



Honorowy Patronat Ks. Kardynała Kazimierza Nycza

Zdrowie – wartość wspólna

Światowy Dzień Walki z Rakiem – Cancer Moonshot

29 stycznia 2024, godz. 11.00 – 15.30

Pałac Staszica (siedziba PAN)

Sala Okrągłego Stołu, I piętro, ul. Nowy Świat 72

Informacja prasowa

Wg WHO, zdrowie „to stan pełnego fizycznego, psychicznego i społecznego dobrostanu, a nie tylko brak choroby lub kalectwa. Korzystanie z najwyższego osiągalnego poziomu zdrowia jest jednym z podstawowych praw każdego człowieka bez względu na rasę, religię, przekonania polityczne, sytuację ekonomiczną czy społeczną”. Zdrowie wszystkich narodów ma fundamentalne znaczenie dla osiągnięcia pokoju i bezpieczeństwa i zależy od najpełniejszej współpracy jednostek i państw. Osiągnięcia każdego państwa w promocji i ochronie zdrowia mają wartość dla wszystkich. Rządy ponoszą odpowiedzialność za zdrowie swoich narodów, którą można spełnić jedynie poprzez zapewnienie odpowiednich środków zdrowotnych i socjalnych.¹

Zdrowie jest jednym z głównych priorytetów Komisji Europejskiej. Aby wesprzeć opiekę zdrowotną w państwach członkowskich Unii Europejskiej (UE), polityki i działania UE w zakresie zdrowia publicznego mają na celu: Ochronę i poprawę zdrowia obywateli; Wspieranie modernizacji systemów i infrastruktury opieki zdrowotnej; Poprawę odporności europejskich systemów opieki zdrowotnej; Wyposażenie krajów UE, aby lepiej zapobiegały przyszłym pandemiom i reagowały na nie.²

Europejskie wartości zdrowotne, to charakterystyczny zestaw przekonań dotyczących praw i obowiązków zdrowotnych, które odzwierciedlają europejską historię i tożsamość. Artykuł 6 Traktatu o Unii Europejskiej stanowi, że Unia „opiera się na zasadach wolności, demokracji, poszanowania praw człowieka i podstawowych wolności oraz państwa prawnego, które to zasady są wspólne dla państw członkowskich”. „Wspólnota Europejska ma na celu nie tylko zapewnienie dobrze funkcjonującego rynku wewnętrznego towarów, kapitału i usług, ale także wspiera sprawiedliwość społeczną i poszanowanie godności człowieka,

¹ Constitution of the World Health Organization. 1946 <https://www.who.int/about/governance/constitution>

² The value of health data and its role in Europe. 2022 <https://data.europa.eu/en/publications/datastories/value-health-data-and-its-role-europe>

dlatego też jej działania wewnętrzne i zewnętrzne powinny dążyć do wspierania tych wartości. Jest to szczególnie ważne w dziedzinie zdrowia, która jest kluczowym elementem dobrostanu jednostki i społeczeństwa. Podejście oparte na prawach człowieka ma fundamentalne znaczenie dla europejskich wartości w zakresie zdrowia: „W odniesieniu do zdrowia podejście oparte na prawach oznacza uwzględnianie norm i zasad praw człowieka w projektowaniu, wdrażaniu, monitorowaniu i ocenie polityk i programów związanych ze zdrowiem. Obejmują one godność ludzką, zwrócenie uwagi na potrzeby i prawa grup szczególnie wrażliwych oraz nacisk na zapewnienie powszechnego dostępu do systemów opieki zdrowotnej. Zasada równości i wolności od dyskryminacji ma kluczowe znaczenie, w tym dyskryminację ze względu na płeć i role płciowe”.³

Program pt. „EU4Health programme 2021-2027 – a vision for a healthier European Union” został przyjęty w odpowiedzi na pandemię COVID-19 oraz w celu wzmocnienia gotowości na wypadek kryzysu w UE. Pandemia uwydatniła kruchość krajowych systemów opieki zdrowotnej. Program EU4Health przyczyni się do sprostania długoterminowym wyzwaniom zdrowotnym poprzez stworzenie silniejszych, bardziej odpornych i łatwiej dostępnych systemów opieki zdrowotnej. Wg Komisji Europejskiej zdrowie to inwestycja, a dzięki budżetowi program EU4Health zapewnia wsparcie finansowe UE w dziedzinie zdrowia. EU4Health jest jasnym przesłaniem, że zdrowie publiczne jest dla UE priorytetem i jest jednym z głównych instrumentów wytyczających drogę do Europejskiej Unii Zdrowotnej.⁴

Komisja Europejska dąży do utworzenia Europejskiej Unii Zdrowotnej, w ramach której wszystkie kraje Unii Europejskiej (UE) mogłyby przygotowywać się na ewentualne kryzysy zdrowotne i wspólnie na nie reagować, bez problemu pozyskiwać niedrogie i innowacyjne produkty medyczne oraz wspólnie doskonalić metody zapobiegania, leczenia i opieki w przypadku chorób takich jak choroby nowotworowe. Europejska Unia Zdrowotna oznacza: lepszy poziom ochrony zdrowia naszych obywateli; większą gotowość UE i krajów członkowskich do zapobiegania ewentualnym pandemiom w przyszłości i do reagowania na nie; solidniejsze systemy opieki zdrowotnej w Europie. Najważniejsze inicjatywy w ramach Europejskiej Unii Zdrowotnej, to: gotowość na wypadek sytuacji kryzysowej; rozporządzenie w sprawie poważnych transgranicznych zagrożeń zdrowia; nowe kompetencje Europejskiego Centrum ds. Zapobiegania i Kontroli Chorób (ECDC) i Europejskiej Agencji Leków (EMA); Urząd ds. Gotowości i Reagowania na Stany Zagrożenia Zdrowia (HERA); Strategia farmaceutyczna; europejska przestrzeń danych dotyczących zdrowia; Europejski plan walki z rakiem; sprawozdanie pt. „Stan gotowości zdrowotnej 2022”; globalne bezpieczeństwo zdrowotne; Strategia pt. „Globalna strategia zdrowotna Unii Europejskiej 2022-2030”; strategia pt. „Global Gateway 2022-2027”.⁵

Wszystkie systemy opieki zdrowotnej w Unii Europejskiej znajdują się obecnie pod presją, aby mądrze i wydajnie wydawać swoje zasoby, których zaczyna brakować. W raporcie OECD pt. „Tackling Wasteful Spending on Health” z 2017 r. przedstawiono alarmujące dane dotyczące marnowanych zasobów w opiece zdrowotnej, szacowanych od 10% do nawet 34% wydatków.⁶ Należy więc wprowadzać w życie strategie zwiększania opłacalności i wydajności usług opieki zdrowotnej. Coraz częściej mówi się o koncepcji Opieki Zdrowotnej Opartej na Wartościach (ang. Value Based Health Care, VBHC), jako idei poprawy alokacji

³ European health values. <https://globalhealthurope.org/values/european-health-values/>

⁴ EU4Health programme 2021-2027 – a vision for a healthier European Union. 2021

https://health.ec.europa.eu/funding/eu4health-programme-2021-2027-vision-healthier-european-union_en

⁵ European Health Union. https://commission.europa.eu/strategy-and-policy/priorities-2019-2024/promoting-our-european-way-life/european-health-union_pl

⁶ Tackling Wasteful Spending on Health. OECD 2017 <https://www.oecd.org/health/tackling-wasteful-spending-on-health-9789264266414-en.htm>

zasobów.⁷ Opieka zdrowotna oparta na wartości, poszerza aktualnie stosowane podejście w medycynie opartej na dowodach naukowych (ang. Evidence Based Medicine, EBM) o uwzględnienie w analizie kosztów rzeczywistych korzyści dostarczanej pacjentom. Idea rozumienia wartości w opiece zdrowotnej, jako połączenia wyników z kosztami została spopularyzowana w 2006 r. przez Michaela Portera i Elizabeth Teisberg w książce „Redefining Health Care”. Wartość zaproponowana przez autorów ma wymiar ekonomiczny i definiowana jest, jako iloraz uzyskanych (istotnych z perspektywy pacjenta) wyników zdrowotnych do kosztów uzyskania takiego wyniku. Przez wyniki zdrowotne rozumie się efekty, które mają rzeczywiste znaczenie dla pacjenta, z kolei analizowane koszty odnoszą się do całkowitych wydatków w danym cyklu świadczonej opieki. Założeniem VBHC, w przeciwieństwie do tradycyjnego modelu opieki zdrowotnej, jest wynagradzanie świadczeniodawcy (szpitali i lekarzy) za uzyskanie u pacjenta określonego efektu zdrowotnego, czyli nagradzanie działań zmierzających do wyleczenia pacjentów, a nie samego leczenia.⁸

We wrześniu 2019 r. odbyła się pierwsza debata Medycznej Racji Stanu na temat wartości zdrowia pt. „Wartości w Medycynie. Czego uczy nas światowy kryzys zdrowia”.⁹ Stwierdzono, że zdrowie jest jedną z największych wartości człowieka i społeczeństwa. Kluczowe jest budowanie świadomości wartości zdrowia w polskim społeczeństwie oraz inwestycja w system ochrony zdrowia zorientowany na wartość. Bardzo ważne w budowaniu systemu ochrony zdrowia zorientowanego na wartość jest ustalanie priorytetów zdrowotnych, do których, ze względu na epidemiologię można zaliczyć: choroby sercowo-naczyniowe, nowotwory, cukrzyca, choroby układu oddechowego, cukrzyca, choroby zakaźne i choroby psychiczne. Ze względu na solidaryzm społeczny – choroby rzadkie. Ochrona zdrowia jest coraz bardziej kosztowna, a budżet na zdrowie ograniczony. Należy dążyć do takich rozwiązań, które optymalizują efekt zdrowotny (wyleczenie, złagodzenie przebiegu choroby, zapobieganie powikłaniom choroby). Model ochrony zdrowia nakierowany na wartość (ang. Value Based Healthcare, VBHC) mierzy i wybiera działania przynoszące największe efekty zdrowotne (wyniki) za racjonalne koszty, z uwzględnieniem jakości i satysfakcji pacjenta. W modelu opieki zdrowotnej nakierowanym na wartość, najważniejsze są efekty leczenia (wyniki), a nie ilość wykonanych procedur medycznych. Model płacenia za wynik powinien być wdrażany na każdym poziomie ścieżki diagnostyczno-terapeutycznej pacjenta – zarówno w szpitalnictwie, ambulatoryjnej opiece specjalistycznej i podstawowej opiece zdrowotnej. Cztery lata po pierwszej debacie, w czerwcu 2023 r. odbyła się druga debata Medycznej Racji Stanu na temat „Wartość – zdrowie”. W gronie pacjentów, klinicystów i polityków rozmawiano o zdrowiu Polaków, jako wartości wspólnej. Wg badania CBOS z grudnia 2020 r. wśród wartości, które badani wymieniali najczęściej znalazło się zdrowie, które spontanicznie – jako najważniejsze w życiu – wymieniło 47 proc. respondentów. Na drugim miejscu znalazła się rodzina, którą wskazało 39 proc. ankietowanych. Warto przypomnieć, że w badaniu zrealizowanym w styczniu 2019 r., respondenci najczęściej wskazywali szczęście rodzinne (80 proc.), natomiast zachowanie dobrego zdrowia znalazło się na drugim miejscu pod względem częstości wskazań, z odsetkiem 55 proc.¹⁰ Uczestnicy debaty podkreślili, że zdrowie w Polsce musi być traktowane przez rząd jako wartość narodowa, na równi z bezpieczeństwem narodowym i wzrostem gospodarczym. Stwierdzono, że w Polsce należy inwestować w zdrowie na poziomie minimum średniej UE, czyli ok. 10% PKB ogółem (środków publicznych

