



## Optymalizacja poprzez wczesną interwencję. Czy uda się uniknąć przyszłych kosztów finansowych i społecznych stwardnienia rozsianego w Polsce?

Stwardnienie rozsiane (SM) jest przewlekłą, postępującą i wielogniskową chorobą ośrodkowego układu nerwowego (OUN). Charakteryzuje się stanem zapalnym, demielinizacją i zmianami zwyrodnieniowymi. Bezpośrednia przyczyna choroby nie jest znana, ale przyjmuje się uwarunkowania autoimmunologiczne. Początkiem SM – głównie u młodych dorosłych – jest pojawienie się klinicznie izolowanego zespołu objawów (*clinically isolated syndrome* – CIS) o podłożu demielinizacyjnym. Następnie u większości pacjentów choroba przebiega jako postać rzutowo-remisyjna (*relapsing-remitting multiple sclerosis* – RRMS). Charakteryzuje się ona występowaniem okresów rzutów przeplatanych fazami bezobjawowymi – remisji. Według różnych szacunków ta postać stanowi 60–80 proc. wszystkich przypadków SM. U części pacjentów choroba przekształca się w postać wtórnie postępującą (*secondary progressive multiple sclerosis* – SPMS). U pozostałych chorych (15 proc.) przebieg jest pierwotnie postępujący (*primary progressive multiple sclerosis* – PPMS).

## Epidemiologia

Stwardnienie rozsiane zwykle rozpoczyna się w wieku 20–40 lat i dotyka dwa do trzech razy więcej kobiet niż mężczyzn. We wszystkich przypadkach stan zapalny w obrębie OUN prowadzi do stopniowej utraty jego funkcji. Objawy kliniczne i strukturalne w przebiegu SM są spowodowane zniszczeniem mieliny w obrębie aksonu, co powoduje utratę jego funkcji z następczym brakiem przewodzenia impulsu nerwowego. Opisany proces patologiczny jest nieodwracalny.

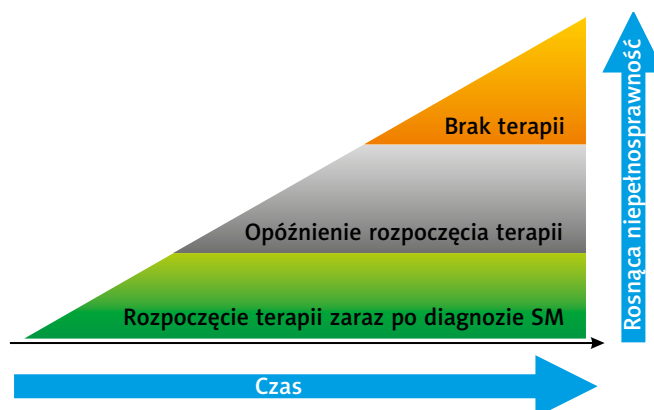
Z racji progresji i nieodwracalności zmian SM stanowi najczęstszą przyczynę niepełnosprawności nietraumatycznej w populacji młodych dorosłych. W 2016 r. odnotowano ok. 2,2 mln przypadków SM na świecie, ok. 19 tys. zgonów z powodu SM oraz 1,1 mln DALYs (*disability adjusted life-years* – lat życia skorygowanych niesprawnością). W Polsce w 2016 r. było 418 (330–547) zgonów z powodu SM, zdiagnozowanych 36 049 (31 697–42 604) chorych oraz 21 855 (17 916–26 607) DALYs [GBD 2016 Multiple Sclerosis Collaborators, Lancet 2019].

## Szybkie rozpoznanie i skuteczne leczenie

Aktywność choroby i jej następstwa są różne u poszczególnych osób, jednak nieleczone albo nieskutecznie leczone SM prowadzi do systematycznego pogarszania się stanu pacjenta, a w konsekwencji do jego niesprawności. Z tego względu tak ważne jest szybkie rozpoznanie i w razie potrzeby wdrożenie leczenia, a następnie monitorowanie efektów oraz zmiana terapii w zależności od rozwoju choroby. Chociaż SM jest nieuleczalne, to postęp w dziedzinie farmakoterapii przyniósł przełom w zakresie zahamowania rozwoju choroby.

