a także umożliwia aktywność zawodową oraz społeczną chorych, co wpływa bezpośrednio na jakość ich życia. Krótszy czas podania leku przekłada się także na skrócenie kolejek w oczekiwaniu na leczenie onkologiczne. Wprowadzenie trastuzumabu do praktyki klinicznej stanowiło przełom w leczeniu chorych na HER2-dodatniego raka piersi. W licznych badaniach klinicznych wykazano jego skuteczność u chorych na wczesnego, miejscowo zaawansowanego i przerzutowego raka piersi. Niedawno opracowano bardziej wygodną do podawania formę podskórną (s.c.) tego leku. Na podstawie wyników badania HannaH, w którym porównano postać dożylną (i.v.) z s.c., European Medicines Agency zarejestrowała formę s.c. trastuzumabu. W badaniu wykazano, że odsetek patologicznych odpowiedzi całkowitych, a także minimalne stężenie leku przed 8. cyklem terapii nie były gorsze w przypadku stosowania trastuzumabu s.c. w porównaniu z formą i.v. Ostatnio przedstawiono wyniki badania HannaH dotyczące skuteczności terapii po medianie czasu obserwacji wynoszącej 40 miesięcy. Odsetki chorych bez niekorzystnych zdarzeń (nawrotu, progresji lub zgonu z każdej przyczyny) po 3 latach były porównywalne w obu ramionach badania (76% trastuzumab s.c. vs. 73% trastuzumab we wlewie i.v.). Z kolei w badaniu PrefHer zdecydowana większość chorych oraz przedstawiciele personelu medycznego preferowała postać s.c. leku. Reakcje związane z podaniem leku wystąpiły tylko u chorych stosujących formę s.c., niemniej ich nasilenie było niewielkie. Obecnie trwa duże badanie SafeHer oceniające bezpieczeństwo i tolerancję trastuzumabu s.c. Wstępne wyniki tego badania potwierdzają dotychczasowe doniesienia i bezpieczeństwo terapii. Dodatkowo stosowanie formy s.c. skraca czas podawania leku i pobytu chorych w przychodni, zmniejsza ryzyko błędów w dawkowaniu leku dzięki zastosowaniu stałej dawki i stwarza możliwość wykonywania innych obowiązków w ramach istniejących zasobów personelu medycznego.<sup>19</sup> Trastuzumab, który jest stosowany od ok. 20 lat, początkowo był podawany dożylnie pacjentkom z rozsiałym rakiem piersi. Po wielu latach jest możliwość

<sup>16</sup> <https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/h1307.htm>

<sup>17</sup> [https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia\\_mz/2019/193/REK/rp\\_102\\_2019\\_verzenio\\_nsai\\_mkp\\_zaczerniona.pdf](https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2019/193/REK/rp_102_2019_verzenio_nsai_mkp_zaczerniona.pdf)

<sup>18</sup> <https://www.mzdrowie.pl/wp-content/uploads/2020/08/raport-onkologia-0826.pdf>

<sup>19</sup> Katarzyna Pogoda, Anna Niwińska. Trastuzumab podawany podskórnie — najnowsze doniesienia dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa leczenia chorych na HER2-dodatniego raka piersi. *Onkologia w Praktyce Klinicznej* 2015, tom 11, nr 2, 93–99 Copyright © 2015 Via Medica ISSN 1734–3542 [www.opk.viamedica.pl](http://www.opk.viamedica.pl)



stosowania nowej formy tego leku – podskórnej. Szczególnie w dobie pandemii jest to spore udogodnienie zarówno dla personelu medycznego, jak i dla pacjentek. Przede wszystkim jest to jedna dawka, nieprzeliczana na kilogram, co zmniejsza ryzyko błędu w dawkowaniu. Lek w formie podskórnej podaje się tylko przez 5 minut, co 3 tygodnie w trybie ambulatoryjnym, podczas gdy podanie dożylnie zajmuje 30 minut. W przypadku choroby rozianej, której leczenie staje się już dziś leczeniem przewlekłym, oznacza to dla pacjentki ogromny komfort. Jeśli jej choroba jest w trakcie stabilizacji, może ona wrócić do aktywności zawodowej. Forma podskórna leku jest przyjazna zarówno dla pacjentek, jak i dla systemu opieki zdrowotnej. Preparat dożylny musi być przygotowany w aptece szpitalnej, co wymaga zaangażowania farmaceuty, a później przy podaniu leku pielęgniarki. Mając postać podskórną, można dużo lepiej zorganizować opiekę. To jest zasadnicza różnica między oboma formami leku. Pacjentka może obecnie w inny sposób myśleć o swojej chorobie. Często dostaje od pracodawcy zgodę, żeby wyjść na zastrzyk i po kilku godzinach wraca do pracy. To są rewolucje, które pozwalają jej myśleć, że rak piersi to nie jest wyrok, że można przejść przez chorobę, normalnie funkcjonując.<sup>20</sup>

Trastuzumab emtanzyna jest koniugatem przeciwciała z lekiem, który zawiera trastuzumab, humanizowane przeciwciało monoklonalne IgG1 wytwarzane w hodowli zawiesiny komórek ssaczy (komórki jajnika chomika chińskiego), związane kowalencyjnie z DM1, inhibitorem mikrotubul, poprzez stabilny łącznik tioeterowy MCC (4-[N-maleimidometylo] cykloheksano-1-karboksylan). Produkt leczniczy trastuzumab emtanzyna, stosowany w monoterapii, jest wskazany w leczeniu dorosłych pacjentów z HER2-dodatnim, nieoperacyjnym miejscowo zaawansowanym lub przerzutowym rakiem piersi, poddanych wcześniej terapii trastuzumabem i taksoidem, w połączeniu lub oddzielnie. Są to pacjenci: po wcześniejszym leczeniu z powodu miejscowo zaawansowanej lub uogólnionej postaci choroby lub u których wystąpił nawrót choroby w trakcie lub przed upływem sześciu miesięcy od zakończenia leczenia uzupełniającego.