⁷ Defining Value In “Value-Based Healthcare”. European Union 2019 https://health.ec.europa.eu/system/files/2019-11/024_defining-value-vbhc_en_0.pdf

⁸ Value Based Healthcare. INFARMA <https://www.infarma.pl/innowacje/value-based-healthcare/>

⁹ Wartości w Medycynie. Czego uczy nas światowy kryzys zdrowia. Raport Medycznej Racji Stanu. Wrzesień 2020 r. https://medycznaracjastanu.pl/wp-content/uploads/2020/11/RAPORT-MRS_WARTOSCI-W-MEDYCYNIE-CZEGO-UCZY-NAS-SWIATOWY-KRYZYS-ZDROWIA_Wrzesien2020.pdf

¹⁰ <https://www.tvp.info/51399091/cbos-zdrowie-i-rodzina-najwazniejsze-dla-polakow>

i prywatnych). Należy również wprowadzać w życie strategię zwiększania racjonalności, opłacalności i wydajności usług opieki zdrowotnej w Polsce.¹¹

W 2016 r. opublikowano projekt „Cancer Moonshot”, którego misją było przyspieszenia tempa postępu w walce z rakiem oraz realizacja trzech ambitnych celów: przyspieszenia odkryć naukowych w zakresie onkologii, wspierania ściślejszej współpracy, oraz usprawnienia wymiany danych dotyczących raka. Od tego czasu uruchomiono ponad 250 projektów badawczych koordynowanych przez Narodowy Instytut Raka (National Cancer Institute, NCI), które osiągnęły pierwotne cele „Cancer Moonshot”, polegające na przyspieszeniu odkrywania, zwiększeniu współpracy i rozszerzeniu wymiany danych między społecznością naukową. Projekty te dostarczyły i dostarczają ważnych informacji na temat mechanizmów powstawania oraz nowych metod leczenia nowotworów, a także ich zapobiegania i wykrywania.¹² W 2022 r. w ramach „Cancer Moonshot” postawiono nowy ambitny cel: zmniejszenie śmiertelności z powodu raka o połowę w ciągu 25 lat i poprawienie jakości życia osób chorych oraz osób, które przeżyły raka. Projekt ma być realizowany poprzez: włączenie większej liczby pacjentów do rozszerzonych i zmodernizowanych badań klinicznych nad rakiem, zwiększenie liczby nowych leków przeciwnowotworowych, zapewnienie dostępu do aktualnych i nowych standardów opieki onkologicznej oraz zwiększenie różnorodności pracowników zajmujących się badaniami nad rakiem.¹³ Kolejna faza „Cancer Moonshot”, zapoczątkowana w 2022 r. podkreśla rolę, jaką sami Amerykanie mogą odegrać w tych wysiłkach poprzez zmianę stylu życia (redukcja palenia tytoniu, zdrowa dieta, ruch) oraz udział w badaniach przesiewowych.

Co roku w Unii Europejskiej (UE) można zapobiec ponad 40% zachorowaniom na raka. W 2020 r. w Unii Europejskiej u 2,7 mln osób wykryto raka, a kolejnych 1,3 mln osób, w tym ponad 2 tys. młodych ludzi zmarło na nowotwór. Jeżeli nie podejmie się zdecydowanych działań, liczba zachorowań na raka wzrośnie o 24 proc. do 2035 r., co oznacza, że stanie się on główną przyczyną zgonów w UE. Dlatego w lutym 2021 r. wprowadzono Europejski Plan Walki z Rakiem (Europe's Beating Cancer Plan).¹⁴ Celem europejskiego planu walki z rakiem jest zmniejszenie obciążenia, jakim są choroby nowotworowe dla pacjentów, ich rodzin i systemów ochrony zdrowia. Będzie on dotyczył niwelowania nierówności dotyczących chorób nowotworowych między państwami członkowskimi i w obrębie tych państw za pomocą działań służących wspieraniu, koordynowaniu i uzupełnianiu wysiłków międzypaństwowych.¹⁵ Europejski plan walki z rakiem jest wyrazem politycznego zobowiązania do zwalczania chorób nowotworowych oraz kolejnym etapem tworzenia silnej Europejskiej Unii Zdrowotnej, która zapewni UE większe bezpieczeństwo, gotowość i odporność. Europejski plan walki z rakiem otrzyma finansowanie w wysokości 4 mld euro, w tym 1,25 mld euro z przyszłego Programu UE dla zdrowia.¹⁶

W Polsce choroby nowotworowe stanowią jedną z najczęstszych przyczyn zgonów Polaków. Bez względu na liczbę nowotworów złośliwych w kraju stale wzrasta, czego przyczyną jest proces starzenia się społeczeństwa i czynniki związane ze stylem życia. W 2019 r. odnotowano 171,2 tys. zachorowań na nowotwory złośliwe (85 559 u mężczyzn i 85 659 u kobiet). Liczba zachorowań w 2020 r. została oszacowana na 182,5 tys. (91,3 tys. mężczyzn i 91,3 tys. kobiet). Według prognozy Krajowego Rejestru Nowotworów w kolejnych latach nastąpi dalszy wzrost zachorowań. Parlament Rzeczypospolitej Polskiej,

¹¹ Raport Medycznej Racji Stanu: Wartość – Zdrowie. MRS 22.06.2023 <https://medycznaracjastanu.pl/wp-content/uploads/2023/08/RAPORT-MEDYCZNEJ-RACJI-STANU-WARTOSC-%E2%80%93-ZDROWIE.pdf>

¹² <https://www.cancer.gov/research/key-initiatives/moonshot-cancer-initiative>

¹³ <https://www.cancer.gov/research/key-initiatives/moonshot-cancer-initiative/about#new-cancer-moonshot-research-goals>

¹⁴ https://health.ec.europa.eu/system/files/2022-02/eu_cancer_plan_en_0.pdf

¹⁵ https://ec.europa.eu/info/law/better-regulation/have-your-say/initiatives/12154-Europejski-plan-walki-z-rakiem_pl

¹⁶ https://commission.europa.eu/strategy-and-policy/priorities-2019-2024/promoting-our-european-way-life/european-health-union/cancer-plan-europe_pl

mając na względzie obecny i prognozowany wzrost zachorowań na choroby nowotworowe oraz wynikające z tego skutki w postaci dużej śmiertelności, poważnych konsekwencji społecznych, w tym pogorszenia jakości życia chorych i ich rodzin, oraz znacznych obciążeń finansowych związanych z leczeniem tych chorób dla obywateli i finansów publicznych, uchwalił ustawę 26 kwietnia 2019 r. o Narodowej Strategii Onkologicznej. Jednym ze wskazanych w ustawie celów Narodowej Strategii Onkologicznej jest opracowanie i wdrożenie zmian organizacyjnych, które zapewnią chorym równy dostęp do koordynowanej i kompleksowej opieki zdrowotnej w obszarze onkologii. W Strategii wskazano, że do końca 2022 r. zostanie wdrożona Krajowa Sieć Onkologiczna, ustanawiająca nowe struktury organizacji i zarządzania opieką onkologiczną. Sejm RP w dniu 26.01.2023 r. uchwalił Ustawę o Krajowej Sieci Onkologicznej. Ustawa wprowadza nowy model organizacji i zarządzania opieką onkologiczną, który usprawni organizację systemu udzielania świadczeń opieki zdrowotnej w zakresie onkologii. Podmioty wykonujące działalność leczniczą spełniające kryteria kwalifikacyjne określone w ustawie, utworzą Krajową Sieć Onkologiczną, zwaną dalej „KSO”. Ustanowienie KSO ma na celu realizację przyjętej Narodowej Strategii Onkologicznej, jak również osiągnięcie jak najlepszej organizacji opieki onkologicznej, w szczególności zapewnienie poprawy jakości i bezpieczeństwa diagnostyki i leczenia onkologicznego, a także wzrostu poziomu satysfakcji pacjenta i optymalizacji kosztów opieki onkologicznej.¹⁷ Od 2019 r. poprawia się również dostęp refundacyjny do leków przeciwnowotworowych w Polsce. Według danych Ministra Zdrowia w 2023 r. na zrefundowanych 145 nowych cząsteczko-wskazań ogółem, leki przeciwnowotworowe stanowiły połowę - 52% (75 nowych cząsteczko-wskazań). 2022 r. na zrefundowanych 115 nowych cząsteczko-wskazań ogółem leki przeciwnowotworowe stanowiły 35% (40 nowych cząsteczko-wskazań). W 2021 r. na zrefundowanych 68 nowych cząsteczko-wskazań ogółem leki przeciwnowotworowe stanowiły 47% (32 nowe cząsteczko-wskazania).¹⁸

