

PRIORITIES AND CHALLENGES IN POLISH AND EUROPEAN
DRUG POLICY

Nowe leki dają lepsze, szybsze i bardziej długotrwałe efekty

Nowe terapie w takich schorzeniach, jak nieswoiste zapalenia jelit (choroba Leśniowskiego-Crohna oraz wrzodziejące zapalenie jelita grubego), łuszczyca i atopowe zapalenie skóry (AZS) pozwalają na zatrzymanie choroby i normalne funkcjonowanie chorego. Kluczowe jest zapewnienie polskim pacjentom dostępu do tych terapii. W ramach międzynarodowej konferencji *Priorities and Challenges in Polish and European Drug Policy* odbyła się sesja „Pacjent w centrum uwagi. Choroby autoimmunologiczne”. Jakie są dziś możliwości diagnozowania i leczenia chorób autoimmunologicznych? Jakie są najpilniejsze potrzeby?

terapii zarówno pod kątem chorób współistniejących, jak i aktywności zawodowej pacjenta. Na pewno zależy nam na tym, żeby chorzy mogli funkcjonować normalnie. Żeby byli leczeni na takim poziomie, aby nie wypadać z rynku pracy – dodała Dagmara Samselska. Dane wskazują, że co 10. osoba z łuszczyką straciła pracę z powodu choroby.

Chorzy często zamykają się w domu. Pacjenci postulują o umożliwienie dostępu do wszystkich terapii. Zależy im na tym, by normalnie żyć, pracować, zakładać rodziny. Żeby choroba nie upośledzała ich jakości życia.

Możliwości diagnozowania i leczenia łuszczyki w Polsce

Wiele chorób autoimmunologicznych jest do siebie podobnych. Są to przewlekłe choroby zapalne, których leczenie należy zacząć jak najszybciej, na jak najwcześniejszym etapie. – *Wówczas bowiem jesteśmy w stanie zapewnić pacjentowi najlepszy efekt kliniczny, jeśli chodzi o skuteczność terapii* – podkreśliła prof. dr hab. n. med. Joanna Narbutt, kierownik Kliniki Dermatologii, Dermatologii Dziecięcej i Onkologicznej Uniwersytetu Medycznego w Łodzi, konsultant krajowa w dziedzinie dermatologii i wenerologii. Taką właśnie chorobą jest łuszczyca – przewlekła choroba zapalna, której leczenie należy rozpocząć jak najszybciej. Wtedy terapia będzie najskuteczniejsza, a remisja kliniczna bez stosowania leczenia podtrzymującego utrzyma się maksymalnie długo. Niestety, nadal mamy bardzo duże opóźnienie w rozpoczynaniu terapii. – *Być może pacjenci są nieświadomi tego, co mogą w tym momencie otrzymać. Być może edukacja, którą wciąż prowadzimy również wśród lekarzy, jest niewystarczająca. Pacjenci za późno otrzymują leczenie ogólne* – mówiła prof. Joanna Narbutt. Wciąż istnieje błędne przekonanie, że łuszczyca jest chorobą tylko i wyłącznie skóry. Tak nie jest. Mamy do czynienia z tzw. marszem łuszczykowym, który może doprowadzić do powikłań sercowo-naczyniowych czy metabolicznych. Większość pacjentów leczy się w domu, bo nowe terapie to głównie leki podskórne. – *Poza tym, że zbyt późno rozpoczynamy leczenie, brakuje nam nielimitowanej możliwości kontynuowania najnowszych terapii. Jest to możliwe*

Pacjenci, u których diagnozowane są choroby autoimmunologiczne, to osoby młode, mające przed sobą całe życie osobiste i zawodowe. W procesach terapeutycznych największym problemem są przerwy w podawaniu leków. Utrudniony bywa dostęp do lekarzy specjalistów, zwłaszcza w małych miejscowościach.

Tak leczy cały świat. My jesteśmy w tyle

– *Nasza fundacja pomaga chorym, kierując ich do ośrodków dysponujących większym wachlarzem metod terapeutycznych. Można tam zastosować terapie, do których nie ma dostępu poza szpitalami, np. leki biologiczne w programach lekowych* – podkreśliła Dagmara Samselska, prezes Amicus Fundacja Łuszczyki i ŁZS.

Amicus postuluje w imieniu pacjentów o zniesienie limitów czasowych w terapiach oraz sukcesywne włączanie nowych cząsteczek i innowacyjnych metod również w odniesieniu do dzieci i młodzieży.

– *Już zgłaszają się do nas rodzice dzieci [chorych na łuszczykę – przyp. red.], które tracą odpowiedź na dotychczasowe leczenie biologiczne. Rodzice boją się, co będzie dalej, ponieważ lekarze nie mają dla nich propozycji równie efektywnej jak dotychczasowa* – mówiła przedstawicielka środowiska pacjentów.

