

Agnieszka Paculanka

# Innowacyjne leczenie chorób neurologicznych.

## Dostęp do nowych terapii

Jeden z paneli konferencji *Priorities and Challenges in Polish and European Drug Policy* był poświęcony innowacyjnemu leczeniu chorób neurologicznych. Zaproszeni eksperci dyskutowali o tym, które najnowsze technologie są już w Polsce dostępne, a także o wyzwaniach stojących przed naszym systemem opieki medycznej.

W ostatnich latach dokonała się prawdziwa rewolucja w leczeniu chorób neurologicznych. Przede wszystkim pojawiły się nowe leki dla pacjentów ze stwardnieniem rozsianym, chorobą Parkinsona, rdzeniowym zanikiem mięśni, padaczką i migreną przewlekłą. Dostępne stały się również nowe technologie, choćby trombektomia mechaniczna w leczeniu niedokrwiennego udaru mózgu.

### Nowe technologie to nowe wyzwania

– Ciągły postęp technologii medycznych stawia przed nami kolejne wyzwania – mówiła konsultant krajowa w dziedzinie neurologii prof. dr hab. n. med. Agnieszka Słowik ze Szpitala Uniwersyteckiego w Krakowie. – By w pełni wykorzystać nowe możliwości, musimy wprowadzać zmiany zarówno w diagnostyce, jak i programach lekowych czy schematach leczenia. Musimy się zmierzyć z możliwościami technologicznymi, nowym sprzętem do leczenia za pomocą głębokiej stymulacji mózgu, a także z innowacjami diagnostycznymi, takimi jak diagnostyka neuroobrazowa czy genetyczna. Przygotowujemy się na wprowadzenie nowoczesnych terapii farmakologicznych w leczeniu padaczki, przeciwciał monoklonalnych w leczeniu stwardnienia rozsianego i migreny oraz terapii związanych z modyfikacją genową. Dobrym przykładem jest możliwość leczenia udaru mózgu za pomocą trombektomii. Program pilotażowy rusza w 18 ośrodkach w całym kraju. Wprowadzamy zmiany organizacyjne, by leczyć choroby przewlekłe. Dobrze działa program lekowy dotyczący stwardnienia rozsianego. Mamy do czynienia zarówno z dużymi populacjami pacjentów, jak i chorobami rzadkimi. Wymaga to stałej aktywności środowiska neurologicznego, współpracy z ekspertami i organizacjami pacjentów. Prace nad programem lekowym



Fot. Patryk Rydzik

### W DEBACIE UCZESTNICZYLI:

- **prof. dr hab. n. med. Barbara Błaszczuk** – Wydział Nauk Medycznych, Wyższa Szkoła Ekonomii, Prawa i Nauk Medycznych w Kielcach
- **Alicja Lisowska** – Fundacja EPI-BOHATER
- **Wojciech Machajek** – Fundacja Chorób Mózgu
- **Joanna Parkitna** – dyrektor Wydziału Oceny Technologii Medycznych, Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
- **prof. dr hab. n. med. Konrad Rejdak** – kierownik Katedry i Kliniki Neurologii, Uniwersytet Medyczny w Lublinie, Polskie Towarzystwo Neurologiczne
- **prof. dr hab. n. med. Jarosław Stawek** – Oddział Neurologiczny i Udarowy, Szpital św. Wojciecha w Gdańsku, Polskie Towarzystwo Neurologiczne
- **prof. dr hab. n. med. Agnieszka Słowik** – Szpital Uniwersytecki w Krakowie, konsultant krajowa w dziedzinie neurologii

w migrenie przewlekłej są bardzo intensywne, w najbliższym czasie projekt ujrzy światło dzienne – zapowiedziała.

### Jakie nowe terapie rekomenduje AOTMiT?

– Stan prac nad nowoczesnymi terapiami w neurologii jest zaawansowany – zapewniła Joanna Parkitna, dyrektor Wydziału Oceny Technologii Medycznych Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfika-

cji (AOTMiT). – Do tej pory składano wiele wniosków o import docelowy, co świadczy o dużym zainteresowaniu pacjentów niedostępnymi w kraju terapiami. W Europie zarejestrowano dwa nowe leki na migrenę. Terapia celowa padaczki czeka na rekomendację. W 2020 r. na liście innowacyjnych terapii znalazła się fenfluramina stosowana w padaczce mioklonicznej. Grupą leków najczęściej ocenianych przez AOTMiT są leki na stwardnienie rozsiane. W tym roku

zarejestrowano dziewięć leków na choroby układu nerwowego. Sporo się dzieje, priorytety wyznacza jednak minister zdrowia. Wszystko w jego rękach – mówiła.

