

PRIORITIES AND CHALLENGES IN POLISH AND EUROPEAN DRUG POLICY

Agata MISIUREWICZ-GABI

PRIORYTETY W POLITYCE LEKOWEJ W ONKOHEMATOLOGII I ONKOLOGII

W chorobach onkologicznych i onkohematologicznych pojawiają się nowe terapie, które przyczyniają się do wydłużenia życia pacjentów. Choć coraz więcej z nich jest refundowanych w Polsce, nadal wielu leków u nas brakuje, a lekarze mają związane ręce. Nie tracąc nadziei na poprawę sytuacji, **SPECJALIŚCI WSKAZUJĄ, KTÓRE LEKI I SCHEMATY LEKOWE W PIERWSZEJ KOLEJNOŚCI POWINNY ZOSTAĆ OBJĘTE REFUNDACJĄ.**

Okazją do debaty na ten temat był panel „Priorytety w polityce lekowej w obszarze onkohematologii i onkologii” podczas konferencji „Priorities and challenges in Polish and European drug policy”.

W leczeniu chorych na szpiczaka plazmocytozowego wiele w ostatnim czasie się dzieje. Mamy kilka nowych refundowanych leków, czekamy też na następne. Pomimo pozytywnych zmian, które ostatnio nastąpiły, potrzeby i nadzieje pacjentów w dalszym ciągu są bardzo duże. Dla chorych najważniejszy jest czas, a na wszelkie nowe terapie trzeba zbyt długo czekać. O wiele gorzej wygląda sytuacja pacjentów z rakiem nerwowokomórkowym. Tutaj praktycznie od 3 lat w dostępie do nowoczesnych terapii nic się nie zmieniło. Chorzy z niecierpliwością czekają na program lekowy, który utknął w procedurach administracyjnych. Na dostęp do nowoczesnych

terapii, zwłaszcza w I linii leczenia, czekają też pacjenci z ostrą białaczką limfocytową. Jak widać, w obszarze onkologii i onkohematologii nadal wiele jest do zrobienia. Podczas konferencji eksperci wskazywali leki, których dostępność w najbliższym czasie powinna być priorytetem.

PROF. KRZYSZTOF GIANNPOULOS

Korzyści systemowe ze stosowania terapii doustnej są tak gigantyczne, że te formy leków, umożliwiające ich ambulatoryjne stosowanie, powinny być jak najszybciej refundowane

terapii, zwłaszcza w I linii leczenia, czekają też pacjenci z ostrą białaczką limfocytową. Jak widać, w obszarze onkologii i onkohematologii nadal wiele jest do zrobienia. Podczas konferencji eksperci wskazywali leki, których dostępność w najbliższym czasie powinna być priorytetem.

SZPICZAK PLAZMOCYTOWY

– wierzymy w dobry początek

Szpiczak plazmocytozowy stanowi 10–15 proc. wszystkich nowotworów hematologicznych i jest trzecim pod względem zachorowalno-

ści nowotworem układu krwiotwórczego w Polsce. Sytuacja chorych na szpiczaka w zakresie dostępu do nowoczesnych leków znacznie się poprawia, jednak nadal jesteśmy daleko w tyle za innymi krajami europejskimi. O tym, czym są leczeni w Polsce pacjenci ze szpiczakiem plazmocytozowym i jakie leki znajdują się obecnie w procesie refundacyjnym, opowiedział Łukasz Rokicki z Fundacji Carita.