### Dostarlimab w terapii raka endometrium (trzonu macicy)

Rak trzonu macicy to najczęstszy nowotwór narządu rodnych kobiet w Polsce: szósty pod względem częstości zachorowań u kobiet nowotwór na świecie, a czwarty w krajach wysoko rozwiniętych. W Polsce notuje się ok. 6 tys. nowych zachorowań rocznie, co oznacza, że dziennie 16 kobiet dowiaduje się, że ma ten typ nowotworu. Liczba zachorowań rośnie, co jest związane z procesami demograficznymi, w tym starzeniem się populacji i spadkiem dzietności. Rak endometrium zwykle rozwija się u kobiet powyżej 45. roku życia, głównie po menopauzie. Rokowania są zazwyczaj dobre, ponieważ najczęściej choroba zostaje zdiagnozowana we wczesnych stadiach, gdyż pierwsze objawy są bardzo charakterystyczne: nieprawidłowe krwawienia z dróg rodnych. Skłania to kobietę do szybkiego zgłoszenia się do lekarza. Niestety, w ok. 10–15 proc. przypadków następuje wznowa, a u ok. 10–15 proc. pacjentek jest on wykrywany już w formie zaawansowanej. Te przypadki są trudne do leczenia: 5-letnie przeżycia nie przekraczają 19–20 proc. Wymaga to nowego podejścia do terapii. Nadziej na leczenie trudnych przypadków okazało się wykrycie w tych guzach defektu genów naprawy niedopasowań (dMMR) i niestabilności mikrosatelitarnej (MSI). – Okazuje się, że aż 30 proc. raków endometrium ma cechy niestabilności mikrosatelitarnej. W UE i USA rekomendowane jest wykonywanie badań w kierunku niestabilności mikrosatelitarnej u wszystkich chorych z rakiem endometrium. Leczeniem z wyboru dla tych chorych jest immunoterapia, a przede wszystkim tzw. inhibitory punktów kontrolnych. To leki, które odwracają hamowanie odpowiedzi immunologicznej. Pozwalają układowi immunologicznemu znów „zobaczyć” komórkę nowotworową i ją zwalczać. Nie daje się on już „oszukać” nowotworowi. U chorych z rakiem endometrium takim lekiem zarejestrowanym w Polsce jest dostarlimab. W badaniu GARNET prowadzonym u pacjentek z rakiem endometrium z cechami niestabilności mikrosatelitarnej aż 42 proc. chorych z nawrotami choroby lub zaawansowanym nowotworem uzyskało odpowiedź na leczenie, a u 58 proc. uzyskano kontrolę choroby. Wyniki tego badania

<sup>20</sup> Innowacyjne leczenie raka piersi. Termedia <https://www.termedia.pl/mz/Innowacyjne-leczenie-raka-piersi-45722.html>

są jednoznacznie pozytywne, a lek jest bardzo dobrze tolerowany.<sup>21</sup> Dostarlimab to pierwsze przeciwciało anti-PD-1 dopuszczone w kwietniu 2021 r. przez Komisję Europejską do stosowania w leczeniu nawrotowego lub zaawansowanego raka endometrium u kobiet, które wcześniej były leczone nieskutecznie.<sup>22</sup> Niestabilność mikrosatelitarna powoduje oporność na chemioterapię, za to wrażliwość na leki immunologiczne (inhibitory punktów kontrolnych). To leczenie jest skuteczne u kobiet, których guzy mają właśnie tę cechę.

## Choroby rzadkie

### Trientyna w leczeniu choroby Wilsona

Choroba Wilsona jest rzadką chorobą genetyczną, która polega na nadmiernym gromadzeniu się miedzi w organizmie. Miedź, w nieco większych ilościach niż potrzebuje organizm do prawidłowego funkcjonowania, dostaje się do naszego organizmu z pożywieniem, które jemy. U zdrowych osób wątroba przetwarza niezbędną ilość miedzi, a jej nadmiar wydalą do żółci, która jest następnie usuwana z organizmu wraz z kałem. Organizm osoby dotkniętej chorobą Wilsona nie jest w stanie skutecznie transportować miedzi w organizmie ani usuwać nadmiaru miedzi. Dochodzi do stopniowej w czasie akumulacji miedzi z diety, ponieważ bez skutecznego leczenia miedź odkłada się w tkankach organizmu, w tym w wątrobie i ośrodkowym układzie nerwowym. Choroba Wilsona jest autosomalnym recesywnym zaburzeniem genetycznym, co oznacza, że aby zachorować trzeba odziedziczyć dwa zmutowane geny, po jednym od każdego rodzica. Osoba dziedzicząca tylko jedną mutację od tylko jednego rodzica jest nosicielem choroby, bezobjawowym. Istnieje wiele różnych mutacji związanych z rozwojem choroby Wilsona, ale wszystkie wpływają na gen na chromosomie 13, który koduje białko ATP7B. Białko ATP7B jest odpowiedzialne za zapewnienie bezpiecznego transportu miedzi w tkankach, a także za usuwanie nadmiaru miedzi z organizmu. Szacuje się że w populacji światowej 1 osoba na 30 000 ma mutację genetyczną, która wpływa na mechanizmy transportu miedzi powodujące chorobę Wilsona. Jest rozpoznawana zwykle pomiędzy 5. a 35. rokiem życia. Młodsze osoby mogą nie wykazywać żadnych objawów, podczas gdy osoby starsze częściej mają problemy neurologiczne, a także zaburzenia czynności wątroby. Coraz powszechniejsze staje się zdiagnozowanie choroby za pomocą badań przesiewowych, zwłaszcza jeśli w rodzinie występuje choroba Wilsona.