Minister Zdrowia Izabela Leszczyna przedstawiła priorytety działania w systemie ochrony zdrowia na 2024 r. Zawarto w nich odbudowę dialogu ze środowiskiem lekarzy i pielęgniarek oraz wszystkimi interesariuszami systemu, opiekę okołoporodową, finansowanie zapłodnienia pozaustrojowego metodą *in vitro* oraz centralną rejestrację wizyt, która ma zmniejszyć kolejki pacjentów do lekarzy.¹⁹ Ministra podkreśliła, że na system ochrony zdrowia w Polsce w 2024 r. musi być alokowana odpowiednia ilość środków publicznych. Minister zdrowia zaznaczyła, że w 2015 r. nakłady na ochronę zdrowia wynosiły 4,3 proc. PKB, a w 2022 r. 4,9 proc. PKB. To oznacza, że przez osiem lat nakłady na ochronę zdrowia wzrosły tylko o 0,6 proc. PKB. Ustawa budżetowa zakłada, że dochody państwa mają wynieść ok. 682,4 mld zł, a ustalony limit wydatków ok. 866,4 mld zł, w tym kontynuacja wzrostu wydatków na ochronę zdrowia, na którą alokowano ok. 195,1 mld zł (6,34 proc. PKB). Budżet, którego dysponentem jest minister zdrowia określono na ponad 27 mld zł, czyli o ponad 13 mld zł wyższe niż w ustawie budżetowej na rok 2023. Kluczowe w ochronie zdrowia jest mądre i skuteczne dysponowanie finansami publicznymi.^{20,21}

¹⁷ <https://www.sejm.gov.pl/Sejm9.nsf/PrzebiegProc.xsp?nr=2935>

¹⁸ <https://www.gov.pl/web/zdrowie/obwieszczenia-ministra-zdrowia-lista-lekow-refundowanych>

¹⁹ Izabela Leszczyna o priorytetach w Ministerstwie Zdrowia. Tym zajmie się w pierwszej kolejności. Rynek Zdrowia • Opublikowano: 13 grudnia 2023 <https://www.rynekzdrowia.pl/Polityka-zdrowotna/Izabela-Leszczyna-o-priorytetach-w-Ministerstwie-Zdrowia-Tym-zajmie-sie-w-pierwszej-kolejnosci,253108,14.html>

²⁰ Leszczyna o projekcie budżetu: prawie o 4 miliardy zł więcej w puli Ministra Zdrowia. Rynek Zdrowia 16 stycznia 2024 <https://www.rynekzdrowia.pl/Polityka-zdrowotna/Leszczyna-o-projekcie-budzetu-prawie-o-4-miliardy-zl-wiecej-w-puli-Ministra-Zdrowia,254131,14.html>

²¹ Senacka Komisja Zdrowia za ustawą budżetową. Rynek Zdrowia 23.01.2024 <https://www.rynekzdrowia.pl/Polityka-zdrowotna/Senacka-Komisja-Zdrowia-za-ustawa-budzetowa-Byly-wiceminister-dopytywal-o-wyceny-dla-szpitali,254360,14.html>

Według najnowszych danych Eurostat i OECD wydatki na zdrowie w Polsce w 2021 r. były najniższe w Unii Europejskiej, zarówno w zakresie wydatków na głowę mieszkańca 1 733 Euro PPP (średnia EU – 4 tys. Euro PPP), jak i odsetka PKB – 6,4% (średnia EU – 11% PKB).²² Wg GUS, w 2022 r. w Polsce wydano ok. 206 mld zł publicznych i prywatnych środków na zdrowie, co stanowiło 6,7% Produktu Krajowego Brutto, gdy średnia OECD wynosiła w 2022 r. 9,2% PKB. W 2022 r. Polacy wydali na ochronę zdrowia aż 52 mld zł z prywatnych kieszeni.²³ Wydatki Zakładu Ubezpieczeń Społecznych na świadczenia z ubezpieczeń społecznych związane z niezdolnością do pracy rosną w ostatnich latach, co pokazuje, jak określone schorzenia wpływają na rynek pracy i świadczeń społecznych. W 2022 r. wydatki na świadczenia związane z niezdolnością do pracy ogółem wyniosły ok. 46 mld zł i w porównaniu do 2021 r. wzrosły o ponad 1,6 mld zł.²⁴

W systemie ochrony zdrowia zorientowanym na wartość koszty muszą być liczone całościowo, efekty zdrowotne powinny uwzględniać wyniki i doświadczenia pacjentów, a wydatki na ochronę zdrowia powinny być traktowane, jako inwestycja.²⁵

Poniżej opisano przykładowe aktualne problemy zdrowotne obrazujące wartość zdrowia.

Spis treści

Iwosydenib w terapii ostrej białaczki szpikowej (AML)	6
Karfilzomib w schemacie KdD w terapii pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym opornych na lenalidomid i bortezomib	7
Brentuksymab vedotin w skojarzeniu z doksorubicyną, winblastyną i dakarbazyną w I linii leczenia dorosłych chorych na klasycznego chłoniaka Hodgkina w IV stadium zaawansowania	8
Romoszumab w leczeniu ciężkiej osteoporozy u kobiet po menopauzie z wysokim ryzykiem występowania złamań.....	10
Ewolokumab w leczeniu pediatrycznych pacjentów z hetero- i homozygotyczną hipercholesterolemią rodzinną (FH).....	12
Program kompleksowej opieki specjalistycznej nad świadczeniobiorcami leczonymi z powodu otyłości olbrzymiej (KOS-BAR) oraz program pilotażowego w zakresie kompleksowej opieki specjalistycznej nad świadczeniobiorcami leczonymi z powodu otyłości KOS-BMI 30 PLUS	13
Krajowy program badań przesiewowych w kierunku HCV i terapia wirusowego zapalenia wątroby typu C	15
Podawanie leków biologicznych w warunkach ambulatoryjnych i domowych	17

Iwosydenib w terapii ostrej białaczki szpikowej (AML)

Ostra białaczka szpikowa (AML) należy do stosunkowo rzadkich nowotworów układu krwiotwórczego, natomiast śmiertelność pacjentów w jej przebiegu wciąż pozostaje wysoka. Zaledwie 24% pacjentów

²² OECD/European Observatory on Health Systems and Policies (2023), Poland: Country Health Profile 2023, State of Health in the EU, OECD Publishing, Paris, <https://doi.org/10.1787/f597c810-en>

²³ Wydatki na ochronę zdrowia w latach 2020–2022 GUS <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/zdrowie/zdrowie/wydatki-na-ochrone-zdrowia-w-latach-2020-2022,27,3.html>

²⁴ Wydatki na świadczenia z ubezpieczeń społecznych związane z niezdolnością do pracy w 2022 r. ZUS. 2023 <https://www.zus.pl/baza-wiedzy/statystyka/opracowania-tematyczne/wydatki-na-swiadczenia-z-ubezpieczen-spoecznych-zwiazane-z-niezdolnoscia-do-pracy>

²⁵ Jakub Gierczynski. Raport Medycznej Racji Stanu: Aktywność zawodowa pacjenta i jego bliskich. MRS 5.12.2023

z noworozpoznaną chorobą przeżyje pięć lub więcej lat od momentu diagnozy. Tym samym ostra białaczka szpikowa zajmuje niechlubną piątą pozycję pod względem najkrótszego 5-letniego przeżycia całkowitego spośród wszystkich rodzajów nowotworów. W Polsce każdego roku diagnozowanych jest około 1 200 nowych przypadków ostrej białaczki szpikowej (zdecydowanie częściej chorują osoby starsze).

Dzięki postępowi medycyny trendy w przeżywalności pacjentów z AML w ostatnich latach poprawiają się, szczególnie u młodszych pacjentów. Wciąż wyzwaniem jest terapia pacjentów powyżej 60 roku życia niekwalifikujących się do intensywnej chemioterapii. To liczna i najtrudniejsza populacja pacjentów z ostrą białaczką szpikową. U osób starszych problemem jest nie tylko wiek, ale także liczne choroby współistniejące, ograniczające możliwości zastosowania intensywnej chemioterapii indukcyjnej czy transplantacji allogenicznej komórek krwiotwórczych.

Odpowiedzią na te wyzwania są terapie ukierunkowane molekularnie, które przede wszystkim pozwalają zwiększyć skuteczność leczenia, a także zmniejszają ryzyko działań niepożądanych chemioterapii systemowej, w tej trudnej populacji pacjentów. Wyniki najnowszego badania AGILE potwierdzają, że nowozarejestrowany lek iwosydenib jest pierwszą terapią celowaną dla mutacji IDH1, która w połączeniu z azacytydyną wykazuje ponad 3-krotne wydłużenie czasu przeżycia całkowitego pacjentów, w tej populacji chorych. Mediana przeżycia (OS) dla leku iwosydenib, tabletki w połączeniu z azacytydyną wyniosła 24 miesiące. Dla porównania dla azacytydyny w połączeniu z placebo było to 7,9 miesiąca. Najnowsze dane z przedłużonej obserwacji badania AGILE zaprezentowane w czasie tegorocznego Kongresu ASCO pokazały, że wyniki w zakresie wydłużenia przeżycia pacjentów mogą być jeszcze lepsze (mOS 29.3miesiąca vs 7.9 miesiąca).²⁶ W przypadku tej terapii ukierunkowanej molekularnie można mówić o nowym standardzie leczenia ostrej białaczki szpikowej u pacjentów z mutacją IDH1 niekwalifikujących się do intensywnej chemioterapii. Lek iwosydenib znalazł się już w wytycznych amerykańskich NCCN z 2023 r. i rekomendacjach European LeukemiaNet z 2022 r.

Karfilzomib w schemacie KdD w terapii pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym opornych na lenalidomid i bortezomib

Szpiczak mnogi (szpiczak plazmocytowy) (ICD-10 C90.0) jest niejednorodnym genetycznie, klonalnym rozrostem komórek plazmatycznych, mających najczęściej zdolność do produkowania immunoglobuliny lub jej fragmentów. Jest nowotworem wywodzącym się z komórek B w końcowym etapie różnicowania, po dokonaniu rekombinacji klasy (zmiana izotypu) łańcucha ciężkiego immunoglobuliny, które w przypadkach typowych wydzielają białko monoklonalne, tzw. białko M. Etiologia choroby jest nieznana. Oporny szpiczak jest określany jako choroba, która nie odpowiada na pierwotną lub kolejne terapie lub stan, w którym w ciągu 60 dni od ostatniej terapii następuje progresja. Choroba nieodpowiadająca, definiowana jest jako niepowodzenie w osiągnięciu minimalnej odpowiedzi lub rozwinięcie choroby progresywnej w trakcie terapii. Wyróżnia się dwa rodzaje opornego szpiczaka mnogiego: oporny i nawrotowy oraz pierwotnie oporny.