Obecne wytyczne kliniczne The European Committee for Treatment and Research in Multiple Sclerosis (ECTRIMS) oraz European Academy of Neurology (EAN) umożliwiają zachowanie standardu jakościowego i homogenności leczenia w całej Europie [ECTRIMS/EAN, 2018]. Nowoczesne leki zmieniają przebieg stwardnienia rozsianego. Wcześniej pacjenci byli skazani na postępującą niesprawność. Dzisiaj podstawowym celem terapii modyfikującej chorobę (*disease-modifying treatment* – DMT) jest zatrzymanie jej postępu, rozumiane jako nieobecność rzutów, brak progresji w skali niewydolności ruchowej EDSS oraz niewystępowanie nowych zmian w badaniu rezonansu magnetycznego.

Leki modyfikujące przebieg choroby są najlepszą dostępną obecnie strategią spowalniającą naturalną progresję SM. W publikacji Giovannoni i wsp. (2016) udowodniono, że w leczeniu SM fundamentalny jest możliwie krótki czas od diagnozy do rozpoczęcia farmakoterapii. Wykazano, że szybkie wdrożenie skutecznego leczenia modyfikującego chorobę hamuje jej progresję i gwarantuje lepsze rokowanie w kontekście utrzymania sprawności oraz zahamowania postępowania inwalidztwa.



**Rycina 1.** Zależność między czasem wprowadzenia terapii modyfikującej chorobę a rokowaniem pacjenta

Źródło: Giovannoni G et al. *Brain health: time matters in multiple sclerosis. Multiple Sclerosis and Related Disorders* 2016; 9: S5-S48.

## Czas ma znaczenie

Potwierdza to również publikacja Cerqueira i wsp. (2018), w której autorzy wykazują, że jak najszybsze wdrożenie terapii modyfikującej chorobę znacząco wpływa na poprawę jakości życia osoby z SM. Autorzy dobitnie stwierdzili, że w leczeniu SM „czas ma znaczenie” przez całą ścieżkę pacjenta (*patient's pathway*). Rozpoczęcie DMT ok. 2 lata wcześniej u osób z RRMS może skutkować dłuższym czasem do trwałej niepełnosprawności, mniejszą liczbą nowych zmian, niższym odsetkiem nawrotów, zmniejszonym ryzykiem przejścia choroby w postać SPMS i lepszymi długoterminowymi wynikami, co potwierdzają badania kliniczne z randomizacją i dowody ze świata rzeczywistego [The PRISMS Study Group i University of British Columbia MS/MRI Analysis Group 2001; Johnson i wsp. 2005; Kappos i wsp. 2006; Rovaris i wsp. 2007; Trojano i wsp. 2007; Trojano i wsp. 2009; Bermel i wsp. 2010; Ebers i wsp. 2010; Goodin i wsp. 2012a; Goodin i wsp. 2012b; Agius i wsp. 2014; Kappos i wsp. 2015]. Także autorzy polskiej publikacji [Kułakowska i wsp. 2019] stwierdzili, że występuje dodatnia korelacja między czasem rozpoczęcia leczenia a wyższym początkowym wynikiem w skali EDSS. Dowody wskazują również, że w przypadku wcześniejszego leczenia SM występuje tendencja do niższych całkowitych kosztów pośrednich i bezpośrednich [Kanavos i wsp. 2016]. Można więc stwierdzić, że optymalizacja terapii SM poprzez wczesną interwencję – wdrożenie DMT – pozwala na zahamowanie i odwleczenie w czasie osobniczych i społecznych konsekwencji i kosztów tej choroby.