– W ostatnim czasie sytuacja chorych na szpiczaka plazmocytozowego zmienia się na lepsze. Wierzymy, że jest to dobry początek dla kolejnych procesów rejestracyjnych, które są obecnie w toku. W maju na liście refundacyjnej pojawiły się długo

czekane leki – karfilzomib i iksazomib dla pacjentów z chorobą nawrotową i oporną. W procesie refundacyjnym mamy obecnie schemat Rd (lenalidomid z deksametazonem), schemat VRD (bortezomib, lenalidomid i deksametazon) dla chorych uprzednio nieleczonych, a także bardzo ciekawy schemat PVD (pomalidomid, bortezomib i deksametazon) dla pacjentów z chorobą oporną i nawrotową, którzy przeszli trzy linie leczenia i już nie działa u nich wcześniej podawany lenalidomid. Jak pokazują badania, schemat PVD, który jest rekomen-

dowany przez Europejskie Stowarzyszenie Hematologiczne, praktycznie dwukrotnie wydłuża czas wolny od progresji. Kolejnym lekiem, który czeka na refundację, jest daratumumab w podaniu podskórnym dla pacjentów nowych, jak również w przypadkach nawrotowych i opornych. Taka forma podania ma szczególne znaczenie w czasie pandemii. Mam nadzieję, że w dostępie do nowoczesnych terapii będziemy małymi krokami gonić czołówkę europejską i niebawem znajdziemy się na jej szczycie – mówił Łukasz Rokicki.

Jak wyjaśnił prof. dr hab. n. med. Dominik Dytfeld z Katedry i Kliniki Hematologii i Transplantacji Szpiku Uniwersytetu Medycznego w Poznaniu, prezes Polskiego Konsorcjum Szpiczakowego, mimo pojawienia się na listach refundacyjnych dwóch nowych leków i wielu pozytywnych zmian, które ostatnio nastąpiły, obecny program lekowy wymaga modyfikacji. – Brakuje nam lenalidomidu w I linii leczenia, co od wielu lat rekomendują gremia polskie i międzynarodowe. Jest to lek doustny i mało toksyczny. Kolejna nasza potrzeba to zabezpieczenie pacjentów opornych na lenalidomid, których mamy bardzo dużo, a którzy powinni być leczeni chemioterapią PVD. Tak

naprawdę niewiele w systemie refundacyjnym trzeba zmienić. Wystarczyłoby dołożyć bortezomib, który jest lekiem generycznym i niedrogim. Mam nadzieję, że zarówno lenalidomid, jak i bortezomib, które znajdują się obecnie w procesie refundacyjnym, będą niedługo refundowane. Liczę także na to, że daratumumab, który teraz jest podawany dożylnie, będzie można podawać podskórnym. Pacjent będzie wówczas krócej przebywał w szpitalu, przez co będzie mniej narażony na infekcje i powikłania związane z przetoczeniem. Chciałbym jeszcze dodać, że leki, które pojawiły się ostatnio na liście refundacyjnej, są już zarejestrowane od ponad 5 lat, a w ciągu zaledwie kilku ostatnich miesięcy Europejska Agencja Leków zarejestrowała dwie kolejne części. Jak widać, dystans do krajów, w których leczy się nowocześnie, wcale się nie zmniejsza – przekonywał prof. Dominik Dytfeld.

– Najważniejszą kwestią jest to, że nie mamy lenalidomidu w I linii leczenia. Jeżeli będziemy o tym dużo mówić, to być może uda nam się wesprzeć ideę, aby ten lek był dostępny w schemacie z deksametazonem, który już wiele lat temu został uznany za standard leczenia I linii dla chorych niekwalifikujących się do wysokodawkowej chemioterapii i autologicznej transplantacji szpiku. Lenalidomid stosujemy również w leczeniu indukującym remisję u młodszych chorych, których kwalifikujemy do transplantacji, dlatego że skuteczność tego leku immunomodulującego jest większa niż talidomidu, który stosujemy obecnie, przy mniejszej toksyczności. Czekamy też na możliwość szerszego stosowania daratumumabu, nie tylko w schemacie DvD (daratumumab, bortezomib, deksametazon). Dobrze się dzieje, że te kolejne leki wchodzi, choć niestety nie w takim tempie, jak byśmy chcieli. Rzeczywiście majowa lista przyniosła dobre wiadomości, ale też trudno jest zaspokoić wszystkie potrzeby naraz. Zdajemy sobie sprawę, że nie jest możliwe, żebyśmy uzyskali aż tak szeroki dostęp, jaki jest w aktualnych wskazaniach rejestracyjnych leków. Mam jednak nadzieję, że poruszając się małymi krokami, będziemy mogli jak najbardziej skutecznie prowadzić leczenie pacjentów ze szpiczakiem plazmocytozowym – mówiła prof. dr hab. n. med.