Szpiczak mnogi stanowi ok. 1% wszystkich nowotworów złośliwych i ok 14% nowotworów układu krwiotwórczego. Zapadalność roczna w Europie waha się od 4,5/100 000 do 5,8/100 000. Występuje nieco częściej u mężczyzn, szczyt zachorowań przypada na 7. dekadę życia (mediana wieku 70 lat). Około 5% chorych jest w wieku < 60 lat, a 2% przed 40 r.ż. W Polsce wg danych KRN w 2019 r. zarejestrowano 1 713

²⁶ Montesinos P, Recher C, Vives S, Zarzycka E, Wang J, Bertani G, Heuser M, Calado RT, Schuh AC, Yeh SP, Daigle SR, Hui J, Pandya SS, Gianolio DA, de Botton S, Döhner H. Ivosidenib and Azacitidine in IDH1-Mutated Acute Myeloid Leukemia. N Engl J Med. 2022 Apr 21;386(16):1519-1531. doi: 10.1056/NEJMoa2117344. PMID: 35443108.
<https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa2117344>

nowych zachorowań na szpiczaka mnogiego i inne nowotwory z komórek plazmatycznych (wg ICD-10: C90) (zachorowalność 4,51/100 000). W tym samym roku w Polsce z powodu szpiczaka mnogiego i innych nowotworów z komórek plazmatycznych odnotowano 1 410 zgonów (umieralność 3,71/100 000). Mediana czasu przeżycia chorych z objawową postępującą postacią choroby sięga do 5-6 lat (zwłaszcza w grupie chorych młodszych). Mediana czasu przeżycia u pacjentów z nawrotem choroby wynosi 1,5 roku, a przebieg kliniczny charakteryzuje się skróceniem trwania odpowiedzi wraz ze wzrostem liczby schematów terapii ratunkowych. Według aktualnych danych American Cancer Society, mediana przeżycia chorych na szpiczaka w stadium I, II i III wynosi według Międzynarodowej Klasyfikacji Prognostycznej (ang. international staging system, ISS), odpowiednio: 62, 44 i 29 miesięcy.²⁷

W ostatnich latach dostęp do leczenia innowacyjnymi terapiami szpiczaka w Polsce znacznie się poprawił. O ile pierwsza linia leczenia jest obecnie zaopiekowana, to w drugiej pojawiła się pilna potrzeba dostępu do schematu trójlekowego, niezawierającego lenalidomidu lub bortezomibu. Odnotowywana jest coraz częstsza oporność na lenalidomid (a także bortezomib) wśród pacjentów z opornym i nawrotowym szpiczakiem plazmocytowym ze względu na szeroką dostępność lenalidomidu oraz bortezomibu w 1. linii leczenia. Obecnie klinicyści i pacjenci zgłaszają brak dostępnych w 2. linii leczenia trójlekowych schematów niezawierających bortezomibu i/lub lenalidomidu. Schemat KdD w szczególności dedykowany pacjentom opornym i na lenalidomid i bortezomib, schemat który jest potrzebny w Polsce teraz, w tym momencie – za kilka lat nie będzie już tej potrzeby, ze względu na objęcie refundacją daratumumabu w 1 linii od stycznia 2024r., oraz to, że schemat KdD, najlepiej stosować u pacjentów, którzy nie otrzymywali wcześniej daratumumabu (a więc pacjenci, którzy otrzymają daratumumab w 1 linii nie otrzymają go w kolejnej linii). Oprócz tego, że jest to schemat, którego w obecnej praktyce brakuje, to jest to bardzo skuteczny schemat leczenia - Mediana czasu bez progresji choroby (PFS) równa 28,4 miesiąca dla schematu KdD stanowi najdłuższą spośród wszystkich obecnie refundowanych schematów trójlekowych niezawierających lenalidomidu. Dodatkowo, możliwość stosowania schematu KdD 1x w tygodniu stanowi wygodę dla pacjenta oraz ograniczenie kosztów terapii.

Brentuksymab vedotin w skojarzeniu z doksorubicyną, winblastyną i dakarbazyną w I linii leczenia dorosłych chorych na klasycznego chłoniaka Hodgkina w IV stadium zaawansowania

Chłoniak Hodgkina (HL, Hodgkin lymphoma; dawniej ziarnica złośliwa) jest chorobą nowotworową układu chłonnego.²⁸ Chłoniak Hodgkina wywodzi się z limfocytów B. Należy do najczęstszych chorób nowotworowych u młodych dorosłych (15-35 lat) i stanowi ok. 15% wszystkich zachorowań na chłoniaki. Nie są znane czynniki ryzyka zachorowania o potwierdzonym znaczeniu w rozwoju tej choroby. Ryzyko zachorowania jest wyższe u osób z niedoborami odporności (zakażenie HIV, osoby poddane leczeniu immunosupresyjnemu po przeszczepieniach narządów).²⁹ Zachorowalność na HL ma charakter stały i w krajach rozwiniętych wynosi 2–3 przypadków, a śmiertelność 0,4 przypadku na 100 tys. na rok. Częstość zachorowań u mężczyzn w stosunku do kobiet wynosi 1,3:1. Obserwuje się dwa szczyty zachorowań: w 3. dekadzie życia i po 50. roku życia.³⁰ Chłoniak Hodgkina nacieka głównie węzły chłonne. Podstawowym objawem jest niebolesne powiększenie węzłów chłonnych. Objawy systemowe, takie jak gorączka powyżej

²⁷ Rekomendacja nr 14/2023 z dnia 21 lutego 2023 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie oceny leku Kyprolis (karfilzomib) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytoowego (ICD-10: C90.0)” https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2022/121/REK/RP_nr_14_%202023_Kyprolis_BIP_REOPTR.pdf

²⁸ http://onkologia.zalaczenia.med.pl/pdf/zalaczenia_PTOK_tom2_2.17.%20Chloniak_Hodgkina_200520.pdf

²⁹ <https://onkologia.org.pl/pl/chloniak-hodgkina-czym-jest#page-main-image>

³⁰ http://onkologia.zalaczenia.med.pl/pdf/zalaczenia_PTOK_tom2_2.17.%20Chloniak_Hodgkina_200520.pdf

38°C, nocne poty oraz utrata masy ciała (> 10% w ciągu 6 miesięcy), dotyczą około 30% pacjentów. W przebiegu choroby może wystąpić uporczywy świąd skóry. U niektórych chorych pojawia się ból zajętych węzłów chłonnych po spożyciu alkoholu. Podstawą rozpoznania jest ocena histopatologiczna węzła chłonnego lub innej nacieczonej tkanki.³¹ Stadium zaawansowania choroby określane jest wg klasyfikacji Ann Arbor, na podstawie liczby i umiejscowienia zajętych przez nowotwór okolic węzłowych oraz obecności objawów systemowych.³² Oprócz stadium zaawansowania, ustala się również obecność niepomysłnych czynników rokowniczych: duża zmiana węzłowa w śródpiersiu, przyspieszone OB, wiek, umiejscowienia pozawęzłowe choroby (w stadium I i II) oraz niedokrwistość, podwyższona liczba białych krwinek, obniżona liczba limfocytów oraz albumin w stadiach zaawansowanych.³³

Leczeniem chłoniaka Hodgkina zajmują się Oddziały Hematologii. Podstawowymi metodami leczenia choroby są chemioterapia oraz radioterapia. W niektórych przypadkach konieczne jest także przeszczepienie szpiku kostnego. Chłoniak Hodgkina jest stosunkowo dobrze rokującym nowotworem. Około 80–90% chorych udaje się trwale wyleczyć przy stosowaniu standardowych metod leczenia. U pozostałych chorych może dojść do nawrotu lub oporności na leczenie.³⁴ Rodzaj zastosowanego leczenia w głównej mierze zależy od stopnia zaawansowania choroby:

- chorzy z wczesnym stadium choroby to chorzy ze stadium zaawansowania I-II,
- chorzy ze stadium pośrednim to również chorzy ze stadium zaawansowania I-II, ale z dodatkowymi czynnikami ryzyka, do których należą między innymi podwyższone OB, wiek powyżej 50 lat, bardzo duża zmiana węzłowa w klatce piersiowej, pozawęzłowa lokalizacja choroby - czynniki te powodują, że jest większe ryzyko nieskuteczności leczenia w tej grupie pacjentów,
- chorzy ze stadium zaawansowanym to chorzy w stadium III i IV choroby, można tu także włączyć chorych ze stadium II z poważnymi czynnikami ryzyka.³⁵

W leczeniu chorych z wczesnym stadium choroby bez dodatkowych czynników ryzyka w chwili obecnej standardem leczenia w tej grupie chorych są dwa kursy chemioterapii ABVD (doksorubicyna, bleomycyna, winblastyna, dakarbazyna), po których stosuje się radioterapię na pierwotnie zajęte węzły chłonne.³⁶ W leczeniu chorych z wczesnym stadium choroby o niekorzystnym rokowaniu (w stadium pośrednim) - w tej grupie chorych stosuje się zazwyczaj 4 kursy chemioterapii oraz radioterapię na pierwotnie zajęte węzły chłonne po zakończeniu chemioterapii. Najczęściej stosuje się 4 kursy ABVD, jednak dopuszczalne jest również bardziej intensywne leczenie za pomocą kursów o skomplikowanej nazwie „eskalowany BEACOPP” (bleomycyna, etopozyd, doksorubicyna, cyklofosfamid, winkrystyna, prokarbazyna, prednizon) - najczęściej łączy się te dwa kursy z dwoma kursami ABVD.³⁷ W leczeniu chorych w stadium zaawansowanym od dnia 1 stycznia 2024 r. weszła w życie najnowsza aktualizacja listy leków refundowanych, która umożliwiła zastosowanie, już w I linii leczenia dorosłych chorych na klasycznego chłoniaka Hodgkina w IV stadium zaawansowania, schematu leczenia brentuksymabem vedotin w skojarzeniu z doksorubicyną, winblastyną i dakarbazyną.³⁸ Wyniki długoletniego badania rejestracyjnego potwierdziły skuteczność i bezpieczeństwo schematu A+AVD względem ABVD. Wiązało się to z rozszerzeniem wskazania rejestracyjnego dla brentuksymabu vedotin przez Europejską Agencję Leków, w październiku 2023 roku, o pacjentów w III stadium zaawansowania. Warto zaznaczyć, że schemat A+AVD jest już dawno