Wynika z tego, że kluczowym warunkiem skutecznej terapii mającej na celu zahamowanie postępu choroby i rozwoju niepełnosprawności jest jak najkrótszy czas od pojawienia się pierwszych objawów SM do postawienia diagnozy oraz od postawienia diagnozy do rozpoczęcia terapii. Hobart i wsp. (2018) stwierdzili, że czas od wystąpienia pierwszych objawów SM do posta-



„W ocenie efektywności leczenia chorego na SM powinny być uwzględniane takie efekty zdrowotne, jak: brak nowych zmian w mózgu, zahamowanie progresji niepełnosprawności oraz brak rzutów”

wienia diagnozy przez neurologa może wynosić maksymalnie 2 miesiące, możliwe jest osiągnięcie czasu 4 tygodni, natomiast ambitnym celem powinny być 2 tygodnie. To samo opracowanie rekomenduje maksymalnie 4 tygodnie od ustalenia rozpoznania SM na wdrożenie leczenia modyfikującego chorobę, 2 tygodnie jako możliwe do osiągnięcia oraz 1 tydzień jako cel ambitny.

### W Polsce ponad 3 lata

Według najnowszych publikacji [Walczak i wsp. 2019] czas od wystąpienia pierwszych objawów SM do postawienia diagnozy w Polsce wynosi średnio 1,5 roku, natomiast czas od postawienia diagnozy do rozpoczęcia DMT – średnio 2,5 roku. Podobne wyniki zaprezentowali w swojej publikacji Kułakowska i wsp. (2019) – gdzie średni czas od wystąpienia pierwszych objawów stwardnienia rozsianego do postawienia diagnozy przez neurologa wyniósł w Polsce 24,5 miesiąca (2 lata), a średni czas do wdrożenia DMT od ustalenia rozpoznania SM wyniósł 39 miesięcy (ponad 3 lata).

Bardzo długi czas oczekiwania na rozpoczęcie DMT w Polsce obrazują również realne dane (*real world data* – RWD) zbierane przez NFZ dotyczące czasu oczekiwania na świadczenia w ramach programów lekowych w zakresie SM. W czerwcu 2019 r. w kolejkach do obu programów lekowych NFZ oczekiwało aż 625 chorych ze zdiagnozowanym SM. Na leczenie w ramach pierw-

szej linii czekało aż 615 chorych z diagnozą SM, a do programu leczenia w ramach drugiej linii – 10 chorych. Zjawisko to pokazuje główne wyzwanie, jakim jest skracanie czasu od diagnozy do rozpoczęcia DMT u chorych na SM w Polsce.

### Czechy – rejestr SM

Wynika z tego, że w Polsce należy wdrożyć optymalizację modelu opieki nad chorymi na SM zmierzającą do zabezpieczenia szybkiego dostępu pacjentów do technologii lekowych zalecanych przez standardy kliniczne. Jednym z rozwiązań może być model czeski, który pokazuje, w jakim kierunku powinna zachodzić optymalizacja leczenia SM w Polsce. Od 2012 r. Czesi mają ustawowy obowiązek włączenia leków modyfikujących chorobę w ciągu 28 dni od postawienia diagnozy SM. Od 2013 r. w Czechach działa krajowy rejestr stwardnienia rozsianego – ReMuS (Multiple Sclerosis Patient Registry). Celem stworzenia rejestru było uzyskanie wiarygodnych, reprezentatywnych i długoterminowych danych na temat SM, wpływu czynników środowiskowych na tę chorobę oraz efektów leczenia (w tym porównanie skuteczności poszczególnych leków i kosztów terapii). Dane uzyskane z rejestru są ważnymi argumentami w procesie negocjacji z lokalnymi władzami. Najnowszy raport – z marca 2019 r. informuje, że w rejestrze odnotowano ogółem ok. 13 tys. chorych na SM, w tym 11 tys. stosujących DMT. Aż 75 proc. chorych na SM w czeskim rejestrze było aktywnych zawodowo. Populacja Czech wynosi ok. 11 mln osób, co stanowi ok. 30 proc. populacji Polski (38 mln). W Polsce obecnie DMT stosuje ok. 15 tys. chorych na SM (30 proc. zdiagnozowanych 45 tys. chorych), natomiast w Czechach 11 tys. chorych (65 proc. zdiagnozowanych 17 tys. chorych). Osiągnięcia Czech w zakresie bardzo dobrej opieki i szybkiego dostępu chorych na SM do DMT zostały zauważone w Indeksie Stwardnienia Rozsianego 2019 [FutureProofing Healthcare, 2019], w którym Czechy zajęły 12. miejsce na 30 krajów Europy.