KONWERSACJA W OBSZARZE ONKOLOGII



Iwona Hus, kierownik Oddziału Chorób Układu Chłonnego Kliniki Hematologii Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie, prezes Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów.

Zdaniem prof. dr. hab. n. med. Krzysztofa Giannopoulosa, kierownika Zakładu Hematoonkologii Doświadczalnej Uniwersytetu Medycznego w Lublinie oraz kierownika Oddziału Hematologicznego Centrum Onkologii Ziemi Lubelskiej im św. Jana z Dukli, postęp w leczeniu szpiczaka jest naprawdę ogromny. – *Musimy w związku z tym cały czas gonić Europę Zachodnią, mając nie do końca sprawną organizację. Przykładem mogą być chorzy otrzymujący nowoczesne leczenie doustne w programach lekowych, którzy muszą dojeżdżać do dużych ośrodków, nierzadko ponad 100 km. Jest to niespotykane w krajach Europy Zachodniej. Innym elementem ograniczającym dostępność jest refundacja w określonym wskazaniu i w określonym schemacie terapeutycznym. Życzylibyśmy sobie szybszego przechodzenia do refundacji we wskazaniach zawartych w charakterystyce produktu leczniczego. Uważam, że najważniejsze w decyzjach refundacyjnych powinno być leczenie I linii, które musimy optymalizować. W szpiczaku bardzo przez nas wyczekiwany wzmocnieniem terapii byłby daratumumab w formie podskórnej dodany do schematu VTD (bortezomib, talidomid, deksametazon) – poinformował ekspert.*

PRZEWLEKŁA

białaczka limfocytowa

Przewlekła białaczka limfocytowa (PBL) jest jednym z najczęściej rozpoznawanych rodzajów białaczki u dorosłych. W Polsce choruje na nią blisko 17 tys. pacjentów, głównie powyżej 65. roku życia, mężczyźni dwa razy częściej niż kobiety. Średni odsetek 5-letnich przeżyć polskich pacjentów jest niższy o ponad 18 proc. od średniej europejskiej, głównie z powodu ograniczonego dostępu do nowoczesnego leczenia oraz diagnostyki.

– *W przypadku przewlekłej białaczki limfocytowej bardzo istotną kwestią są nowe możliwości leczenia w I linii. Wciąż nie mamy dostępu do nowych terapii celowanych dla*



W DEBACIE UCZESTNICZYLI:

- **prof. dr hab. n. med. Dominik DYTfeld** – Katedra i Klinika Hematologii i Transplantacji Szpiku Uniwersytetu Medycznego w Poznaniu, prezes Polskiego Konsorcjum Szpiczakowego
- **prof. dr hab. n. med. Krzysztof GIANNOPOULOS** – kierownik Zakładu Hematoonkologii Doświadczalnej Uniwersytetu Medycznego w Lublinie, kierownik Oddziału Hematologicznego Centrum Onkologii Ziemi Lubelskiej im. św. Jana z Dukli
- **prof. dr hab. n. med. Iwona HUS** – kierownik Oddziału Chorób Układu Chłonnego Kliniki Hematologii Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie, prezes Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów
- **Elżbieta KOZIK** – Polskie Amazonki Ruch Społeczny
- **dr hab. n. med. Jakub KUCHARZ** – Klinika Nowotworów Układu Moczowego Narodowego Instytutu Onkologii im. M. Skłodowskiej-Curie – Państwowego Instytutu Badawczego w Warszawie
- **Łukasz ROKICKI** – Fundacja Carita