### Padaczka lekooporna – nowy model opieki i nowe leki

– Padaczka jest jedną z najczęstszych chorób przewlekłych, dotyka 1 proc. populacji, więc w Polsce jest to 300–400 tys. pacjentów – wyjaśnił prof. dr hab. n. med. Konrad

# PRIORITIES AND CHALLENGES IN POLISH AND EUROPEAN DRUG POLICY

Rejdak, kierownik Katedry i Kliniki Neurologii Uniwersytetu Medycznego w Lublinie, Polskie Towarzystwo Neurologiczne. – *Postawienie diagnozy jest prostym procesem, szczególnie dla doświadczonego lekarza. Trzeba jednak pamiętać, że u 20–30 proc. pacjentów mamy do czynienia z postacią lekooporną choroby. Wtedy musimy sięgać po zaawansowane techniki terapeutyczne oraz odpowiednie technologie, np. ciągłe monitorowanie EGM, badanie PET, rezonans, spektroskopię. By skrócić ścieżkę diagnostyczną i zwiększyć bezpieczeństwo pacjentów, konieczne jest więc stworzenie sieci placówek o podwyższonym stopniu specjalizacji. Chorzy powinni być tam kierowani przez neurologa lub lekarza rodzinnego – dodał.*

– *Pojawiły się nowe leki na padaczkę: stiripentol, briwaracetam, które okazały się skuteczne. W 2021 r. w Europie zarejestrowano cenobamat – nowy lek zmniejszający liczbę napadów. Wreszcie pojawiają się substancje, które dają nadzieję pacjentom z lekoopornością. Wciąż jednak brakuje rozwiązań umożliwiających uzyskanie kompletnej remisji ataków padaczki – kontynuował prof. Konrad Rejdak.*

– *Czekamy na cenobamat, nowy lek dla pacjentów z lekoopornością, który uwalnia od napadów 11–28 proc. chorych – podkreśliła prof. dr hab. n. med. Barbara Błaszczuk z Wydziału Nauk Medycznych Wyższej Szkoły Ekonomii, Prawa i Nauk Medycznych w Kielcach. – Dla osób opornych na działanie innych substancji jest on szansą na życie niezakłócone chorobą. Jego stosowanie nie jest dla pacjenta uciążliwe, przyjmuje się go raz dziennie, bez większej ilości skutków ubocznych. Czy jest to przełom? Tak. Nieskuteczne leczenie padaczki lekoopornej powoduje u pacjentów stany lękowe, objawy depresji, urazy, próby samobójcze, napady gromadne, a nawet zespół nagłej, niespodziewanej śmierci niezwiązanej z urazem (SUDEP). Dlatego nowa terapia budzi nadzieje na poprawę jakości ich życia. Jest także ekonomicznie opłacalna. Jeśli lek jest skuteczny, to nawet gdy kosztuje więcej, jest bardziej opłacalny finansowo. Mam nadzieję, że będziemy mogli dysponować cenobamatem jak najszybciej i że będzie on refundowany – dodała.*

## Pacjenci z padaczką o swoich niezaspokojonych potrzebach

– *Jestem epileptyczką. Kiedy 17 lat temu postawiono mi diagnozę, byłam leczona lekami starego typu. Przez 10 lat przyjmowałam je w różnych konfiguracjach. Po informacji, że ataki nadal występują, każdorazowo podnoszono tylko gramaturę leków i zwiększano liczbę przyjmowanych tabletek. Wreszcie, po dekadzie terapii stwierdzono, że to musi być padaczka lekooporna. Ataki, w tym całkowita utrata świadomości, występowały raz w tygodniu. W takim stanie zdrowia nie da się funkcjonować, pracować, żyć. Za każdym pacjentem powinien stać ktoś, kto mu pomoże. Dopiero dzięki własnemu uporowi, pomocy rodziny i świetnym spe-*



Fot. Archiwum prof. Agnieszka Słowik



Fot. Patryk Rydzik



Fot. Patryk Rydzik

”

prof. Agnieszka Słowik: Musimy się zmierzyć z możliwościami technologicznymi, nowym sprzętem do leczenia za pomocą głębokiej stymulacji mózgu, a także z innowacjami diagnostycznymi, takimi jak diagnostyka neuroobrazowa czy genetyczna

”

Joanna Parkitna: Grupą leków najczęściej ocenianych aktualnie przez AOTMiT są leki na stwardnienie rozsiane. W tym roku zarejestrowano dziewięć leków na choroby układu nerwowego. Sporo się dzieje, priorytety wyznacza jednak minister zdrowia

prof. Konrad Rejdak: Padaczka to bardzo różnorodna choroba, więc w procesie refundacji nie jest tak, że jeden lek zdominuje rynek farmaceutyczny. Po prostu jest to kolejne, bardzo ważne narzędzie do walki z chorobą