Zazwyczaj najpierw atakowana jest wątroba. Jeśli choroba Wilsona nie zostanie zdiagnozowana i leczona, miedź może gromadzić się i uszkadzać także inne narządy w organizmie. Np. niektórzy pacjenci będą mieli problemy z układem nerwowym bez widocznych objawów uszkodzenia wątroby, u innych pacjentów choroba Wilsona może przebiegać bezobjawowo, ze stosunkowo niewielkimi nieprawidłowościami biochemicznymi, a u jeszcze innych mogą być wyraźne objawy przewlekłego i/lub ciężkiego uszkodzenia wątroby, np.: osłabienie, uczucie zmęczenia, utrata apetytu, mdłości, wymioty, swędzenie, utrata masy ciała, skurcze mięśni, ból i wzdęcia spowodowane płynem gromadzącym się w jamie brzusznej, obrzęki (zwykle nóg, stóp lub kostek, a rzadziej rąk lub twarzy), pajęczki naczyniowe, żółtaczka. Możliwe wyniki lekarskich badań diagnostycznych: wysoka aktywność aminotransferaz w surowicy (transaminaza asparaginowa, transaminaza alaninowa), hepatomegalia (powiększenie wątroby), splenomegalia (powiększenie śledziony), stłuszczenie wątroby, ostre zapalenie wątroby, które może wywołać gorączkę i żółtaczkę (zażółcenie skóry i oczu), objawy autoimmunologicznego zapalenia wątroby, marskość wątroby, ostra niewydolność wątroby. Nagromadzenie miedzi w układzie nerwowym może prowadzić do utraty zdolności układu nerwowego do kontrolowania mięśni, w wyniku czego pacjenci

<sup>21</sup> <https://jamanetwork.com/journals/jamaoncology/fullarticle/2771011>

<sup>22</sup> <https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/h1538.htm>

wykonywują nieprawidłowe, mimowolne ruchy. Mogą również pojawić się problemy natury psychicznej, takie jak zmiany w zachowaniu, osobowości, a u dzieci nieoczekiwane pogorszenie wyników w nauce. Chociaż zwykle jako pierwsze występują objawy ze strony wątroby u części chorych dominują problemy z układem nerwowym bez wyraźnych objawów wątrobowych. Objawy neurologiczne mogą obejmować: drżenie lub niekontrolowane ruchy, problemy z koordynacją ruchową, sztywność mięśni, problemy z mową, ślinienie się lub trudności w połykaniu, migreny, problemy ze snem, napady padaczkowe. Zmieniona funkcja mózgu spowodowana nadmiarem miedzi w ośrodkowym układzie nerwowym może również prowadzić do zmian nastroju lub zachowania. Możliwe objawy: zmiany osobowości, depresja, lęk lub nadmierna nerwowość, psychoza, czyli utrata kontaktu z rzeczywistością. Nagromadzenie miedzi w organizmie może również skutkować następującymi objawami: pierścienie Kaysera-Fleischera – rdzawobrązowe pierścienie wokół krawędzi tęczówki (kolorowa część oka) oraz na brzegu rogówki. Są one prawie zawsze obecne u osób z neurologicznymi objawami choroby Wilsona, ale ma je tylko około 40%-66% osób z objawami wątroby. Anemia – organizm ma mniej czerwonych krwinek niż normalnie, co zmniejsza ilość tlenu docierającego do komórek organizmu. Artretyzm – ból lub obrzęk w jednym, lub więcej stawach. Wysoki poziom aminokwasów, białka, kwasu moczowego i węglowodanów w moczu. Niska liczba płytek krwi lub białych krwinek. Osteoporoza – kości stają się mniej gęste i bardziej podatne na złamania. Zaćma słonecznikowa – zmętnienie w kształcie słonecznika nad soczewką oka, które zwykle nie przeszkadza w widzeniu. Lunule cerueae – niebieski kolor pojawiający się u nasady paznokci. Problemy sercowe. Problemy z trzustką. Zmniejszona czynność tarczycy. Zaburzenia miesiączkowania (nieregularne miesiączki), niepłodność i mnogie poronienia. W diagnostyce choroby Wilsona należy brać pod uwagę objawy choroby, wyniki badania lekarskiego i testów laboratoryjnych. Niektóre objawy, takie jak pierścienie Kaysera-Fleischera wystarczą do postawienia diagnozy, gdy występują razem z zaburzeniami wątroby i objawami neurologicznymi. Zwykle jednak potrzebne są badania krwi i ewentualnie biopsji wątroby w celu potwierdzenia diagnozy. Testy genetyczne pod kątem mutacji ATP7B są pomocne w diagnozowaniu choroby Wilsona i często są wykorzystywane do identyfikacji członków rodziny, którzy mogą mieć chorobę Wilsona pomimo braku jakichkolwiek objawów lub mogą być nosicielami choroby Wilsona.

W farmakoterapii choroby Wilsona stosowane są środki chelatujące i cynk. Leki chelatujące (trientyna lub d-penicylamina) usuwają miedź z tkanek, narządów i krwiobiegu poprzez ścisłe wiązanie się z miedzią. Kompleks miedź-chelator jest następnie usuwany z organizmu z moczem. Natomiast cynk blokuje wchłanianie miedzi z pokarmu w przewodzie pokarmowym ale nie pomaga usunąć nadmiaru miedzi, jeśli już została wchłonięta. Leczenie prowadzi się przez całe życie. O wyborze terapii decyduje lekarz i należy stosować się do jego zaleceń. Miedź dostaje się do organizmu poprzez żywność, którą jemy i wodę, którą pijemy, co jest ważne, ponieważ nasz organizm potrzebuje miedzi do funkcjonowania. Jednakże, gdy organizm pacjentów nie może pozbyć się nadmiaru miedzi, ważne jest, aby unikać pokarmów o wysokiej zawartości miedzi, takich jak skorupiaki, orzechy, czekolada, grzyby, podroby (wątróbka, flaczki). Osoby z chorobą Wilsona powinny również unikać używania miedzianych pojemników do gotowania, podawania lub przechowywania żywności. Nawet woda z kranu, która przepływa przez miedziane rury lub pochodzi ze studni, może zawierać więcej miedzi. Należy uważać na suplementy diety lub preparaty ziołowe i upewnić się, że nie będą wchodzić w interakcje z lekami lub nie pogorszą problemów z wątrobą. Przed przyjęciem multiwitaminy warto porozmawiać z lekarzem, aby zalecił takie, które nie zawiera miedzi. Suplementy mineralne mogą blokować wchłanianie leków chelatujących stosowanych w leczeniu choroby Wilsona. Na przykład, stosując suplementy żelaza (np. z powodu anemii przy zbyt niskim poziomie żelaza) suplement musi być przyjmowany oddzielnie od leku chelatującego. Warto zapoznać się z informacjami dołączonymi do wszystkich leków i postępować zgodnie z zaleceniami lekarza, aby uniknąć potencjalnych, szkodliwych interakcji. Kobiety z chorobą Wilsona, które są w ciąży lub planują zająć w ciążę, przed przepisaniem witamin prenatalnych powinny poprosić położnika o skonsultowanie się ze specjalistą choroby Wilsona.