chorych z niekorzystnymi zaburzeniami genetycznymi, w przypadku których wiemy, że immunoterapia nie będzie skuteczna. Wobec tego stajemy przed dylematem, jakim jest konieczność zastosowania leczenia, gdy zdajemy sobie sprawę, że nie będzie optymalne, wiedząc, że moglibyśmy wdrożyć skuteczniejszą terapię, gdyby w I linii były dostępne nowe cząsteczki. Obecnie u chorych z delecją 17p/mutacją TP53 oraz z niezmutowanymi genami IGHV powinniśmy stosować terapie celowane, takie jak ibrutinib, akalabrutynib, wenetoklaks czy idelalizyb. Liczymy także na możliwość zastosowania obinutuzumabu z wenetoklaksem w pierwszej linii leczenia

w populacji starszych chorych. Nawet jeśli ta terapia będzie droższa, to wydłuży się czas do następnego leczenia, co w konsekwencji będzie miało znaczenie nie tylko dla samych chorych, lecz także dla płatnika. Jednym z problemów, o którym też chciałbym wspomnieć, jest profilaktyka CMV. Na świecie dla pacjentów po allogenicznym przeszczepieniu szpiku jest dostępny letermowir – lek uznany i bardzo ceniony. W Polsce nie jest on refundowany i pacjenci sami muszą sobie opłacić bardzo kosztowną terapię. Myślę, że warto walczyć o tych chorych, którzy są bardziej zagrożeni i dla których taka profilaktyka może być terapią ratującą życie. Uważam,

że refundacja letermowiru w programie lekowym powinna być jednym z priorytetów – przekonywała prof. Iwona Hus.

BEZPIECZEŃSTWO TERAPII

w dobie pandemii

Co do wygody i bezpieczeństwa stosowania terapii doustnych, zwłaszcza w dobie pandemii, nie trzeba nikogo przekonywać. Podobnie jak z lekami podawanymi podskórnie, które ograniczają pobyt pacjenta w szpitalu.

– *Życzylibyśmy sobie, żeby wszystkie dostępne terapie były w formie doustnej. To rozwiązałoby wiele problemów, takich jak*

PRIORITIES AND CHALLENGES IN POLISH AND EUROPEAN DRUG POLICY

► zagrożenie ze strony koronawirusa czy dostęp do placówki medycznej. Często nasi pacjenci muszą przemierzać po 200 km, by otrzymać lek, a doustnie mogliby przyjąć go w domu. Także korzyści systemowe, ekonomiczne byłyby znaczne, ponieważ nie trzeba by pacjentów hospitalizować i przyjmować na oddziały jednodniowe. Biorąc pod uwagę czas i aktualną sytuację – terapie doustne byłyby najlepszym rozwiązaniem, choć zdajemy sobie sprawę, że nie w każdym przypadku ich zastosowanie jest możliwe – komentował Łukasz Rokicki.

– Jednym z celów naszej aktywności jest to, aby chronić pacjentów przed szpitalem czy przychodnią, gdzie ryzyko zakażenia jest duże. Stąd potrzeba stosowania terapii doustnych, czyli takich leków, jak lenalidomid, pomalidomid czy icksazomib. Bezpieczeństwo pacjentów może także poprawić podawanie, jeśli istnieje takie wskazanie, karfilzomibu raz w tygodniu zamiast dwa razy, jak to oryginalnie zostało zarejestrowane. Takie właśnie stosowanie karfilzomibu zakłada niedawno uruchomiony program lekowy Kd. Zmniejszenie liczby pobytów pacjenta w szpitalu z 6 do 3 też jest ważne w walce o jego

PROF. DOMINIK DYTFFELD

Leki, które pojawiły się ostatnio na liście refundacyjnej, są już zarejestrowane od ponad 5 lat, a w ciągu zaledwie kilku ostatnich miesięcy EMA zarejestrowała dwie kolejne cząsteczki. Jak widać, dystans do krajów, w których leczy się nowoczesnie, wcale się nie zmniejsza

bezpieczeństwo w kontekście pandemii. Jeśli daratumumab byłby podawany podskórnie, a nie dożylnie, co dla nas jeszcze nie jest dostępne, skróciłby się czas hospitalizacji. Wiemy, że skuteczne leczenie szpiczaka i opanowanie choroby zmniejsza ryzyko poważnych powikłań. Dlatego im więcej lepszych leków będziemy mieli do dyspozycji, tym bardziej choroba będzie kontrolowana i ryzyko związane z potencjalnym zakażeniem wirusem SARS-CoV-2 będzie mniejsze – tłumaczył prof. Dominik Dytffeld.