Bardzo istotne jest ujednoczenie zapisów programu lekowego, aby leki można było stosować zgodnie z charakterystyką produktu leczniczego i wytycznymi medycznymi. – *Tak leczy cały świat. My ciągle jesteśmy gdzieś w tyle. Ważne jest też włączanie kolejnych cząsteczek, coraz bardziej innowacyjnych, żeby lekarze mieli szeroki wybór i możliwość indywidualizowania*



Anna Kapros-Fijołek

zdrowotne



Fot. Patryk Byszczak

W DEBACIE UCZESTNICZYLI:

- **prof. dr hab. n. med. Joanna Narbutt** – kierownik Kliniki Dermatologii, Dermatologii Dziecięcej i Onkologicznej, Uniwersytet Medyczny w Łodzi, konsultant krajowa ds. dermatologii i wenerologii
- **prof. dr hab. n. med. Grażyna Rydzewska** – kierownik Kliniki Chorób Wewnętrznych i Gastroenterologii, Centralny Szpital Kliniczny MSWiA w Warszawie, Polskie Towarzystwo Gastroenterologii
- **Dagmara Samselska** – prezes Amicus, Fundacja Łuszczycy i ŁZS
- **prof. dr hab. n. med. Irena Walecka** – Klinika Dermatologii, Centralny Szpital Kliniczny MSWiA w Warszawie

tylko u pacjentów leczonych inhibitorami TNF- α . To bardzo duża grupa, więc świetnie, że tak się stało. W innych przypadkach mamy dwuletni okres leczenia. Po tym czasie niezależnie od reakcji pacjenta na terapię i efektu klinicznego jesteśmy zmuszeni do odstawienia leczenia. Chcielibyśmy jeszcze dodać kolejny inhibitor interleukiny 17, innowacyjny lek, który już jest w procesie refundacyjnym. Myślę, że spełni oczekiwania wielu chorych – mówiła prof. Joanna Narbutt. W tym momencie priorytetem jest zniesienie administracyjnego limitowania czasu terapii. Z wielu wyliczeń ekonomicznych wynika, że w odniesieniu chociażby do inhibitorów interleukiny 17 czy 23 nie będzie to miało istotnego wpływu na budżet, tym bardziej że trzeba wziąć pod uwagę występowanie u pacjentów chorób towarzyszących, nawrotów oraz wszystkie koszty pośrednie.

Najważniejsze jest więc obecnie zniesienie limitów czasowych dla wszystkich leków, w tym inhibitorów interleukiny 17 i 23, wcześniejsze wdrażanie terapii i uzupełnienie o jeden lek.

O doświadczeniach z programem lekowym B.47 oraz o kierunkach jego optymalizacji mówiła prof. dr hab. n. med. Irena Walecka z Kliniki Dermatologii Centralnego Szpitala Klinicznego MSWiA w Warszawie. – Naszym największym utrapieniem i bólem jest ogromna liczba procedur administracyjnych i związana z tym ilość papierów, które zabierają nam czas, jaki chcielibyśmy przeznaczyć dla pacjentów – stwierdziła.

Ogromnym problemem jest też leczenie dzieci z łuszczycą umiarkowaną do ciężkiej. – W programie lekowym, który obejmuje pacjentów dopiero od 6. roku życia, mamy do dyspozycji tylko jeden lek

biologiczny. Jeżeli dziecko nie odpowiada na terapię lub utraci adekwatną odpowiedź, musimy wnioskować o ratunkowy dostęp do technologii lekowych, co znów wiąże się z wieloma procedurami administracyjnymi. Jest jeszcze kilka leków biologicznych, które mają rejestrację dla dzieci z tym wskazaniem i powinny się znaleźć w programie B.47, tak jak w przypadku pacjentów powyżej 18. roku życia. Skuteczne i szybkie leczenie jest bardzo ważne nie tylko dla samych chorych, lecz także dla ich rodzin, a jak wiadomo, w przypadku dzieci w proces terapii zaangażowani są również rodzice, którzy nie mogą pracować, biorą zwolnienia – podkreśliła prof. Irena Walecka.

Leczenie biologiczne nie jest bardzo drogie, zwłaszcza jeśli weźmiemy pod uwagę inne koszty związane z chorobą, takie jak pobyty w szpitalu, cena innych stosowa-

nych leków, absencja chorobowa w pracy. Jak najszybciej powinny zostać zdjęte ograniczenia administracyjne dotyczące czasu leczenia łuszczycy. W Polsce poprawił się, i to znacząco, dostęp do leków biologicznych, ale na świecie pojawiają się coraz nowsze cząsteczki. – Chcemy leczyć naszych pacjentów nowymi lekami, które dają im szansę na szybszy i bardziej długotrwały efekt, czyli czystą skórę – mówiła prof. Irena Walecka.