³¹ http://onkologia.zalecenia.med.pl/pdf/zalecenia_PTOK_tom2_2.17.%20Chloniak_Hodgkina_200520.pdf

³² <https://onkologia.org.pl/pl/chloniak-hodgkina-czym-jest#page-main-image>

³³ <https://onkologia.org.pl/pl/chloniak-hodgkina-czym-jest#page-main-image>

³⁴ <https://www.mp.pl/pacjent/hematologia/choroby/224217,chloniak-hodgkina>

³⁵ <https://hematoonkologia.pl/info-o-chorobach/chloniak-hodgkina-leczenie>

³⁶ <https://hematoonkologia.pl/info-o-chorobach/chloniak-hodgkina-leczenie>

³⁷ <https://hematoonkologia.pl/info-o-chorobach/chloniak-hodgkina-leczenie>

³⁸ <https://hematoonkologia.pl/aktualnosci/news/id/6675-najnowsza-aktualizacja-listy-lekow-refundowanych-dobre-wiesci-dla-chorych-na-chloniaki-szpiczaka-i-przewlekla-bialaczkę-limfocytową>

zarejestrowany i stosowany w USA. W wywiadzie dla Medexpress prof. Tomasz Wróbel, kierownik Katedry i Kliniki Hematologii, Nowotworów Krwi i Transplantacji Szpiku Wydziału Lekarskiego Kształcenia Podyplomowego Uniwersytetu Medycznego im. Piastów Śląskich we Wrocławiu podkreślił, że: *u pacjentów z zaawansowanym chłoniakiem Hodgkina stosowanie schematu leczenia: brentuksymab wedotin + AVD daje korzyści „ (...) zarówno w odniesieniu do czasu do progresji, ale również do całkowitego przeżycia.(...) Chemio i immunoterapia ma przewagę nad zwykłą chemioterapią. To ważne, ponieważ możemy więcej pacjentów wyleczyć, więc mniej będzie tych z nawrotem i opornością.*³⁹

Romosozumab w leczeniu ciężkiej osteoporozy u kobiet po menopauzie z wysokim ryzykiem występowania złamań

Osteoporoza to układowa choroba szkieletu, charakteryzująca się zwiększonym ryzykiem złamań kości w następstwie zmniejszenia ich odporności mechanicznej. Odporność mechaniczna kości jest uwarunkowana gęstością mineralną (MDB) i jakością tkanki kostnej. Do złamania niskoenergetycznego (patologicznego) może dojść nie tylko z powodu osteoporozy, lecz np. z powodu nowotworu. Złamanie niskoenergetyczne definiuje się jako złamanie pod wpływem siły, która nie łamie zdrowej kości (upadek z wysokości własnego ciała lub wystąpienie złamania samoistnego).⁴⁰

Każde złamanie u pacjenta w wieku 60+ wymaga diagnostyki w kierunku osteoporozy. Brak wczesnego wykrywania osteoporozy w Polsce i niski procent leczonych chorych zwiększa ryzyko powtórnych złamań. Pacjenci z bardzo niską gęstością mineralną kości lub po przebyłym złamaniu stanowią grupę bardzo wysokiego ryzyka. Bardzo wysokie ryzyko wystąpienia złamań osteoporotycznych może prowadzić do ciężkiej osteoporozy, skutkującej niepełnosprawnością lub zagrażającej życiu pacjenta. Śmiertelność w pierwszym roku po złamaniu szyjki kości udowej wynosi 20-24%, a aż 5% osób ze złamaniem szyjki kości udowej umiera w ciągu 1 miesiąca od złamania.⁴¹

Wg danych NFZ szacowana liczba osób chorych na osteoporozę w Polsce w 2022 roku, oparta na wskaźnikach epidemiologicznych, to 2,1 mln, z czego 1,7 mln to kobiety. Porównując szacowaną liczbę chorych z wartością chorobowości rejestrowanej oszacowano, że stopień niedoszacowania liczby chorych na osteoporozę w 2022 r. wyniósł 75%. Odpowiada to liczbie 1,62 mln niezdiagnozowanych osób, z czego 470 tys. było powyżej 80. roku życia. W 2022 r. odnotowano 146 tys. złamań, które najczęściej przypisywane są osteoporozie. Wartość refundacji świadczeń z tego powodu wyniosła 795 mln zł, z czego 65% to środki przeznaczone na świadczenia z powodu złamań bliższego końca kości udowej, których odnotowano 35,4 tys. w 2022 r.

W Polsce są refundowane publicznie leki na osteoporozę z grupy bisfosfonianów – alendronian, ibadronian i ryzedronian oraz przeciwciało monoklonalne - denosumab. Wg danych NFZ w 2022 r. wartość refundacji świadczeń z powodu osteoporozy wyniosła 73 mln zł dla 220 tys. pacjentów. Recepty na refundowane leki stosowane w leczeniu osteoporozy zrealizowało w 2022 r. ok. 154 tys. pacjentów, a wartość refundacji tych leków wyniosła ok. 74 mln zł. NFZ wydał na refundację denosumabu ok. 65 mln zł (dla ok. 62 tys. pacjentów),

³⁹ <https://www.medexpress.pl/leki-technologie-medyczne/potrzeby-diagnostyczne-pacjentow-chorych-na-szpiczaka-plazmocytowego-i-nowe-podejscie-do-terapii-chloniaka-hodgkina/>

⁴⁰ Rekomendacja nr 9/2020 z dnia 30 listopada 2020 Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków realizacji tych programów, dotyczących wykrywania osteoporozy. AOTMiT https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/ppz/2020/REK/9_2020.pdf

⁴¹ Kanis JA, Oden A, Johnell O et al. The components of excess mortality after hip fracture. Bone. 2003; 32:468-473; <https://www.osteoporosis.foundation/policy-makers/burden-osteoporosis>

alendronianu - ok. 7,3 mln zł (ok. 79 tys. pacjentów), ryzedronianu – ok. 1,4 mln zł (ok. 13 tys. pacjentów) oraz ibadronianu – ok. 0,1 mln zł (ok. 0,7 tys. pacjentów).⁴²

Polscy pacjenci chorzy na osteoporozę z grupy bardzo wysokiego ryzyka złamań ciągle nie mają dostępu do optymalnego leczenia. Obecnie stosowane leki jedynie hamują proces utraty masy kostnej (bisfosfoniany, denosumab). Tymczasem dostępne są też (nierefundowane w Polsce) leki kościotwórcze, odbudowujące kości. Leczenie najczęściej stosowanymi lekami antyresorpcyjnymi – bisfosfonianami - nie zabezpieczy najciężej chorych pacjentów przed wystąpieniem kolejnego złamania z uwagi na ich wolniejsze działanie (umocnienie struktury kości obserwowane dopiero po 12. miesiącach); Działają one jedynie antyresorpcyjnie, a w rzeczywistości potrzebujemy odbudowania kości. Inne problemy z obecnie szeroko dostępnym leczeniem to: działania niepożądane związane ze stosowaniem bisfosfonianów, niższa skuteczność niż inne dostępne leczenie.

W grudniu 2019 r. został zarejestrowany w Unii Europejskiej nowy lek - romosozumab we wskazaniu leczenia ciężkiej osteoporozy u kobiet po menopauzie z wysokim ryzykiem występowania złamań.⁴³ Według najnowszych rekomendacji klinicznych (polskich i międzynarodowych), romosozumab jest lekiem optymalnym dla chorych z bardzo wysokim ryzykiem wystąpienia złamań osteoporotycznych. Romosozumab, to lek nowej generacji o unikalnym mechanizmie, który jako jedyny ma dwukierunkowe działanie. Romosozumab wzmacnia procesy kościotworzenia i jednocześnie zmniejsza resorpcję kości, dzięki czemu poprawia strukturę i wytrzymałość kości. Lek jest podawany podskórnie raz w miesiącu i stosowany tylko przez 12 miesięcy. Leczenie romosozumabem wiąże się z szybkim przyrostem masy kości (BMD) (nawet po 6 miesiącach), co jest szczególnie istotne, gdyż około 35% wszystkich kolejnych złamań wystąpiło w ciągu 1 roku po pierwotnym złamaniu — odsetek wyższy niż w jakimkolwiek kolejnym roku w ciągu 5 lat obserwacji. Badania kliniczne dowodzą, że po 12. miesięcznej terapii romosozumabem pacjenci muszą otrzymać terapię antyresorpcyjną (denosumab, lub bisfosfoniany), aby utrzymać lub wzmocnić korzyści kliniczne w zakresie obniżenia ryzyka złamań i podwyższenia gęstości mineralnej kości. Taka terapia sekwencyjna daje większe korzyści w zakresie redukcji ryzyka złamań niż zastosowanie tylko leku antyresorpcyjnego.

Refundacja publiczna romosozumabu w Polsce znalazła się w postulatach Konsultant Krajowej w dziedzinie Reumatologii wskazanych w raporcie z 2023 r. pt. „Aktualny stan reumatologii i przyszłe kierunki zmian – perspektywa Konsultant Krajowej w dziedzinie reumatologii”. Postulaty, to przede wszystkim pilna potrzeba dokonania zmian w zakresie:

1. Profilaktyki i wczesnego wykrywania osteoporozy poprzez:
 - a. zwiększenie świadomości społecznej, jak niebezpieczna jest osteoporoza,
 - b. szerszy dostęp do badań przesiewowych,
 - c. kształcenie lekarzy POZ w dokonywaniu wstępnego przesiewu w kierunku osteoporozy,
 - d. wprowadzenie pakietu diagnostycznego w Poradniach Osteoporozy umożliwiającego jednorazowe wykonanie wszystkich badań diagnostycznych,
 - e. opracowanie procedur kierowania wszystkich pacjentów ze złamaniami niskoenergetycznymi do Poradni Osteoporotycznych lub Reumatologicznych przez lekarzy ortopedów
2. Opracowania strategii zwiększającej *adhertence* i *compliance* u chorych na osteoporozę

⁴² NFZ o zdrowiu. Osteoporoza. 2023 <https://ezdrowie.gov.pl/5583>

⁴³ https://ucb.pl/sites/default/files/2023-09/pl_smpc_evenity_082023.pdf?_gl=1*12pywvwy*_ga*MTU4NTQ1Mzc3NC4xNzA1NzgxODk2*_ga_E94N3N5373*MTcwNTc4MTg5Ni4xLjAuMTcwNTc4MTg5OC41OC4wLjA.