– Korzyści systemowe ze stosowania terapii doustnej są tak gigantyczne, że te formy leków, umożliwiające ich ambulatoryjne stosowanie, powinny być jak najszybciej refundowane. W przypadku daratumumabu w formie podskórnej nie powinno być tak trudnej sytuacji refundacyjnej jak w przypadku rytuksymabu. W czasie kiedy był on refundowany, weszły bowiem rytuksymaby biopodobne, w związku z czym decyzja refundacyjna niestety została cofnięta. Daratumumab nie ma biopodobnych odpowiedników. Dlatego liczę na to, że firma złoży odpowiednią ofertę do ministerstwa, ponieważ takie są oczekiwania i pacjentów, i środowiska zajmującego się pacjentami chorymi na szpiczaka plazmocytozowego – mówił prof. Krzysztof Giannopoulos.

NOWOTWÓR NERKOWOKOMÓRKOWY

– w oczekiwaniu na program lekowy Jeszcze do niedawna możliwości leczenia chorych na raka nerkowokomórkowego były niewielkie. Przełomem było pojawienie się terapii celowanych, które hamują wzrost komórek nowotworowych i zapobiegają tworzeniu się naczyń krwionośnych dostarczających nowotworowi substancji odżywczych. Obecnie standardem leczenia w zaawansowanym raku nerki są terapie

celowane oraz immunoterapia, na razie niedostępna dla polskich pacjentów w I linii leczenia. Pacjenci i klinicyści czekają w związku z tym na nowy program lekowy, który przyniósłby rozwiązania w tym zakresie.

– Obecny program lekowy nie przystaje do nowoczesnej praktyki klinicznej ani do wytycznych towarzystw naukowych. Grono ekspertów przygotowało nowy program, który został przekazany do Ministerstwa Zdrowia. Proponowane zmiany w programie lekowym są fundamentalne – wyjaśnił dr hab. n. med. Jakub Kucharz. – Mamy nadzieję,

PROF. IWONA HUS

Na świecie dla pacjentów po allogenicznym przeszczepieniu szpiku jest dostępny letermowir – lek uznany i bardzo ceniony.

W Polsce nie jest on refundowany i pacjenci sami muszą sobie opłacić bardzo kosztowną terapię

że wkrótce będziemy mieli dostęp do nowoczesnych terapii, przede wszystkim w I linii leczenia, kiedy to uzyskujemy najwięcej korzyści. Oczywiście dostępność nowych terapii wpływa na strategię oraz sekwencję leczenia, dlatego program lekowy wymaga bardzo daleko idących zmian – dodał.

Ekspert mówił także o potrzebach terapeutycznych pacjentów z niejasnokomórkowym rakiem nerki, którzy stanowią ok. 15 proc. chorych. – To pacjenci, którzy mają bardzo ograniczony dostęp do leczenia systemowego. W tej chwili w programie lekowym dostępny jest dla nich zaledwie jeden lek – temsirolimus, i to pod warunkiem, że są w grupie niekorzystnego rokowania wg MSKCC.

Zdaniem Elżbiety Kozik z Ruchu Społecznego Polskie Amazonki zarówno w I linii, jak i w III linii nie mamy obecnie dla pacjentów żadnego nowoczesnego leczenia. – Rok temu zaczęliśmy rozmowy z Ministerstwem Zdrowia. Wtedy pojawiła się wiadomość, że przygotowujemy nowelizację programu lekowego. Niestety do dzisiaj nie otrzymaliśmy w tej sprawie żadnych informacji. Tymczasem wyniki badań pokazują, że leczenie skojarzone zastosowane w I linii pozwala wydłużyć życie pacjenta i czas wolny od progresji, a jednocześnie zachować dobrą jakość życia, a niejednokrotnie w ogóle je uratować – przekonywała.