Leczenie AZS

Od 2021 r. pacjenci z AZS uzyskali dostęp do terapii biologicznej. Obecne możliwości diagnozowania i leczenia AZS w Polsce w kontekście wytycznych klinicznych, refundowanych leków i modelu opieki przedstawiła prof. Joanna Narbutt.

Atopowe zapalenie skóry jest stosunkowo częstą chorobą. Częstość jej występowania jest zróżnicowana w poszczególnych grupach wiekowych. Przeważnie jest diagnozowana u małych dzieci. Zwykle ma postać łagodną, jednak jest grupa chorych z umiarkowanymi i ciężkimi postaciami AZS. Atopowe zapalenie skóry często współistnieje z chorobami alergicznymi: astmą, alergią pokarmową, atopowym zapaleniem spojówek czy alergicznym nieżytem nosa. U części chorych nie występują jednak alergię. Cecha wspólna AZS to rozległy stan zapalny na skórze, charakterystyczny jest bardzo silny świąd skóry. Powoduje on – szczególnie u dzieci i młodzieży, ale także u dorosłych – poważne zaburzenia osobowości: problemy ze snem, depresję, trudności z nawiązywaniem kontaktów społecznych. Wpływa to na całą rodzinę chorego. – Proszę sobie wyobrazić, że państwa dziecko noc w noc nie śpi, bo je swędzi skóra... Nie ma leków starszej generacji, które hamują świąd. Leki przeciwhistaminowe w tym przypadku nie działają, preparaty miejscowe również. W związku z tym w umiarkowanych i ciężkich postaciach, niezależnie od wieku pacjenta, konieczne jest opanowanie stanu zapalnego i przerwanie tego magicznego, krytycznego łańcucha – koła świądowego. Dlatego włączane są leki ogólne – tłumaczyła prof. Joanna Narbutt.

Jesteśmy świadkami przełomu w leczeniu AZS. W Europie obecnie jest zarejestrowanych kilka substancji czynnych, z czego w Polsce refundowana jest jedna – tylko w ciężkiej postaci choroby u osób

PRIORITIES AND CHALLENGES IN POLISH AND EUROPEAN DRUG POLICY



Fot. Patryk Rydzik



Fot. Patryk Rydzik



Fot. Patryk Rydzik



Fot. Patryk Rydzik

”

prof. Joanna Narbutt: Leczenie należy zacząć jak najszybciej, na jak najwcześniejszym etapie. Wówczas bowiem jesteśmy w stanie zapewnić pacjentowi najlepszy efekt kliniczny

powyżej 18. roku życia. Należy rozszerzyć program lekowy z dupilumabem, aby był dostępny dla młodzieży, oraz dodać do niego nowe leki, dla osób dorosłych i szczególnie dla młodzieży od 12. roku życia. – *Pojawiły się nowe cząsteczki: inhibitory kinaz janusowych, np. upadacytynib czy baricytynib. Bardzo nam zależy na tym, żeby rozpocząć terapię tymi nowoczesnymi lekami u pacjentów dorosłych, a także u młodzieży. Proszę sobie wyobrazić 15- czy 16-latkę, który nie śpi... Bardzo tego potrzebujemy. To jest priorytet, jeżeli chodzi o AZS: rozszerzenie portfolio programu lekowego z dupilumabem o leczenie młodzieży, a także o nowe leki oraz o możliwość leczenia umiarkowanej postaci AZS, a nie tylko ciężkiej, również u młodzieży, a następnie dzieci. Są pozytywne rekomendacje Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji dla nowych cząsteczek i rozszerzenia grupy wiekowej pacjentów. Leki mają postać doustną, co ułatwia terapię* – dodała prof. Joanna Narbutt.

Zbyt restrykcyjne kryteria włączenia pacjenta do terapii

Możliwości diagnozowania i leczenia nieswoistych chorób zapalnych jelit w Polsce w kontekście wytycznych klinicznych, refundowanych leków i modelu opieki omówiła prof. dr hab. n. med. Grażyna

”

prof. Irena Walecka: Chcemy leczyć naszych pacjentów nowymi lekami, które dają im szansę na szybszy i bardziej długotrwały efekt, czyli czystą skórę

Rydzewska, kierownik Kliniki Chorób Wewnętrznych i Gastroenterologii Centralnego Szpitala Klinicznego MSWiA. Podkreśliła, że w ostatnim czasie w dokonał się znaczny postęp w tym zakresie. Terapia biologiczna może być stosowana tak długo, jak wymaga tego stan chorego – jak zdecyduje lekarz. Od 1 stycznia nie ma żadnych barier czasowych w leczeniu. Wreszcie stało się to, o co lekarze zabiegali latami. Ciągłe jednak kryteria włączenia do terapii są dużo bardziej restrykcyjne niż w innych krajach. – *W związku z tym leczymy trochę za późno – przyznała prof. Grażyna Rydzewska. – Jest to na pewno duży problem dla pacjentów, ponieważ żeby zakwalifikować się do leczenia biologicznego, muszą przejść serię terapii, często oddziałujących słabo bądź wcale. Kiedy już wejdą, to leczenie może być prowadzone w sposób ciągły i to jest naprawdę ogromny postęp* – dodała.