3. Poprawienia do dostępności leków aktualnie niedostępnych w Polsce w celu leczenia najcięższych postaci osteoporozy pomenopauzalnej (romosuzumab) oraz osteoporozy posterydowej i osteoporozy u mężczyzn (teryparatyd).
4. Opracowanie szybkiej ścieżki pacjenta z osteoporozą przez Konsultantów Krajowych w dziedzinie zdrowia publicznego, reumatologii, ortopedii, rehabilitacji i geriatrici.⁴⁴

Ewolokumab w leczeniu pediatrycznych pacjentów z hetero- i homozygotyczną hipercholesterolemią rodzinną (FH)

Hipercholesterolemia rodzinna (FH) jest chorobą o podłożu genetycznym związaną najczęściej z mutacją jednego z 3 genów odpowiadających za metabolizm cholesterolu LDL. Rozróżniamy dwie postaci rodzinnej hipercholesterolemii – heterozygotyczną postać FH, która występuje u 1:250 osób oraz homozygotyczną postać hipercholesterolemii rodzinnej, która jest chorobą rzadką, a częstość jej występowania w populacji ogólnej to 1 na 160-300 tysięcy osób, a wg niektórych źródeł nawet 1 na 1 mln osób. Wykrywalność hipercholesterolemii rodzinnej w Polsce szacuje się na ok. 3%. W wyniku mutacji genetycznej, z którą mamy do czynienia u pacjentów z rodzinną hipercholesterolemią, dochodzi do upośledzonego usuwania frakcji LDL cholesterolu z krwioobiegu i w następstwie wczesnego odkładania blaszki miażdżycowej w naczyniach krwionośnych. Proces ten rozpoczyna się już w dzieciństwie, prowadząc do przedwczesnego rozwoju miażdżycy, a w konsekwencji do choroby niedokrwiennej serca i związanych z tym zawałów mięśnia sercowego i udarów mózgu, czy innych zdarzeń sercowo-naczyniowych, które występują już u młodych pacjentów (nawet 30-40 letnich). W badaniach zaobserwowano, że względne ryzyko śmiertelnego incydentu wieńcowego wzrosło 125-krotnie u kobiet z hipercholesterolemią rodzinną w wieku od 20 do 39 lat i 48-krotnie u chorych mężczyzn w wieku od 20 do 39 lat, w porównaniu z ogólną populacją, a pacjenci z heterozygotyczną hipercholesterolemią rodzinną doświadczają średnio niemal cztery razy więcej zdarzeń sercowo-naczyniowych w ciągu swojego życia w porównaniu z pacjentami o podobnym profilu ryzyka bez obciążenia genetycznego tą chorobą. Natomiast w przypadku postaci homozygotycznej brak wdrożenia skutecznego leczenia powoduje, że pacjent z homozygotyczną FH na ogół nie dożywa 30 roku życia. Biorąc pod uwagę poważne konsekwencje zdrowotne nieleczonej hipercholesterolemii rodzinnej oraz fakt, że wystąpienie rodzinnej hipercholesterolemii u jednego z rodziców, powoduje 50% prawdopodobieństwo przekazania jej dzieciom, bardzo ważna jest prawidłowa diagnostyka pacjentów, w szczególności dzieci. Bardzo ważne jest też udostępnienie pacjentom pediatrycznym, zarejestrowanej dla tej populacji, skutecznej terapii jaką jest terapia ewolokumabem. Wykazano bowiem w badaniu oceniającym wpływ leczenia hipolipemizującego na rodziców i ich dzieci z FH w perspektywie wielu lat, że częstość zgonów sercowych była istotnie wyższa u rodziców, którzy nie otrzymywali w dzieciństwie terapii hipolipemizującej, w porównaniu z ich chorym potomstwem leczonym od dzieciństwa.

Biorąc pod uwagę niską wykrywalność hipercholesterolemii rodzinnej w Polsce i zagrożenia, jakie niesie ta choroba – związane z przedwczesnym rozwojem miażdżycy, choroby niedokrwiennej serca i wynikającymi z tego licznymi zdarzeniami sercowo naczyniowymi tj. zawał, udar, rewaskularyzacje, konieczne wydaje się wprowadzenie w Polsce skriningu wśród dzieci poprzez wykonanie lipidogramu w trakcie bilansu 6 latka. Konieczne jest umożliwienie skutecznego leczenia dzieci od 10 r. ż. chorych na genetycznie uwarunkowaną hipercholesterolemią rodzinną zarówno heterozygotyczną jak i homozygotyczną. Działanie obecnie stosowanych u pacjentów z hipercholesterolemią rodzinną klasycznych terapii zawierających statyny

⁴⁴ Aktualny stan reumatologii i przyszłe kierunki zmian – perspektywa Konsultant Krajowej w dziedzinie reumatologii. 2023 <https://e-medycyna.pl/aktualny-stan-reumatologii-i-przyszle-kierunki-zmian-perspektywa-konsultant-krajowej-w-dziedzinie-reumatologii/>

i ezetymib jest niewystarczające i nie pozwala na osiągnięcie celu terapeutycznego u większości pacjentów. Mamy zarejestrowane, ale nie refundowane publicznie w populacji pediatrycznej, leczenie ewolokumabem, które wykazuje dużą skuteczność w obniżaniu LDL-C. W randomizowanym badaniu klinicznym HAUSER RCT wykazano, że ewolokumab obniża LDL-C średnio dodatkowo o 38%, co w wielu przypadkach pozwoli na osiągnięcie przez pacjentów celów terapeutycznych.⁴⁵

Ewolokumab jest pierwszym inhibitorem PCSK-9 zarejestrowanym do leczenia hipercholesterolemii rodzinnej u dzieci. Zastosowanie ewolokumabu u dzieci z rodzinną hipercholesterolemią pozwoli w przyszłości uniknąć u tych pacjentów rozwoju miażdżycy, choroby niedokrwiennej serca i związanych z nią wielokrotnych zdarzeń sercowo-naczyniowych, w tym zawału mięśnia sercowego i udaru mózgu w młodym wieku.

Program kompleksowej opieki specjalistycznej nad świadczeniobiorcami leczonymi z powodu otyłości olbrzymiej (KOS-BAR) oraz program pilotażowego w zakresie kompleksowej opieki specjalistycznej nad świadczeniobiorcami leczonymi z powodu otyłości KOS-BMI 30 PLUS

Obecnie około 2,6 miliarda ludzi na świecie, czyli 38% populacji, jest otyła lub ma nadwagę, a z raportu opublikowanego przez Our World in Data wynika, że ponad 4,5 miliona ludzi na świecie umiera przedwcześnie z powodu otyłości. W Polsce nadmierną masę ciała ma 65,7% mężczyzn i 45,9% kobiet, natomiast otyłość występuje u 15,4% mężczyzn i 15,2% kobiet. Otyłość olbrzymia (BMI 40,0 lub więcej) występuje u 0,5% mężczyzn i 0,4% kobiet (wyniki badań realizowanych przez IŻŻ/NIZP-PZH w ramach współpracy z EFSA, przeprowadzonych w latach 2019-2020).

Nadwaga i otyłość zwiększają ryzyko zachorowalności na ponad 200 schorzeń, w tym m.in. cukrzycę typu 2, nadciśnienie tętnicze, zaburzenia lipidowe, chorobę niedokrwinną serca, obturacyjny bezdech senny, chorobę zwyrodnieniową stawów, depresję oraz sprzyjają rozwojowi niektórych typów nowotworów, podwyższając ryzyko zgonu.

Najnowsze badania naukowe sugerują, że 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, zapobiegając im, łagodząc ich objawy oraz prowadząc do ustąpienia choroby. U wielu pacjentów po zabiegu obserwowano redukcję incydentów kardiologicznych, udarów, występowania nowotworów oraz w szczególności lepszą kontrolę lub remisję cukrzycy, co wpływa na zmniejszenie śmiertelności związanej z patologiczną otyłością.

W odpowiedzi na powyższe doniesienia, wprowadzono w Polsce program pilotażowy KOS-BAR, który wszedł w życie 1 stycznia 2022 r.⁴⁶ Zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia z 1 czerwca 2023 r. pilotaż został przedłużony do grudnia 2024.⁴⁷ KOS-BAR to unikalny na skalę światową program kompleksowej

⁴⁵ Santos RD, Ruzza A, Hovingh GK, Wiegman A, Mach F, Kurtz CE, Hamer A, Bridges I, Bartuli A, Bergeron J, Szamosi T, Santra S, Stefanutti C, Descamps OS, Greber-Platzer S, Luirink I, Kastelein JJP, Gaudet D; HAUSER-RCT Investigators. Evolocumab in Pediatric Heterozygous Familial Hypercholesterolemia. *N Engl J Med.* 2020 Oct 1;383(14):1317-1327. doi: 10.1056/NEJMoa2019910. Epub 2020 Aug 29. PMID: 32865373. <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/32865373/>

⁴⁶ Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 12 sierpnia 2021 r. w sprawie programu pilotażowego w zakresie kompleksowej opieki specjalistycznej nad świadczeniobiorcami leczonymi z powodu otyłości olbrzymiej KOS-BAR <https://isap.sejm.gov.pl/isap.nsf/DocDetails.xsp?id=WDU20210001622>

⁴⁷ Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 1 czerwca 2023 r. zmieniające rozporządzenie w sprawie programu pilotażowego w zakresie kompleksowej opieki specjalistycznej nad świadczeniobiorcami leczonymi z powodu otyłości olbrzymiej KOS-BAR. <https://www.infor.pl/akt-prawny/DZU.2023.153.0001052.rozporzadzenie-ministra-zdrowia-zmieniajace-rozporzadzenie-w->

opieki zdrowotnej opartej na wartości (VBHC), dedykowany chorym na otyłość olbrzymią leczoną chirurgicznie (JGP F14). Jego wyjątkowość polega m.in. na długoterminowej kontroli i wsparciu pacjentów oraz płaceniu za efekt zdrowotny. Dodatkowo, KOS-BAR został całkowicie sfinansowany z podatku cukrowego. Do programu mogą zostać zakwalifikowani pacjenci o:

- 1) BMI \geq 40 kg/m² w wieku od 18 do 65 roku życia z rozpoznaniem ICD-10: E66.0 Otyłość spowodowana nadmierną podażą energii;
- 2) BMI 35-40 kg/m², u których chirurgicznie indukowana redukcja masy ciała może przynieść potencjalną poprawę w zakresie chorób wywołanych otyłością.