Choroba Wilsona (WD) jest śmiertelna i prowadzi do przedwczesnego zgonu, jeśli nie jest skutecznie leczona. Po zdiagnozowaniu i wprowadzeniu leczenia osoby z dobrze prowadzoną chorobą Wilsona mogą spodziewać się normalnej długości życia. Im wcześniej zostanie postawiona diagnoza i wprowadzone leczenie tym lepiej. W Polsce leczenie choroby Wilsona bardzo często rozpoczyna się od cynku, który zmniejsza wchłanianie miedzi z jelit, ale nie pomaga usuwać z organizmu nadmiar miedzi, która jest w organizmie. Takie postępowanie jest bardzo odmienne od ogólnościwiatowych i europejskich trendów, gdzie pacjenci najczęściej w pierwszej kolejności otrzymują leki chelatujące (czyli pomagające usunąć miedź z organizmu dpenicylamina i trientylna), bo tak też mówią zalecenia i wytyczne. Tu Polska wyróżnia się na tle światowym. Ośrodki kliniczne stosują leki najtańsze, które ich najmniej obciążą finansowo. W przypadku chorób rzadkich częstą praktyką jest tworzenie ośrodków referencyjnych, w których pod opieką jest większość pacjentów (np. w Polsce są to CZD, IPIN). Taki ośrodek ma duże doświadczenie w danej chorobie (i dzięki temu że pacjentów jest więcej, może prowadzić badania kliniczne). W Polsce z niewiadomych przyczyn zbyt rzadko stwierdza się nietolerancję pierwszej linii leczenia (depenicylamina lub cynkiem). W innych krajach znacznie częściej sięga się po trientynę, gdy depenicylamina okazuje się zbyt toksyczna i źle tolerowana. W Polsce, jak dotąd pacjenci z chorobą Wilsona zwykle trafiali do dwóch ośrodków - dzieci do Centrum Zdrowia Dziecka, a dorośli do Instytutu Psychiatrii i Neurologii, co z pozoru mogłoby wydawać się bardzo dobrym rozwiązaniem. Wątpliwości budzi fakt, że dorosłymi pacjentami z chorobą, która dotyka różnych narządów, a głównie wątroby, zajmują się neurologi, a nie hepatolodzy czy gastroenterolodzy. W przypadku pacjenta z zaburzeniami wątroby bez objawów neurologicznych (albo występującymi razem z objawami wątrobowymi i neurologicznymi) uzasadniona byłaby stała opieka hepatologa lub gastroenterologa, dla których wątroba jest w centrum zainteresowania (i tylko dodatkowo konsultacje u neurologa). Od września 2021 r. trientylna jest refundowana w ramach programu lekowego pt. Leczenie pacjentów z chorobą Wilsona (ICD-10: E83.0), we wskazaniu: terapia choroby Wilsona po stwierdzonej nietolerancji leczenia D-penicylamina i siarczanem cynku u pacjentów powyżej 5 roku życia. Oddziały gastroenterologiczne i hepatologiczne w Polsce, które zajmują się chorobą Wilsona to m. in.: Oddział Kliniczny Gastroenterologii Ogólnej i Onkologicznej Uniwersyteckiego Szpitala Klinicznego im. Norberta Barlickiego w Łodzi; Klinika Gastroenterologii i Hepatologii Uniwersyteckiego Szpitala Klinicznego im. Jana Mikulicza-Radeckiego we Wrocławiu, Klinika Gastroenterologii i Hepatologii Śląskiego Uniwersytetu Medycznego w Katowicach; Oddział Kliniczny Gastroenterologii i Hepatologii Szpitala Uniwersyteckiego w Krakowie oraz Klinika Hepatologii i Chorób Wewnętrznych Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego, Oddział Pediatrii Szpitala św. Wojciecha w Gdańsku.

W chorobie Wilsona w Polsce istnieje potrzeba opracowania i wdrożenia ścieżki diagnostyczno-terapeutycznej. Pozwoli to na szybszą diagnozę i wdrożenie optymalnego dla pacjenta leczenia, co przełoży się na lepsze rokowania, a co za tym idzie większe szanse na samodzielne życie chorego oraz monitorowanie leczenia. Ścieżki diagnostyczno-terapeutyczne, znane są również, jako ścieżki opieki, ścieżki opieki zintegrowanej, ścieżki opieki klinicznej lub mapy opieki/zdrowotne, są wykorzystywane do systematycznego planowania i opieki skoncentrowanej na pacjencie. Ścieżka opieki jest złożoną interwencją mającą na celu wspólne podejmowanie decyzji i organizację procesów opieki nad ściśle określoną grupą pacjentów w ściśle określonym czasie. Definiowanie cech ścieżek opieki obejmuje m.in.: wyraźne określenie celów i kluczowych elementów opieki; koordynacja procesu opieki poprzez koordynację ról wielodyscyplinarnego zespołu opiekuńczego, pacjentów i ich bliskich; dokumentowanie, monitorowanie oraz określenie odpowiednich zasobów. Celem jest poprawa jakości opieki w całym kontinuum poprzez (...)

promowanie bezpieczeństwa pacjentów, zwiększanie zadowolenia pacjentów i optymalizację wykorzystania zasobów”.<sup>23</sup>

## Cukrzyca

### Semaglutyd w terapii cukrzycy typu 2

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/m<sup>2</sup> oraz bardzo wysokim ryzykiem sercowo-naczyniowym rozumianym jako: 1)potwierdzona choroba sercowo-naczyniowa, lub 2)uszkodzenie innych narządów objawiające się poprzez: białkomocz lub przerost lewej komory lub retinopatię, lub 3)obecność 2 lub więcej głównych czynników ryzyka spośród wymienionych poniżej: -wiek  $\geq$  55 lat dla mężczyzn,  $\geq$ 60 lat dla kobiet, -dyslipidemia, -nadciśnienie tętnicze, -palenie tytoniu).”