### Niemcy – lider w Europie

Pierwsze miejsce w Indeksie Stwardnienia Rozsianego 2019 zajęły Niemcy z 71 punktami na 100 możliwych i jako jedyny kraj spośród 30 przekroczyły barierę 70 punktów. Drugie miejsce zajęła Dania z 64 punktami. Średnia europejska wyniosła 47 punktów. Polska zajęła 17. miejsce z 44 punktami. Przykład liderów – Niemiec i Danii – potwierdza przedstawione wcześniej dane na temat fundamentalnej roli czasu wdrożenia DMT w zahamowaniu rozwoju SM i przez to optymalizacji opieki nad chorym. W Niemczech chorzy na SM mają dostęp do terapii modyfikującej chorobę właściwie zaraz po zarejestrowaniu jej w Unii Europejskiej. W efekcie Niemcy mają najwyższy odsetek chorych na SM leczonych farmakologicznie – 70 proc. Od dwóch dekad diagnostyka i leczenie SM w Niemczech to jeden z krajowych



prioritytetów. Poczyniono duże wysiłki, aby w całym kraju lekarze stosowali się do krajowych i międzynarodowych wytycznych klinicznych, w których uwzględniono innowacyjne metody leczenia. Pełny koszt leków modyfikujących przebieg choroby jest zwracany przez rząd bez ograniczeń czasu trwania terapii. Koszty leczenia objawów są również w pełni pokrywane. W wyniku szerokiego dostępu do leków oraz kompleksowej opieki zdrowotnej i socjalnej Niemcy raportują najniższy poziom niepełnosprawności – tylko 10 proc. chorych na SM w Niemczech jest umiarkowanie zależna od opiekunów. Także w Danii odsetek chorych na SM leczonych lekami modyfikującymi przebieg choroby jest wysoki, a odsetek nowoczesnych leków w terapii SM w Danii (leki drugiej linii w Polsce) jest jednym z najwyższych w Europie – ok. 30 proc. (w Polsce wynosi on ok. 8 proc. wszystkich DMT – ok. 1,2 tys. chorych).

### Pozytywny trend

Bardzo pozytywnym trendem jest skracanie czasu oczekiwania na refundację DMT z pieniędzy publicznych w Polsce od zarejestrowania leku w Unii Europejskiej. Warto podkreślić, że od listopada 2019 r. wszystkie leki ujęte w standardach terapii SM opracowanych przezECTRIMS/EAN są refundowane w ramach programów lekowych finansowanych przez NFZ.

Instytut Zarządzania w Ochronie Zdrowia Uczelni Łazarskiego od 2014 r. prowadzi przekrojowe prace badawcze na temat opieki nad chorymi na SM w Polsce. W cyklicznych raportach (IZWOZ 2014, 2016 i 2018) monitorowano poprawę dostępu chorych na SM do DMT, rozwój modelu opieki w kierunku kompleksowości i koordynacji oraz dostęp do rehabilitacji leczniczej i świadczeń socjalnych.