KOS-BAR realizowany jest w czterech modułach:

- 1) I moduł – diagnostyka, leczenie przedoperacyjne i rehabilitacja przedoperacyjna, która trwa od 3 do 6 miesięcy od rozpoczęcia diagnostyki. Ten etap obejmuje także opiekę diabetologiczną czy psychologiczną.
- 2) II moduł – leczenie zabiegowe/operacja bariatryczna
- 3) III moduł – rehabilitacja lecznicza
- 4) IV moduł – bariatryczna opieka specjalistyczna (monitorowanie).

Obecnie program jest realizowany w 19. ośrodkach w całej Polsce, a do czasu podsumowania programu przez Ministerstwo Zdrowia podczas Forum Rynku Zdrowia (październik 2023) zakwalifikowano do niego 2 747 pacjentów, natomiast u 2 495 wykonano zabieg bariatryczny. Istnieje duża potrzeba kontynuowania programu, na co wskazują również doniesienia lekarzy oraz samych pacjentów. Jak podkreśla prof. Piotr Major ze Szpitala Uniwersyteckiego w Krakowie, który aktywnie uczestniczył w organizacji programu i jest zaangażowany w jego realizację "Otyłość skraca życie i zabija, a najskuteczniejszą i najtrwalszą metodą jej leczenia jest chirurgia bariatryczna. Jednocześnie należy pamiętać, że sama operacja bariatryczna jest jedynie szansą dla pacjenta, a nie rozwiązaniem. Jedynym sposobem na wyleczenie otyłości jest kompleksowe leczenie, angażujące specjalistów z różnych dziedzin (m.in. chirurga, internistę, kardiologa, diabetologa, endokrynologa, anestezjologa, ginekologa, ortopedę, dietetyka, psychologa, rehabilitanta, koordynatora). Otyłość jest chorobą na całe życie, nawet jeśli pacjent znacznie zredukuje wagę".

Projekt rozporządzenia Ministra Zdrowia w sprawie programu pilotażowego w zakresie kompleksowej opieki specjalistycznej nad świadczeniobiorcami leczonymi z powodu otyłości KOS-BMI 30 PLUS

Wielodyscyplinarna opieka w jednym ośrodku, który zapewnia sprawną koordynację na każdym etapie leczenia, obejmująca także monitorowanie efektów – taki jest cel uruchomienia projektu rozporządzenia Ministra Zdrowia w sprawie programu pilotażowego w zakresie kompleksowej opieki specjalistycznej nad świadczeniobiorcami leczonymi z powodu otyłości KOS-BMI 30 PLUS.⁴⁸ Projekt rozporządzenia Ministra Zdrowia w sprawie programu pilotażowego w zakresie kompleksowej opieki specjalistycznej nad świadczeniobiorcami leczonymi z powodu otyłości KOS-BMI 30 PLUS został skierowany do konsultacji. Projekt określa warunki realizacji programu KOS-BMI 30 PLUS. - Koncepcja kompleksowej diagnostyki i leczenia świadczeniobiorców z rozpoznaną otyłością opiera się na scentralizowanym, wielodyscyplinarnym leczeniu w jednym ośrodku, który zapewnia sprawną koordynację na każdym etapie leczenia, obejmuje także monitorowanie efektów leczenia oraz całego procesu leczenia.

[sprawie-programu-pilotazowego-w-zakresie-kompleksowej-opieki-specjalistycznej-nad-swadczeniobiorcami-leczonymi-z-powodu-otylosci-olbrzymie.html](https://legislacja.rcl.gov.pl/projekt/12378902/katalog/13018494)

⁴⁸ Projekt rozporządzenia Ministra Zdrowia w sprawie programu pilotażowego w zakresie kompleksowej opieki specjalistycznej nad świadczeniobiorcami leczonymi z powodu otyłości KOS-BMI 30 PLUS.
<https://legislacja.rcl.gov.pl/projekt/12378902/katalog/13018494>

Celem programu jest poprawa jakości i efektywności leczenia pacjentów w wieku od 18. roku życia z rozpoznaniem - według klasyfikacji ICD-10 - E66.0, czyli z otyłością spowodowaną nadmierną podażą energii, u których wskaźnik masy ciała BMI wynosi 30 i więcej oraz u których rozpoznano przynajmniej jedno z wymienionych powikłań otyłości: stan przedcukrzycowy, cukrzyca typu 2, nadciśnienie tętnicze, dyslipidemia, obturacyjny bezdech senny wymagający wspomagania oddechu (CPAP), zespół policystycznych jajników, zespół metaboliczny, upośledzenie funkcji wątroby (podwyższone transaminazy), konieczność redukcji masy ciała przed planowaną endoprotezoplastyką lub innym leczeniem zabiegowym. Podstawowym kryterium kwalifikacji do programu mają być wiek i BMI. Okres realizacji programu pilotażowego obejmuje:

- 1) etap organizacji, obejmujący zawarcie umów z NFZ przez ośrodki koordynujące, trwający trzy miesiące od dnia wejścia w życie rozporządzenia;
- 2) etap realizacji, czyli udzielania świadczeń w okresie 24 miesięcy od dnia podpisania umów;
- 3) etap ewaluacji, trwający trzy miesiące od dnia zakończenia etapu realizacji.

W raporcie OECD z 2019 r. pt. „The Heavy Burden of Obesity. The Economics of Prevention” stwierdzono, że nadwaga i otyłość generują olbrzymie koszty z perspektywy społecznej. Zmniejszają oczekiwaną długość życia, zwiększają koszty opieki zdrowotnej, obniżają wydajność pracowników, a poprzez to obniżają Produkt Krajowy Brutto (PKB). W przypadku Polski, w najbliższych 30 latach będzie to strata na poziomie ok. 4,1% PKB, czyli 0,14% PKB rocznie. Średnia dla Unii Europejskiej i OECD wyniosła 3,3% PKB. Otyłość odpowiada za 70% kosztów leczenia cukrzycy, 23% kosztów leczenia chorób sercowo-naczyniowych i 9% kosztów leczenia raka.⁴⁹ NFZ w raporcie z 2019 r. pt. „Cukier, otyłość – konsekwencje” szacuje wzrost kosztów związanych z leczeniem chorób związanych z nadwagą i otyłością o 0,3 – 1,0 mld zł w 2025 r. w porównaniu do 2017 r. Liczba dorosłych osób z otyłością wzrośnie do 6,1 – 11,4 mln osób, czyli otyłych będzie 26% dorosłych kobiet i 30% dorosłych mężczyzn. Dotyczy to przede wszystkim chorych na cukrzycę i należy oczekiwać wzrost populacji tych chorych w 2025 r. o 437 – 941 tys., w porównaniu z 2017 r.⁵⁰ W raporcie Fundacji Republikańskiej z 2021 r. pt. „Otyłość epidemią XXI wieku” oszacowano koszty bezpośrednie i pośrednie otyłości w Polsce. Koszty bezpośrednie, czyli świadczenia zdrowotne i koszty leków, stosowanych głównie w terapii powikłań otyłości, kampanie i programy profilaktyczne wynoszą ok. 5 mld złotych rocznie. Koszty pośrednie, związane z nieobecnością w pracy, utraconym podatkiem lub dochodem, obniżeniem jakości życia czy utraconymi latami życia estymowane są na poziomie ok. 10 mld zł rocznie.⁵¹

Krajowy program badań przesiewowych w kierunku HCV i terapia wirusowego zapalenia wątroby typu C

HCV ciągle stanowi zagrożenie dla polskiej populacji ze względu na brak możliwości zapobiegania chorobie na drodze szczepień (nie została jeszcze wynaleziona szczepionka na HCV) oraz poważne konsekwencje długoletniego zakażenia (marskość wątroby, rak wątrobowokomórkowy). Nadal ponad 140 tys. osób jest aktywnie chorych na WZW typu C i ok 70% żyje w nieświadomości zakażenia wirusem HCV, istnieje więc pilna potrzeba zwiększenia wysiłków w zakresie w diagnostyki HCV, a następnie leczenia WZW typu C. HCV (Hepatitis C Virus) czyli wirus wywołujący zapalenie wątroby typu C (WZW typu C) jest nazywany cichym zabójcą, gdyż zakażenie przebiega bezobjawowo lub objawy są niecharakterystyczne. W konsekwencji nieleczenia choroby dochodzi do powikłań w tym raka wątrobowokomórkowego i śmierci. Wirus zapalenia wątroby typu C przenosi się przez krew i płyny ustrojowe, co oznacza, że czynnikiem ryzyka zakażenia HCV

⁴⁹ <https://www.oecd.org/health/the-heavy-burden-of-obesity-67450d67-en.htm>

⁵⁰ <https://www.gov.pl/web/zdrowie/cukier-otylosc-konsekwencje-prezentacja-raportu>

⁵¹ <https://fundacjarepublikanska.org/otylosc-epidemia-xxi-wieku/>

może być każdy zabieg (zarówno medyczny, jak i pozamedyczny), czy jakiegokolwiek naruszenie ciągłości tkanek. Chorzy na WZW typu C, to dziś aktywni zawodowo 40-50 latkowie, którzy zostali zdiagnozowani „przez przypadek”, często w przebiegu innych chorób, nieświadomi zakażenia. WZW C stanowi poważny problem z punktu widzenia zdrowia publicznego i jedyną metodą zapobiegania rozprzestrzeniania wirusa jest diagnostyka i leczenie, dlatego niezbędne są działania na poziomie krajowym zmierzające do eliminacji HCV, poprzez np. rządowy program polityki zdrowotnej eliminacji HCV.