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 niedokrwienną serca, obturacyjny bezdech senny, chorobę zwyrodnieniową stawów,

---

<sup>23</sup> Vanhaecht, K., De Witte, K. Sermeus, W. (2007). Wpływ ścieżek klinicznych na organizację procesów opieki. Rozprawa doktorska KULeuven, 154pp, Katholieke Universiteit Leuven.  
<https://e-p-a.org/care-pathways/>

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.

## **Działania propagujące zdrowe nawyki żywieniowe w szkołach**

### **Krajowy Ośrodek Wsparcia Rolnictwa**

Krajowy Ośrodek Wsparcia Rolnictwa (KOWR) powstał 1 września 2017 r. z połączenia Agencji Nieruchomości Rolnych (ANR) i Agencji Rynku Rolnego (ARR). Przejął on ich zadania, które wpisują się w politykę rolną Ministerstwa Rolnictwa i Rozwoju Wsi. Zadania te zostały ściśle określone w ustawie z dnia 10 lutego 2017 roku o Krajowym Ośrodku Wsparcia Rolnictwa (Dz. U. 2017 poz. 623). Głównym celem realizowanym przez KOWR jest wspieranie polskiego rolnictwa w bardzo wielu obszarach. Obejmuje ono m.in.: gospodarowanie Zasobem Własności Rolnej Skarbu Państwa, realizację zadań wynikających z ustawy o kształtowaniu ustroju rolnego, nadzór właścicielski nad spółkami o szczególnym znaczeniu dla gospodarki narodowej, restrukturyzację działań innowacyjnych i rozwojowych w sektorze rolno-spożywczym, działania w zakresie odnawialnych źródeł energii, promocję produktów rolno-spożywczych w kraju i za granicą, wspieranie konsumpcji i propagowanie zdrowych nawyków żywieniowych, działania interwencyjne w celu stabilizacji rynków rolnych, monitorowanie rynków rolnych i działania kontrolujące procesy produkcji oraz przetwórstwa, analizy rynkowe i transfer wiedzy.

### **„Program dla szkół”**

„Program dla szkół” to unijny projekt koordynowany przez Krajowy Ośrodek Wsparcia Rolnictwa, w ramach którego uczniowie klas I-V szkół podstawowych i ogólnokształcących szkół muzycznych I stopnia oraz klas I-II ogólnokształcących szkół baletowych otrzymują owoce, warzywa oraz mleko i przetwory mleczne. Głównym celem Programu jest zmiana nawyków żywieniowych dzieci poprzez zwiększenie udziału produktów mlecznych i owocowo-warzywnych w ich codziennej diecie. Dzieci uczestniczące w „Programie dla szkół” w trakcie wybranych tygodni roku szkolnego otrzymują bezpłatnie co najmniej 2 razy w tygodniu: świeże owoce i warzywa (przygotowane do bezpośredniego spożycia), mleko i produkty mleczne.



Asortyment produktów jest szeroki. Dzieci mogą otrzymać jabłka, gruszki, śliwki, truskawki, soki, marchewki, rzodkiewki, paprykę słodką, kalarepę, pomidorki, a także mleko białe, serki twarogowe, jogurty i kefiry naturalne. Program obejmuje również działania o charakterze edukacyjnym i promocyjnym, które realizują szkoły. W II semestrze roku szkolnego 2022/2023 w „Programie dla szkół” uczestniczy: w komponencie owocowo-warzywnym - 11 561 szkół podstawowych, w których owoce i warzywa otrzymuje ok. 1,721 mln dzieci z klas I–V, w komponencie mlecznym - 11 738 szkół podstawowych, w których mleko i produkty mleczne otrzymuje ok. 1,718 mln dzieci z klas I–V.

**Plebiscyt MUZYCZNE WYZWANIA CHRUMASA** - jedno z działań promujących „Program dla szkół”. Plebiscyt jest skierowany do uczniów szkół podstawowych biorących udział w Programie. W plebiscycie dzieci prezentują swój talent wokalny i instrumentalny, a także razem z Chrumasem promują zdrowe nawyki żywieniowe wśród dzieci w całej Polsce. Zasady są proste: uczestnicy przygotowali własny utwór słowno-muzyczny w dowolnym gatunku muzycznym, złożony z dwóch zwrotek i dwa razy zaśpiewanego refrenu. Piosenka miała zawierać treści promujące zdrowe nawyki żywieniowe wśród dzieci (nie tylko w szkole), nazwę „Program dla szkół”, hasło „Szkolna przerwa śniadaniowa, mleczna, z warzyw, owocowa”. Należało w niej wykorzystać przynajmniej po jednej nazwie owocu, warzywa i produktu mlecznego (owoce: jabłka, gruszki, śliwki, truskawki, soki owocowe; warzywa: marchewki, rzodkiewki, papryka słodka, pomidory, kalarepa; produkty mleczne: mleko białe, jogurt naturalny, kefir naturalny, serek twarogowy). Można było wykorzystać także inne nazwy owoców, warzyw i produktów mlecznych, pod warunkiem że pochodzą z Polski. W pierwszym etapie plebiscytu ze wszystkich nadesłanych elektronicznie utworów jury wybrało 12 najlepszych, które zostały zamieszczone na stronie internetowej [wyzwaniechrumasa.tvp.pl](http://wyzwaniechrumasa.tvp.pl). Etap II – w głosowaniu internetowym zostało wybranych 6 utworów z największą liczbą głosów. Wszyscy laureaci II etapu plebiscytu w ramach nagrody byli zaproszeni do nagrania profesjonalnych teledysków do swojego utworu w studio TVP, które następnie będą emitowane w TVP2 i TVP ABC od 18 maja. Spośród tych uczestników w głosowaniu internetowym zostanie wyłoniony zwycięzca. Ogłoszenie wyniku plebiscytu nastąpi 7 czerwca br.