Przeprowadzone analizy udowadniają, że finansowanie leków modyfikujących przebieg SM jest realizacją opieki zorientowanej na wartość z perspektywy każdego pacjenta i społeczeństwa. Podjęte w polskim systemie inwestycje w rozszerzenie dostępu do nowoczesnych terapii i poprawę organizacji opieki przyniosły zwiększenie aktywności społecznej i produktywności ponad 15 tys. aktualnie leczonych chorych. W Polsce ok. 60 proc. chorych na SM pracuje. Dzięki poprawie dostępu do leczenia od 2016 r. odnotowano w bazach Zakładu Ubezpieczeń Społecznych spadek liczby dni absencji chorobowej z powodu SM. W 2016 r. było 250 tys. dni absencji chorobowej z powodu SM (8 tys. mniej niż w 2015 r.), w 2017 r. – 243 tys. dni (7 tys. mniej niż w 2016 r.), a w 2018 r. – 233 tys. dni (10 tys. mniej niż w 2017 r.). Wynika z tego, że w 2018 r. (233 tys. dni) w stosunku do 2015 r. (258 tys. dni) nastąpił 10-procentowy (25 tys. dni) spadek liczby dni absencji chorobowej z powodu SM. Jednocześnie zmniejszają się koszty pośrednie utraty produktywności chorych na SM. Zakład Ubezpieczeń Społecznych wypłacił w 2015 r. ok. 300 mln zł tytułem świadczeń wyni-

„Przeprowadzone analizy udowadniają, że finansowanie leków modyfikujących przebieg SM jest realizacją opieki zorientowanej na wartość z perspektywy każdego pacjenta i społeczeństwa”

kających z niezdolności do pracy spowodowanej SM. W wydatkach ogółem dominującą pozycję stanowiły wydatki na renty z tytułu niezdolności do pracy, które pobierało ok. 19,3 tys. osób chorych na SM na łączną kwotę ok. 270 mln zł. Renty te niestety są w większości konsekwencją długoletniego, historycznego braku dostępności DMT zawartych w wytycznych klinicznych dla polskich pacjentów z SM.

### Opieka zorientowana na wartość

Należy oczekiwać, że wraz z poprawą dostępności DMT długotrwała niepełnosprawność będzie dotykała chorych na SM w późniejszych fazach życia i nie będzie istotnie wpływała na aktywność zawodową. W ocenie efektywności leczenia chorego na SM powinny być uwzględniane takie efekty zdrowotne, jak: brak nowych zmian w mózgu, zahamowanie progresji niepełnosprawności oraz brak rzutów. Pomiar efektywności terapii SM w Polsce wypełnia założenia Strategii NFZ na lata 2019–2023, która zakłada skrócenie czasu oczekiwania na świadczenia, zwiększenie kompleksowości opieki nad chorymi na SM, poprawę jakości usług medycznych oraz wspieranie świadczeniodawców w osiągnięciu wyższej efektywności i jakości. Za Polskim Towarzystwem Neurologicznym należy również wspierać wprowadzanie programów wielospecjalistycznej opieki koordynowanej w SM z wieloletnim planem leczenia i rehabilitacji dla każdego chorego.

Opieka nad chorymi na SM w Polsce ma szansę stać się modelowym przykładem ochrony zdrowia zorientowanej na wartość. Powinna opierać się na dwóch filarach: realnym i szybkim dostępie chorych na SM do DMT zalecanych przez europejskie standardy oraz optymalizacji modelu opieki w kierunku jej kompleksowości i koordynacji. Umożliwi to chorym utrzymanie możliwie długo sprawności i dobrej jakości życia, co również przełoży się na mniejsze koszty społeczne, zahamowanie przyrostu lat życia skorygowanych niepełnosprawnością i utrzymanie produktywności.

*dr n. med. Jakub Gierczyński,  
MBA ekspert Instytutu Zarządzania w Ochronie Zdrowia,  
Center of Value Based Healthcare oraz wykładowca MBA  
w Ochronie Zdrowia Uczelni Łazarskiego*