NERKA jest modna

Elżbieta Kozik wspomniała, że w raku nerkowokomórkowym tak naprawdę od 3 lat nie wprowadzono żadnej zmiany w dostępie do nowoczesnych terapii. – To nas w jakiś sposób zainspirowało i rok temu zaczęliśmy kampanię „Nerka jest modna”. Zdaliśmy sobie sprawę, że temat tego nowotworu nikogo nie obchodzi i leży odłogiem.

Dlatego postanowiliśmy, że będziemy edukować i mówić o diagnostyce i leczeniu. Na naszych wszystkich nośnikach wskazujemy, jak się obserwować, a także w jaki sposób rozmawiać z lekarzem i prosić go o dodatkowe badania profilaktyczne. Chcemy też u lekarzy pierwszego kontaktu rozbudzić większą czujność onkologiczną, by raz na jakiś czas kierowali pacjentów na badanie USG jamy brzusznej. To wiele nie kosztuje, a byłoby skuteczną profilaktyką, ponieważ rak nerki długo nie daje żadnych objawów, w związku z czym często jest wykrywany przypadkowo i dopiero w stanie zaawansowanym – proponowała Elżbieta Kozik.

PROPOZYCJE PROGRAMU LEKOWEGO dla pacjentów z rakiem nerki

Jak mówił dr hab. Jakub Kucharz, w kwestii decyzji refundacyjnych oczekujemy dostępu do immunoterapii, tzn. skojarzenia dwóch leków immunokompetentnych lub leku immunokompetentnego z inhibitorem kinazy tyrozynowej w I linii leczenia.

– Tak naprawdę monoterapia inhibitorem kinazy tyrozynowej powinna być stosowana u pacjentów z grupy o korzystnym rokowaniu, a w pozostałych grupach jedynie wtedy, gdy są przeciwwskazania do zastosowania immunoterapii. Kolejna kwestia, która wymaga zmian, to zapisy programu lekowego wpływające na samą strategię leczenia. Dla przykładu u większości pacjentów z wyjściowo uogólnioną chorobą wykonywana jest nefrektomia cytotoredukcyjna, co do której z kolei wiemy, że w dużej grupie chorych nie przynosi korzyści w odniesieniu do wyników leczenia. Pacjenci po wykonaniu biopsji gruboigłowej, czy to z ogniska pierwotnego, czy to z przerzutowego, powinni być kierowani do leczenia systemowego. Oczekujemy, aby decyzja o wykonaniu nefrektomii była po stronie lekarza, a nie podyktowana zapisami programu lekowego. Kolejna kwestia dotyczy zapisów programu odnoszących się do konkretnych parametrów laboratoryjnych, takich jak stężenie hemoglobiny w momencie kwalifikacji do leczenia. Doprowadza to do sytuacji, kiedy musimy w sposób bardzo restrykcyjny kierować się badaniami laboratoryjnymi. Uważam, że takich zapisów nie powinno być w programie lekowym, kryteria powinny być oparte na charakterystyce produktu leczniczego i pozostawione do indywidualnej oceny klinicznej. Jeśli chodzi o III linię leczenia, kwalifikuje się do niej ok. 10–15 proc. pacjentów leczonych systemowo. Jest to nieduża grupa chorych, często w dobrym stanie ogólnym, u których zastosowanie kolejnej linii leczenia pozwala na dalszą kontrolę choroby. Wyniki badań wskazują, że postępowanie to ma uzasadnienie naukowe, co znalazło odzwierciedlenie w wytycznych towarzystw onkologicznych oraz urologicznych. Obecnie poza badaniami klinicznymi oraz procedurą ratunkowego dostępu do technologii lekowych nie dysponujemy możliwością leczenia tych chorych – wyjaśnia ekspert. ■

KOMENTARZ MINISTRA MACIEJA MILKOWSKIEGO dotyczący bieżącej sytuacji dostępny w formie wideo na stronie termedia.pl/mz