## Urologia

### Refundacja jednorazowych cewników urologicznych hydrofilowych - zniesienie dopłaty dla pacjentów od 18-26 r.ż. oraz obniżenie dopłaty do 10% dla pacjentów dorosłych

Najczęstszą przyczyną pęcherza neurogennego u dzieci jest rozszczep kręgosłupa (spina bifida) – 98 % przyczyn. Rozszczep kręgosłupa to choroba rzadka. Problemy urologiczne są największym wyzwaniem w opiece nad pacjentem z rozszczepem kręgosłupa. W tym względzie wyprzedzają one problemy ortopedyczne (tzn. niemożność chodzenia, a przez to konieczność poruszania się na wózku lub o kulach) Celem właściwego cewnikowania przerywanego u pacjentów z pęcherzem neurogennym jest zmniejszenie śmiertelności z powodu niewydolności nerek (jeszcze w latach 80-tych połowa dzieci z rozszczepem umierała przed 18 rokiem życia). Jeżeli chcemy zmniejszyć śmiertelność pacjent musi się cewnikować zgodnie z wytycznymi klinicznymi czyli zachować compliance. Aby zachować compliance musimy mieć dostęp do różnych rodzajów cewników. Chory może się cewnikować przerywanie używając różnych rodzajów cewników: Cewniki hydrofilowe (cewniki hydrofilowe gotowe do użycia, cewniki hydrofilowe wymagające aktywacji wodą) oraz cewniki niepowlekane (suche) z jednorazowym żelem sterylnym. Korzyści z stosowania cewników hydrofilowych, to zwiększenie compliance pacjenta (im większy compliance, tym mniejsze ryzyko śmiertelności z powodu niewydolności nerek). Zmniejszenie ryzyka wystąpienia zakażeń układu moczowego (ZUM), urazów cewki moczowej i innych komplikacji medycznych. Poprawa jakości życia

i preferowanie ich przez pacjentów - dużo łatwiejsze w użyciu (w stosunku do cewników suchych), co ma szczególne znaczenie dla dzieci w przedszkolu i szkole. Powrót do aktywności zawodowej rodziców/opiekunów dzieci, którzy obecnie muszą cewnikować dzieci w szkole cewnikami suchymi (lepszy compliance i kontynuacja samocewnikowania po 12 miesiącach (99% vs 83 %)). Zgodnie z aktualnymi wytycznymi Europejskiego Towarzystwa Urologicznego (EAU, ang. European Association of Urology) oraz Europejskiego Towarzystwa Pielęgniarek Urologicznych (EAUN, ang. European Association of Urology Nurses) dotyczącymi cewnikowania, nie jest wskazane stosowanie cewników bez powłoki hydrofilowej, dlatego, że ich używanie zwiększa ryzyko urazu w obrębie cewki moczowej, a także prawdopodobieństwo wystąpienia zakażenia układu moczowego. Również wytyczne PTU (Polskie Towarzystwo Urologiczne) zalecają stosowanie cewników hydrofilowych.

Według obecnego Rozporządzenia Ministra Zdrowia w sprawie wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie wysokość udziału własnego świadczeniobiorcy w limicie finansowania ze środków publicznych dla jednorazowych cewników urologicznych (hydrofilowych lub niepowlekanych) wynosi 0% dla pacjentów do 18 roku życia i 20% powyżej 18 roku życia. **Wnioskowane jest zniesienie dopłaty pacjenta od młodzieży między 18-26 rokiem życia (czyli 0% dopłaty pacjenta) do jednorazowych cewników urologicznych (hydrofilowych lub niepowlekanych).** Status materialny młodzieży używającej jednorazowych cewników urologicznych (najczęściej są to dzieci które urodziły się z rozszczepem kręgosłupa, czyli mają niepełnosprawności wynikające z wrodzonej wady rozwojowej), nie zmienia się po przekroczeniu 18 roku życia, te osoby nadal się uczą, zwykle jeszcze nie pracują i są na utrzymaniu rodziców. Z perspektywy sytuacji w perspektywie włączenia społecznego, w okresie po 18 r.ż. gdy kończy się okres nauki, wiążący się ze stosunkowo dobrym wsparciem w środowisku szkolnym, brak dostępu do dobrej jakości i funkcjonalnych w użyciu cewników, w sposób znaczący obniża szansę na tranzycie na rynek pracy oraz podejmowanie innych ról społecznych. Osoba niepełnosprawna może pobierać naukę do 18 roku życia - poziomie szkoły podstawowej oraz do 24 roku życia na poziomie szkoły średniej. Konieczność objęcia szczególnym wsparciem osób młodych w wieku 15 – 29 r.ż. potwierdza koncepcja generacji NEET (Not in Education, Employment or Training), do której adresowane są specjalnie dedykowane przez UE formy wsparcia, jak np. projekty finansowane ze środków EFS. Ponadto w grupie osób w wieku od 18 – 26 r.ż. znajdują się też osoby, które są w najtrudniejszej sytuacji finansowej jeśli chodzi o system świadczeń z tytułu niepełnosprawności. W sytuacji gdy nabycie niepełnosprawności nastąpiło po 18 r.ż. lub po 24 r.ż. w przypadku osób uczących się osoby te nie mają prawa do renty socjalnej (1588,44 zł brutto/1445 zł netto), a ich opiekunowie nie otrzymują świadczenia pielęgnacyjnego w wysokości 2458 zł, nie mają też prawa do renty z tytułu niezdolności do pracy (stan na marzec 2023). Już teraz Minister Zdrowia dostrzegł w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia w sprawie wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie wyjątkowość statusu materialnego młodzieży do 26 roku życia i przyznał im ulgi finansowe na: Zestawy infuzyjne do osobistej pompy insulinowej w cukrzycy (obejmujące wkłucie, łącznik i dren) – pacjenci mogą zaopatrywać się w wyżej wymieniony sprzęt do 26 roku życia bezpłatnie, a dopiero potem obowiązuje ich 30% odpłatność; Aparat słuchowy na przewodnictwo powietrzne - pacjenci mogą zaopatrywać się w sprzęt do 26 roku życia bezpłatnie, później obowiązuje ich 30% odpłatność; Wkładka uszna wykonywana indywidualnie – wiek 26 lat określa zmianę okresu użytkowania. Zwolnienia przysługują również z odpłatności za koszty żywienia i zakwaterowania w sanatorium uzdrowiskowym - dzieciom i młodzieży do ukończenia 18 lat, a jeśli kształcą się dalej – do ukończenia 26 lat, dzieciom z niepełnosprawnością w znacznym stopniu – bez ograniczenia wieku. Zgodnie z prawem podatkowym osoby do 26 roku życia zwolnione są z podatku dochodowego od osób fizycznych. Uprawnienia do różnych innych ulg (np. w komunikacji PKP, miejskiej etc.) przysługują osobom uczącym się aż do dnia ukończenia 26 roku życia. Postulowana zmiana w sposobie refundacji dotyczyłaby ściśle zdefiniowanej i ograniczonej liczbowo populacji - młodzieży z niepełnosprawnościami z powodu rozszczepu kręgosłupa między 18 a 26 rokiem życia. Może to być maks. populacja ok. 1 tys. osób.