Fot.: iStockphoto



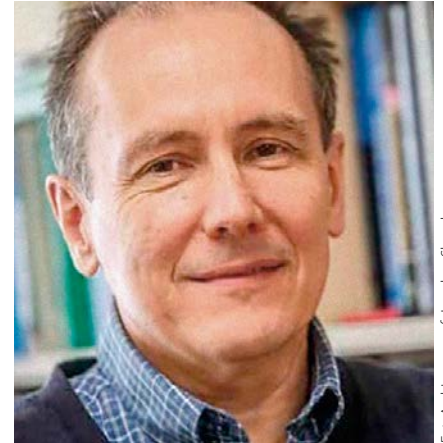
Fot. Patryk Rydzik



Fot. Patryk Rydzik



Fot. Patryk Rydzik



Fot. Archiwum prof. Jarosław Sławek

”

prof. Barbara Błaszczuk: Jeśli lek jest skuteczny, to nawet gdy kosztuje więcej, jest bardziej opłacalny finansowo. Mam nadzieję, że będziemy mogli dysponować cenobamatem jak najszybciej i że będzie on refundowany

*cialistom okazało się, że nie jest to padaczka lekooporna, tylko zespół Janza, który można było zastopować po roku leczenia. W efekcie od 6 lat ataki występują nie częściej niż raz na rok. Jestem matką, socjologiem, prowadzę fundację, biegam w półmaratonach. Wcześniej wmawiano mi, że mając padaczkę, powinnam grzecznie siedzieć w domu i czekać. Na co? Za każdym razem, kiedy słyszę, że nie wyglądam na osobę chorą, uśmiecham się. Jak wygląda człowiek chory na padaczkę? Stygmatyzuje się takie osoby, postrzegając je przez pryzmat najcięższego ataku, a to tylko ułamek chorych. U niektórych pacjentów napad padaczki widziany z zewnątrz ogranicza się do utraty wstępu w rozmowie czy drżenia ręki. Czy takie osoby nie mogą normalnie funkcjonować? Trzeba im przekazać wiarę, siłę i nadzieję. I dać leki, dzięki którym będą wiedzieli, że mogą wszystko – mówiła Alicja Lisowska z Fundacji EPI-BOHATER.*

– W padaczce, podobnie jak w większości chorób, nie ma takiej sytuacji, że jeden lek jest dla wszystkich. Pamiętajmy, że obowiązują zasady personalizacji w doborze leków. To bardzo różnorodna choroba, więc w procesie refundacji nie jest tak, że jeden lek zdominuje rynek farmaceutyczny. Po prostu jest to kolejne, bardzo ważne narzędzie do walki z chorobą – podsumował prof. Konrad Rejdak.

### Migrena przewlekła – diagnostyka jest, dramat dotyczy leczenia

– Migrena jest drugą co do częstości występowania neurologiczną chorobą napado-

”

Alicja Lisowska: Wmawiano mi, że mając padaczkę, powinnam grzecznie siedzieć w domu i czekać. Na co? U niektórych pacjentów napad padaczki widziany z zewnątrz ogranicza się do utraty wstępu w rozmowie czy drżenia ręki. Czy takie osoby nie mogą normalnie funkcjonować?

*wą, związaną z bardzo silnym i częstym bólem głowy – mówił prof. dr hab. n. med. Jarosław Sławek z Oddziału Neurologicznego i Udarowego Szpitala św. Wojciecha w Gdańsku oraz z Polskiego Towarzystwa Neurologicznego. – Pacjenci cierpią ponad 15 dni w miesiącu, co zupełnie ich eliminuje z życia codziennego. Diagnostyka opiera się na kryteriach klinicznych, czasem wykonuje się badania neuroobrazowe, by wyeliminować inne procesy mogące odpowiadać za ból – wyjaśnił. – Diagnostyka jest tania i dostępna, dramat dotyczy dopiero leczenia. W 1993 r. wprowadzono lek przeciwmigrenowy z grupy tryptanów do leczenia napadów. Od tego czasu w Polsce nie było refundacji. Tymczasem przyszła nowa era, w 2013 r. zarejestrowano pierwszy lek do leczenia migreny przewlekłej – toksynę botulinową, a w 2018 r. pierwsze przeciwciała monoklonalne (mAbs). Te leki wykazują się dużą skutecznością. Należy je refundować, szczególnie w przypadku migreny przewlekłej, i uczynić to zarówno z czystego ekonomicznego wyrachowania, bo koszty pośrednie migreny idą w miliardy złotych, jak i ze względów humanitarnych, by chorzy mogli żyć bez bólu – przekonywał. – Można by już dziś wyznaczyć 20, 30 ośrodków w Polsce, gdzie pacjenci otrzymają pomoc diagnostyczno-terapeutyczną, jak również przy zabiegu podania toksyny botulinowej – uważa prof. Jarosław Sławek. – Przeciwciała monoklonalne mogą być aplikowane podskórnie, samodzielnie przez pacjenta w domu. Nowoczesne leki (mAbs)*