WZW typu C jest całkowicie wyleczalną chorobą. Aktualnie dostępne refundacyjnie leki dają możliwości leczenia WZW typu C szybko (8-12 tygodni) i z niemal 100% skutecznością w warunkach ambulatoryjnych. Ze względu na refundowane leczenie w Polsce, możliwe jest zmniejszenie liczby nowych zakażeń, zgodnie z celami WHO, o 90%. W Polsce terapia WZW C jest bezpłatna, w ramach programu lekowego. Eliminacja wirusa HCV spowoduje zmniejszenie częstości powikłań związanych z WZW typu C, szczególnie redukcja śmiertelności z powodu raka wątrobowokomórkowego (HCC). Obecnie w Polsce kluczowe jest podjęcie szerokich działań diagnostycznych w kierunku HCV, które zapewni polskim obywatelom bezpieczeństwo. Inne kraje, w tym bogatsze od nas (np. Niemcy) policzyły i udowodniły, że diagnostyka i leczenie jest wysoce opłacalne, dużo skuteczniejsze i tańsze niż leczenie powikłań. Dlatego istnieje wysoko uzasadniona potrzeba ekonomiczno-społeczna uruchomienia testowania i eliminacji HCV. Badania diagnostyczne HCV od roku włączone są do finansowania w ramach tzw. budżetu powierzonego w POZ, jednak ich wykonanie jest na bardzo niskim poziomie i ograniczają się jedynie do grup ryzyka i nie są badaniami przesiewowymi, choć istnieje wysoka potrzeba zdrowotna przeprowadzenia screeningu w tym kierunku. Powinniśmy zmierzać w kierunku całkowitej eliminacji wirusa z polskiej populacji i ochrony polskich obywateli, do czego zobowiązał się Polski Rząd na Światowym Zgromadzeniu Zdrowia WHO, przyjmując globalną strategię dotyczącą WZW na lata 2016–2021. Celem tej inicjatywy jest eliminacja wirusowego zapalenia wątroby typu B i C do roku 2030. Cele WHO strategii eliminacji zakażeń HCV, jako zagrożenia zdrowia publicznego (2016): zmniejszenie liczby nowych zakażeń HCV o 90% i redukcja śmiertelności z powodu ich klinicznych następstw o 65%.

Przewlekłe Zapalenie Wątroby typu C oprócz skutków medycznych, w tym związanych z rozwojem raka prowadzi do poważnych skutków społeczno-ekonomicznych. Zakażenie HCV i przewlekłe wirusowe zapalenie wątroby typu C są istotnymi problemami zdrowia publicznego, który można rozwiązać poprzez szybkie wykrycie pacjentów zakażonych oraz ich wyleczenie, dzięki włączeniu ich w program lekowy. To jest skuteczna i prosta w kontrolowaniu terapia. Nieodzownym elementem kompleksowych działań jest edukacja w zakresie profilaktyki zakażeń krwiopochodnych, zarówno profesjonalistów medycznych jak i lokalnych społeczności.

Wg stanowiska Polskiego Towarzystwa Epidemiologów i Lekarzy Chorób Zakaźnych, Polskiego Towarzystwa Hepatologicznego i Polskiego Towarzystwa Medycyny Rodzinnej w zakresie diagnostyki zakażeń HCV w ramach podstawowej opieki zdrowotnej: *Analiza przeprowadzona dla Polski w 2018 r. wykazała jednoznacznie, że aby osiągnąć cele WHO w zakresie eliminacji WZW C do 2030 konieczne jest leczenie ok. 12 tys. osób rocznie. Założenie to wiąże się z koniecznością uruchomienia w trybie pilnym ogólnopolskiego programu powszechnych badań przesiewowych które umożliwiłyby testowanie ok. 2 do 2,5 mln osób rocznie.*⁵² Niestety w świetle aktualnych analiz bez uruchomienia Narodowego Programu Eliminacji HCV

⁵² Stanowisko Polskiego Towarzystwa Epidemiologów i Lekarzy Chorób Zakaźnych, Polskiego Towarzystwa Hepatologicznego i Polskiego Towarzystwa Medycyny Rodzinnej w zakresie diagnostyki zakażeń HCV w ramach podstawowej opieki zdrowotnej. Agnieszka Mastalerz-Migas, Robert Flisiak, Jarosław Drobniak, Krzysztof Tomaszewicz, Małgorzata Pawłowska. Lekarz POZ 4/2021 <https://www.termedia.pl/Stnowisko-Polskiego-Towarzystwa-Epidemiologow-i-Lekarzy-Chorob-Zakaznych-Polskiego-Towarzystwa-Hepatologicznego-i-Polskiego-Towarzystwa-Medycyny-Rodzinnej-w-zakresie-diagnostyki-zakazen-HCV-w-ramach-98,45393,0,1.html>

Polska osiągnie zakładane cele przez WHO dopiero po roku 2050, czyli za 28 lat. Polska, wspólnie ze 193 innymi państwami, przyjęła na Światowym Zgromadzeniu Zdrowia WHO w 2016 r. globalną strategię dotyczącą wirusowego zapalenia wątroby na lata 2016–2021. Celem tej inicjatywy jest eliminacja wirusowego zapalenia wątroby typu B i C do roku 2030.⁵³ Celem testowania planu działania w zakresie zapalenia wątroby w regionie Europy Światowej Organizacji Zdrowia (WHO) na 2020 r. jest zdiagnozowanie i przeleczenie 50% osób żyjących z przewlekłym wirusowym zapaleniem wątroby typu B (HBV) i C (HCV). Zgłoszone dane z 2017 r. pokazują, że region Europy jest daleki od osiągnięcia tego celu – do tej pory zdiagnozowano ok. 1 na 5 osób żyjących z HBV (20,3%) i 1 na 4 osoby żyjące z HCV (26,8%). Polska z 24,9% zdiagnozowanych zakażonych chorych plasuje się niestety wśród krajów, które nie osiągnęły minimalnego progu 50% do roku 2020.⁵⁴ Raport WHO pt. „Accelerating access to hepatitis C diagnostics and treatment. Overcoming barriers in low and middle-income countries. Global progress report 2020” stwierdza, że dostęp do coraz tańszych terapii bezinterferonowych stwarza szanse dla chorych na WZW C na wyeliminowanie wirusa pod warunkiem dostępu do diagnostyki HCV.⁵⁵ W Polsce w ramach programu lekowego B.71 Leczenia przewlekłego wirusowego zapalenia wątroby typu C, terapią bezinterferonową w 2017 r. było leczonych ok. 12 tys. pacjentów, a w 2020 r. tylko ok. 4 tys. pacjentów. Program lekowy B.71 realizowany w 74. ośrodkach klinicznych gwarantuje chorym, rzeczywisty, dobry dostęp do skutecznej terapii bezinterferonowej, której koszt obniżył się kilkukrotnie od 2016 r.⁵⁶

Podawanie leków biologicznych w warunkach ambulatoryjnych i domowych

Resort zdrowia zapowiedział w 2023 r., że przewlekle chorzy, którzy muszą zgłaszać się na podanie leku biologicznego do szpitala będą mogli otrzymywać terapię u specjalisty w poradni. Dzięki temu zwiększy się dostępność takiego leczenia, bo przychodnie są w stanie przyjąć więcej pacjentów niż szpitale. Zarówno chorzy, jak i lekarze czekają na realizację zapowiedzi Ministerstwa Zdrowia. Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji rekomenduje umożliwienie przewlekle chorym, którzy w ramach programów lekowych muszą przyjmować leki w szpitalu – podawanie ich w poradniach ambulatoryjnych z kontynuacją farmakoterapii w domu.

Leki biologiczne zrewolucjonizowały medycynę, bo okazały się skuteczne wobec chorób, na które dotychczas stosowane farmaceutyki nie działały. W Polsce dostęp do tych terapii wciąż jest kilkunastokrotnie gorszy niż w innych krajach UE. Dzięki konkurencji na rynku leków biologicznych, spadek kosztu leczenia biologicznego sięgnął nawet 80 proc. Wygenerowane oszczędności należy przeznaczyć na udostępnienie tych leków większej liczbie chorych. Zdaniem ekspertów, osiągnięcie stopnia dostępności, jaki obserwujemy w innych krajach, nie będzie możliwe bez zmian organizacyjnych, bo szpitale prowadzące programy lekowe nie są w stanie leczyć tak wielu chorych.

AOTMiT rekomenduje (nr 65/2023 z 30 czerwca 2023) wprowadzenie do wykazu świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej terapii realizowanych obecnie w ramach programów lekowych w szpitalach dla osób przewlekle chorych. Jej zdaniem, poprawi to dostępność do

⁵³ https://www.who.int/hepatitis/news-events/07_towards-elimination-Dr-Gottfried-Hirnschall.pdf?ua=1

⁵⁴ Monitoring the responses to hepatitis B and C epidemics in the EU/EEA Member States, 2019

<https://www.ecdc.europa.eu/en/publications-data/monitoring-responses-hepatitis-b-and-c-epidemics-eueea-member-states-2019>

⁵⁵ <https://www.who.int/publications/i/item/9789240019003>

⁵⁶ <https://statystyki.nfz.gov.pl/DrugPrograms>

terapii, zmniejszy obciążenie szpitali, które realizują programy oraz odciążą cały system eliminując nieuzasadnione klinicznie hospitalizacje.⁵⁷

Bezpłatne udostępnianie leku poza szpitalem w warunkach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej, czyli w lokalnej przychodni, tej najbliższej pacjenta to bardzo efektywne rozwiązanie. Lek podawany byłby choremu przy okazji cyklicznej kontroli stanu jego zdrowia i wydawany do kontynuacji terapii w domu. To zabezpieczyłoby pacjenta przed ponoszeniem kosztów farmakoterapii. Rozwiązanie takie odciążałoby również lekarzy zajmujących się pacjentami w najcięższym stanie, tych leczonych właśnie w szpitalu. Liczymy, że Ministerstwo Zdrowia ustosunkuje się pozytywnie do tych rekomendacji, aby zwiększyć dostęp pacjentów do leczenia biologicznego.

W latach 2024-2029 około 100 terapii biologicznych utraci wyjątkowość rynkową, co spowoduje pojawienie się konkurencji na rynku i spadek cen, a więc możliwość leczenia większej liczby chorych. W celu lepszego wykorzystania tak dużego potencjału, ogromnym wyzwaniem jest optymalizacja systemów warunkujących dostęp do leków biologicznych w warunkach ambulatoryjnych i domowych, a poprzez to odciążenie szpitali.

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

PARTNERZY/SPONSORZY:



LEKI
BIOLOGICZNE
DLA POLSKI
KRAJOWI PRODUCENCI LEKÓW



SERVIER
moved by you

⁵⁷ Rekomendacja nr 65/2023 z dnia 30 czerwca 2023 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie wprowadzenia do wykazu świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej, świadczenia opieki zdrowotnej dedykowanego terapii dla osób przewlekle chorych.

https://bjpold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2023/015/REK/2022%2006%2030%20BP%20Rekomendacja%2065%202023_BIP.pdf