Zakładając, że 80% z nich przeszłoby docelowo z cewników niepowlekanych (suchych) na jednorazowe cewniki hydrofilowe - to szacowane nowe koszty refundacji wyniosłyby dla NFZ ok. 3,5 mln zł. W Ocenie Skutków Regulacji z roku 2021 w sprawie refundacji cewników hydrofilowych szacowano wydatki NFZ na ich refundację na 50 mln zł – ta kwota jest niewykorzystana, wydatki NFZ na te wyroby medyczne w okresie styczeń – październik 2022 wyniosły 13 mln zł.

Według obecnego Rozporządzenia Ministra Zdrowia w sprawie wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie wysokość udziału własnego świadczeniobiorcy w limicie finansowania ze środków publicznych dla jednorazowych cewników urologicznych (hydrofilowych lub niepowlekanych) wynosi 0% dla pacjentów do 18 roku życia i 20% powyżej 18 roku życia. **Wnioskowane jest obniżenie dopłaty do 10% dla pacjenta powyżej 26 roku życia (lub 18 roku) dla jednorazowych cewników urologicznych (hydrofilowych lub niepowlekanych).** Pacjenci to osoby z niepełnosprawnościami po urazie rdzenia kręgowego lub z rozszczepem kręgosłupa. Dostęp do odpowiednich cewników to są też kwestie godnościowe. Już teraz Minister Zdrowia dostrzegł w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia w sprawie wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie wyjątkowość statusu materialnego pewnych grup pacjentów gdzie dopłata pacjenta wynosi 10%: Ortezy kończyn dolnych wykonywane na zamówienie; Ortezy kończyn dolnych produkowane seryjnie (z wyłączeniem opasek elastycznych; Soczewka okularowa korekcyjna do dali; Soczewka kontaktowa twarda albo hybrydowa, albo miniskleralna; Aparat do leczenia obturacyjnego bezdechu sennego; Wymiennik ciepła i wilgoci HME do 35 sztuk.

## Ginekologia i położnictwo

### Małoinwazyjny test diagnostyczny EndoRNA w szybkiej diagnostyce endometriozy

Endometrioza charakteryzuje się występowaniem tkanek zbliżonych do struktur endometrium poza jamą macicy. Struktury te są nadal aktywne wydzielniczo i reagują na zmiany hormonalne zachodzące w cyklu miesięczkowym wywołując w organizmie przewlekłą reakcję zapalną. Choroba najczęściej związana jest z nawracającymi dolegliwościami bólowymi występującymi w okresie około menstruacyjnym, ale mogą być to także bóle o charakterze ciągłym, bóle w okolicy krzyżowej, bolesność przy współżyciu, oddawaniu moczu lub stolca. Dolegliwości bólowe często są bardzo silne i utrudniają codzienną aktywność. Nieleczona endometrioza może prowadzić do niepłodności. Przez złożoność objawów endometrioza jest trudna do zdiagnozowania i leczenia.

**Małoinwazyjny test diagnostyczny EndoRNA** (qRT-PCR, Diagendo) można wykonać u pacjentek z podejrzeniem endometriozy w celu potwierdzenia choroby lub u pacjentek, u których chce się wykluczyć istnienie tej patologii. EndoRNA test jest wyrobem medycznym do diagnostyki in vitro. Markerem wykorzystywanym w teście jest ekspresja genu kodującego enzym fukozylotransferazę 4 (FUT4). Fukozylotransferaza IV (FUT4) jest enzymem biorącym udział w procesie fukozytacji białek, w szczególności w biosyntezie 1,3-fukozylowanych glikanów. Wcześniejsze badania wykazały, że glikozylacja białek jest związana z wieloma procesami zarówno fizjologicznymi i patologicznymi. Wysoki poziom ekspresji genu FUT4 koreluje ze stanem klinicznym – endometriozą. Istotą testu jest ocena poziomu mRNA genu FUT4 względem poziomu mRNA genu referencyjnego GAPDH w tkankach endometrium. Wartość odniesienia stanowi poziom ekspresji genu kodującego dehydrogenazę aldehydu 3-fosfoglicerynowego (GAPDH). Jest to gen o charakterze konstytutywnym, którego ekspresja zachodzi na jednakowym poziomie, stąd jest powszechnie wykorzystywany jako tzw. gen referencyjny. Użycie w badaniu kontroli w postaci poziomu ekspresji GAPDH pozwala na uniknięcie różnic w wynikach, które mogłyby zależeć od różnego stężeniu materiału genetycznego (RNA). Badanie EndoRNA wykonywane jest metodą ilościowego RT-PCR (qRT-PCR).