W ostatnim czasie wprowadzono nowe leki we wrzodziejącym zapaleniu jelita grubego oraz w chorobie Leśniowskiego-Crohna. – *Zabiegamy o dostępność wedolizumabu w postaci podskórnej, co bardzo poprawiłoby komfort pacjentów. Wiadomo – młody pacjent, który musi przyjeżdżać co 8 tygodni na wlew, to nie ten sam pacjent, który aplikuje sobie preparat w domu. Szczególnie wtedy, kiedy*

”

prof. Grażyna Rydzewska: Zabiegamy o dostępność wedolizumabu w postaci podskórnej, co bardzo poprawiłoby komfort pacjentów. Dzięki przejściu na doustne i podskórne formy leków chorzy nie musieliby być leczeni w szpitalu

jest w remisji. Dzięki przejściu na doustne i podskórne formy leków chorzy nie musieliby być leczeni w szpitalu – tłumaczyła prof. Grażyna Rydzewska.

Nowoczesne leki nie oznaczają droższego leczenia

Postęp cały czas trwa. Tuż za progiem są nowe cząsteczki, między innymi ozanimod. – *Mamy też nadzieję na pozytywne rozpatrzenie wniosku o refundację inhibitora receptorów sfingozyno-1-fosforanu na powierzchni limfocytów i nowych inhibitorów kinazy janusowej. Te leki są już rejestrowane w Stanach Zjednoczonych, za chwilę będą rejestrowane w Europie, liczymy też na nie w Polsce. Nie oznaczają one droższego leczenia, mamy po prostu większą różnorodność dla podobnej grupy pacjentów* – mówiła prof. Grażyna Rydzewska. Podkreśliła, że dla gastroenterologów poza poprawą dostępności leczenia, która niewątpliwie ma kluczowe znaczenie, ważna jest poprawa jakości opieki, dlatego bardzo o nią zabiegają. Zwróciła też uwagę na konieczność ulepszenia systemu opieki. – *Coraz więcej jest pacjentów w programie leczenia biologicznego, bo wydłużamy leczenie tych, którzy już weszli, i ciągle wprowadzamy nowych, ale system SMPT przyprawia nas o zawrót głowy. Coraz więcej trzeba do niego wpi-*

”

Dagmara Samselska: Ważne jest włączanie kolejnych cząsteczek, coraz bardziej innowacyjnych, żeby lekarze mieli szeroki wybór i możliwość indywidualizowania terapii zarówno pod kątem chorób współistniejących, jak i aktywności zawodowej pacjenta

sywać, a niestety niewiele można na dziś „wyciągnąć” – zauważyła prof. Grażyna Rydzewska. Wskazała, że w klinice, w której pracuje, program leczenia biologicznego obsługuje 5 lekarzy, 3 pielęgniarki i 2 sekretarki. – *To za dużo. Za duże są bariery administracyjne. Często niepotrzebne. Po co np. powielać dokumentację co 8 tygodni? Po co produkować kolejną? To są tony papieru, mnóstwo zapisów w komputerze. To musi być uproszczone* – przekonywała prof. Grażyna Rydzewska. Ekspertka przypomniała, że jeszcze przed pandemią COVID-19 został złożony projekt personalizowanej, kompleksowej opieki nad pacjentem, trwają zabiegi o stworzenie takich ośrodków. Obecnie projekt jest poprawiany i wkrótce zostanie złożony ponownie. Zakłada, że w Polsce będzie więcej tych placówek. – *Planowaliśmy minimum ponad 20 ośrodków, w których opieka byłaby na tym samym poziomie, bo miałyby one na to pieniądze. Nie zależałoby to od uznaniowości dyrektora – że jest dietetyk, psycholog, że jest dobra chirurgia. Ośrodek dostawałby trochę większe pieniądze na to, żeby na tym samym poziomie w całej Polsce zajmować się chorymi. Nie tylko w dwóch, trzech czy w czterech jednostkach. Poza dostępem do leczenia to jest kluczowa sprawa* – podkreśliła prof. Grażyna Rydzewska. ■