”

Wojciech Machajek: Migrena dotyka najczęściej kobiet pomiędzy 30. a 50. rokiem życia, wykluczając je z życia zawodowego, rodzinnego, macierzyństwa. Najcięższych przypadków, w których wymagana jest toksyna botulinowa, jest ok. 3 tys. Mamy nadzieję, że rok 2022 będzie przełomowy

*są bardzo skuteczne, można się spodziewać całkowitej remisji u 1/4 chorych. W migrenie przewlekłej nie ma teraz refundowanego żadnego leczenia. Otwórzmy nowy rozdział w polskiej neurologii i migrenologii. Pod warunkiem, że dostaniemy od ministra zielone światło – apelował.*

### Czy będzie program lekowy w migrenie przewlekłej?

– Ze spisu powszechnego wynika, że przybyło 30 proc. seniorów, a ubywa osób pracujących. Tymczasem migrena dotyka najczęściej kobiet pomiędzy 30. a 50. rokiem życia, wykluczając je z życia zawodowego, rodzinnego, macierzyństwa. Najcięższych przypadków, w których wymagana jest toksyna botulinowa, jest ok. 3 tys. Mamy nadzieję, że rok 2022 będzie przełomowy dla tych osób – mówił Wojciech Machajek z Fundacji Chorób Mózgu. – Jako pacjenci z migreną mamy cztery postulaty. Po pierwsze, by zapewnić pacjentom diagnostykę i terapię. Po drugie uważamy, że leczenie powinno być prowadzone przez lekarzy neurologów w specjalistycznych ośrodkach na terenie całej Polski. Po trzecie jak najszybciej skuteczne terapie migreny przewlekłej powinny zostać objęte refundacją. Po czwarte konieczne jest zaangażowanie organizacji pacjentów do zwiększenia świadomości na temat tej przewlekłej choroby i jej konsekwencji. Tym bardziej że literatura podsuwa stereotypy migreny jako choroby arystokratycznych hipochondryczek, a przecież dotyka ona demokratycznie 170 tys. osób z ich rodzinami. Wszy-

”

prof. Jarosław Sławek: Od 1993 r. w Polsce nie było refundacji. Tymczasem przyszła nowa era, w 2013 r. zarejestrowano pierwszy lek do leczenia migreny przewlekłej – toksynę botulinową, a w 2018 r. pierwsze przeciwciała monoklonalne (mAbs)

*scy mamy nadzieję, że bieżący rok będzie przełomowy dla pacjentów – zakończył. – Jestem pod wrażeniem intensyfikacji prac nad wdrożeniem programu lekowego migreny przewlekłej – przyznała prof. Agnieszka Słowik. – Jest on na agendzie Ministerstwa Zdrowia, więc mam nadzieję, że projekt wkrótce ujrzy światło dzienne. To zasługa głównie środowisk pacjentów i lekarzy neurologów. Programy terapeutyczne są bardzo wartościowe, ponieważ dają możliwość leczenia wszystkimi bardzo nowoczesnymi lekami. Oprócz tego dzięki nim można monitorować skuteczność tych terapii. Trombektomia mechaniczna pozwoliła nam skutecznie leczyć pacjentów najnowocześniejszą technologią, a ponadto zjednoczyła środowisko lekarzy neurologów z całej Polski. To bardzo ważne, ponieważ powstała sieć łączności między specjalistami, co pozwala na wspólne wprowadzanie nowoczesnego leczenia. Bez tego pilotażu postęp w Polsce byłby znacząco opóźniony – podkreśliła. – Był czas, kiedy o neurologii nie mówiono wcale. Całe środowisko wywalczyło, by ogromna część społeczeństwa dotknięta schorzeniami neurologicznymi mogła otrzymać pomoc medyczną. Dzięki temu u wielu pacjentów udało się faktycznie opanować chorobę i podnieść komfort życia. Wszyscy mamy nadzieję, że rok 2022 będzie przełomowy i nadrobimy zaległości w dziedzinie terapii neurologicznych. Przez wiele lat diagnozowanie nie było problemem, problemem było leczenie i pomoc chorym – podsumował dyskusję prof. Konrad Rejdak. ■*