Pobranie próbki następuje w gabinecie ginekologa. Próbkę endometrium powinna zostać pobrana metodą biopsji aspiracyjnej w fazie wydzielniczej cyklu menstruacyjnego. Po pobraniu próbkę należy niezwłocznie umieścić w probówce z płynem stabilizującym RNA. Materiał nie może być pobrany od kobiety w ciąży. Pozytywny wynik testu EndoRNA wskazuje na podwyższoną ekspresję genu FUT4 co koreluje z dużym prawdopodobieństwem endometriozy. Negatywny wynik testu EndoRNA wskazuje na niską ekspresję genu FUT4 co pozwala na wykluczenie endometriozy. Niejednoznaczny wynik EndoRNA - względna ekspresja genu FTU4 nie pozwala na jednoznaczne zakwalifikowanie wyniku jako pozytywny lub negatywny. W grupie pacjentek które uzyskały wynik niejednoznaczny należy dodatkowo przeanalizować dane kliniczne, w powiązaniu z wynikiem testu i w zależności od sytuacji zastosować dodatkowe procedury diagnostyczne. Przy braku objawów zaleca się powtórzyć test po 12 miesiącach.

Podsumowując, małoinwazyjny test diagnostyczny EndoRNA pozwala na uzupełnienie panelu diagnostyki endometriozy o czułą i specyficzną metodę. Obecnie stosowane markery jak CA-125 lub Bcl6 nie są specyficzne dla endometriozy. Pacjentka po małoinwazyjnym pobraniu może wrócić do codziennej aktywności. Szybki proces diagnostyczny pozwoli na szybsze rozpoczęcie terapii przez lekarza.

## Neurologia

### Okrelizumab w terapii I linii stwardnienia rozsianego

Zgodnie z szacunkami Polskiego Towarzystwa Neurologicznego, w Polsce jest zdiagnozowanych ok. 45 tys. chorych na stwardnienie rozsiane, a co roku SM diagnozuje się u ok. 2 tys. nowych pacjentów. Najczęściej chorobę diagnozuje się u osób młodych - w wieku od 20 do 40 lat. Choruje więcej kobiet - blisko 2,5 razy częściej SM dotyczy kobiet niż mężczyzn. W przypadku SM czas od diagnozy do rozpoczęcia leczenia ma ogromne znaczenie. Wprowadzenie odpowiedniego leczenia na jak najwcześniejszym etapie choroby wpływa na zahamowanie rozwoju choroby, a także opóźnia niepełnosprawność. W pierwszym okresie choroby dominują procesy zapalne, kluczowe są ich wczesne wygaszenie poprzez stosowane leczenie – to w efekcie skutkuje spowolnieniem postępu choroby i w dalszej perspektywie wpływa na sprawność ruchową pacjentów. Szacuje się, że w ciągu ok. 6-9 lat od diagnozy, około 50% chorych zacznie odczuwać wyraźną niesprawność. Dzięki nowym lekom i poprawie opieki, obecnie pacjenci z SM żyją dłużej niż kiedyś. Dziś też jest więcej możliwości indywidualizacji leczenia, a terapię SM można też dostosować do planów życiowych pacjentów (np. macierzyństwo). Można wyróżnić trzy główne postaci: rzutowo-remisyjna (RRMS), wtórnie postępująca (SPMS) oraz pierwotnie postępująca (PPSM). Postać wtórnie postępująca stwardnienia rozsianego (SPMS) jest konsekwencją postaci rzutowo-remisyjnej. W przypadku SPMS objawy nie ustępują całkowicie w okresach remisji, a jedynie stabilizują się. Rzuty lub aktywne zmiany widoczne w obrazach rezonansu magnetycznego pojawiają się z mniejszą częstotliwością, jednak postęp niepełnosprawności ruchowej połączony z wystąpieniem zaburzeń funkcji poznawczych ma charakter stały.

Obecnie w programie lekowym B.29. Leczenie chorych na stwardnienie rozsiane lekarze mają do dyspozycji 14 leków. W programie finansuje się leczenie stwardnienia rozsianego substancjami: 1) postać rzutowo - remisyjna (RRMS) w I linii leczenia: interferon beta-1a, interferon beta-1b, peginterferon beta-1a, octan glatirameru, fumaran dimetylu, teryflunomid, ozanimod, ponesimod, ofatumumab; 2) postać rzutowo - remisyjna (RRMS) w II linii leczenia: okrelizumab, fingolimod, natalizumab, alemtuzumab, kladrybina; 3) szybko rozwijająca się, ciężka postać choroby (RES RRMS): fingolimod, natalizumab, alemtuzumab, kladrybina; 4) postać pierwotnie postępująca (PPMS): okrelizumab; 5) postać wtórnie postępująca (SPMS): interferon beta-1b, siponimod. Biorąc pod uwagę, że postęp stwardnienia rozsianego, zwłaszcza niepełnosprawności ruchowej, jest zdecydowanie niższy u pacjentów leczonych bardzo aktywnie od samego początku rekomendowana jest refundacja publiczna okrelizumabu od I linii leczenia. Wytyczne Europejskiej Akademii Neurologii oraz Europejskiego Komitetu ds. Leczenia i Badań Stwardnienia Rozsianego wskazują terapię indukcyjną, czyli terapię lekami o wysokiej skuteczności, takimi jak

okrelizumab, od I linii leczenia, wtedy, kiedy dominuje faza zapalna, a nie neurozwyrodnieniowa. Okrelizumab istotnie zmniejsza ryzyko rozwinięcia niepełnosprawności, a wyniki w tym zakresie były korzystniejsze w grupie pacjentów, którzy otrzymali okrelizumab od I linii leczenia i byli nim leczeni nieprzerwanie. Wczesne rozpoczęcie terapii SM lekiem wysoko skutecznym przynosi najlepsze efekty.

## 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 rodnego 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.

**KONTAKT:**

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

Grażyna Mierzejewska-Ekspert Medycznej Racji Stanu, tel. 734437337, e-mail: [mierzejewska@greencomm.pl](mailto:mierzejewska@greencomm.pl)

**PARTNERZY/SPONSORZY:**



**PATRONAT MEDIALNY:**

