

VII KONGRES WIZJA ZDROWIA DIAGNOZA I PRZYSZŁOŚĆ FORESIGHT MEDYCZNY

Wizja w obszarze chorób rzadkich i hematoonkologicznych

Burosumab – lek dla chorych na hipofosfatemię sprzężoną z chromosomem X – od listopada zostanie objęty refundacją. To znakomita wiadomość. Jak zapewnia Ministerstwo Zdrowia, na kolejnych listach refundacyjnych sukcesywnie będą umieszczane inne wyczekiwane leki. O najpilniejszych potrzebach w leczeniu szpiczaka plazmocytoowego, przewlekłej białaczki limfocytowej i nowotworów dróg żółciowych dyskutowano podczas konferencji Wizja Zdrowia – Diagnoza i Przyszłość.



Fot. Paryk Rydzik

W DEBACIE UCZESTNICZYLI:

- prof. dr hab. n. med. Andrzej Deptała – Państwowy Instytut Medyczny MSWiA w Warszawie, Warszawski Uniwersytet Medyczny
- prof. dr hab. n. med. Krzysztof Giannopoulos – kierownik Zakładu Hematoonkologii Doświadczalnej Uniwersytetu Medycznego w Lublinie, prezes Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów
- prof. dr hab. n. med. Krzysztof Jamrozak – Warszawski Uniwersytet Medyczny, Polskie Konsorcjum Szpiczakowe
- Stanisław Maćkowiak – Krajowe Forum Orphan, prezes Federacji Pacjentów Polskich
- Mateusz Oczkowski – zastępca dyrektora Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji, Ministerstwo Zdrowia
- prof. dr hab. n. med. Jolanta Sykut-Cegielska – Instytut Matki i Dziecka w Warszawie, konsultant krajowa w dziedzinie pediatrii metabolicznej

Według danych Ministerstwa Zdrowia publikowanych w 2023 r. spośród zrefundowanych 119 nowych cząsteczkowskazań 39 dotyczyło chorób rzadkich (bez listy listopadowej). Dla porównania – w 2022 r. wśród zrefundowanych 115 nowych cząsteczkowskazań było ich 37, a w 2021 r. – 29 na 68 nowych cząsteczkowskazań ogółem. Jak widać, sytuacja w zakresie dostępności leczenia chorób rzadkich z każdym rokiem się poprawia.

Hipofosfatemia sprzężona z chromosomem X

Jedną z chorób rzadkich, w których refundacja nowych leków zmieniłaby zasadniczo obraz kliniczny, jest hipofosfatemia

sprzężona z chromosomem X – najczęstsza z genetycznie uwarunkowanych krzywic. Konsultant krajowa w dziedzinie pediatrii metabolicznej, prof. dr hab. n. med. Jolanta Sykut-Cegielska z Instytutu Matki i Dziecka w Warszawie, przypominała, że kiedyś była ona nazywana rodzinną krzywicą hipofosfatemiczną, bo często dotyczy wielu członków rodziny. Ujawnia się zwykle pod koniec wieku niemowlęcego, kiedy zauważa się, że dziecko gorzej rośnie. Poza niedoborem wzrostu cechą charakterystyczną tej choroby jest postępujące zniekształcenie kończyn dolnych, najczęściej w postaci spotałości, czyli nóżek w kształcie litery „o”. Może się też pojawić koślawość.

Najważniejszymi objawami nie są jednak cechy wyglądu – dochodzi do postępującego procesu krzywiczego, przy czym jest to krzywica oporna na witaminę D, a więc wymagająca specjalnego leczenia. Krzywica powoduje, że u pacjentów częściej występują złamania, które bywają nawracające i źle się goją. Chorzy mają również dolegliwości bólowe.

– Dominującym problemem u niektórych pacjentów mogą być ropnie okołozębowe, co wiąże się z pewną dysfunkcją immunologiczną, która również występuje w przebiegu krzywicy sprzężonej z chromosomem X. Jest to przyczyną braku apetytu, a czasem wręcz ubytku masy ciała u dzieci – dodała ekspertka.

Klasyczne leczenie mało skuteczne

Do tej pory terapia chorych na hipofosfatemię sprzężoną z chromosomem X polegała na leczeniu objawowym. Niektórych pacjentów kwalifikowano do bolesnego i trudnego zabiegu osteotomii korekcyjnej, czyli korekty zniekształceń kości. Stosowano też leczenie zachowawcze polegające na podawaniu pacjentom fosforanów doustnie lub nawet w nocnych wlewach dożołądkowych.

– Przyczyną choroby jest mutacja w genie odpowiedzialnym za produkowanie czynnika wzrostu fibroblastów 23 (FGF23), który ma działanie fosfaturyczne, czyli powoduje zwiększone wydalanie fosforanów w moczu, co prowadzi do hipofosfatemii. W związku z tym leczenie polega na podawaniu pacjentom fosforanów, a ponieważ są one krótko w organizmie, należy podawać je często, doustnie i w dawkach podzielonych. Takimi metodami i tak nie udaje się osiągnąć normofosfatemii. Żeby utrzymać wyższy poziom fosforanów, pacjentom zlecano niegdyś dożołądkowe nocne wlewy, co było terapią bardzo inwazyjną i wymagało przeszkolenia rodziców chorych dzieci, aby mogli kontynuować leczenie w domu. Obecnie odeszliśmy od tego sposobu terapii. W tej chwili standardem leczenia jest podawanie podzielonych dawek fosforanów. Nadal jednak jest to leczenie objawowe, które musi być połączone z równoległym stosowaniem aktywnych metabolitów witaminy D. Leczeniem z wyboru jest nerkowy metabolit witaminy D – alfadiol, nie do końca aktywny, ale sama natywna witamina D w tym przypadku nie działa – wyjaśniła prof. Jolanta Sykut-Cegielska.

Burosumab nadzieją dla chorych

Dla chorych na hipofosfatemię sprzężoną z chromosomem X dostępny jest lek – burosumab, który wiąże FGF23, hamując jego działanie fosfaturyczne. Jest to zatem prawie leczenie przyczynowe.

– Przed wszystkim burosumab zmniejsza proces krzywicy i u pacjentów widać w tym zakresie ewidentną poprawę kliniczną. Można ją zmierzyć za pomocą skali ciężkości krzywicy RSS, która obrazuje cechy radiologiczne procesu krzywiczego w kościach. Jeżeli leczenie jest włączone



Fot. Paryk Rydzik

prof. Jolanta Sykut-Cegielska: Jeżeli leczenie burosumabem jest włączone wcześniej, zanim dojdzie do nieodwracalnych zmian, to widoczna jest poprawa zarówno w zakresie objawów klinicznych, jak i dolegliwości bólowych



Fot. Paryk Rydzik

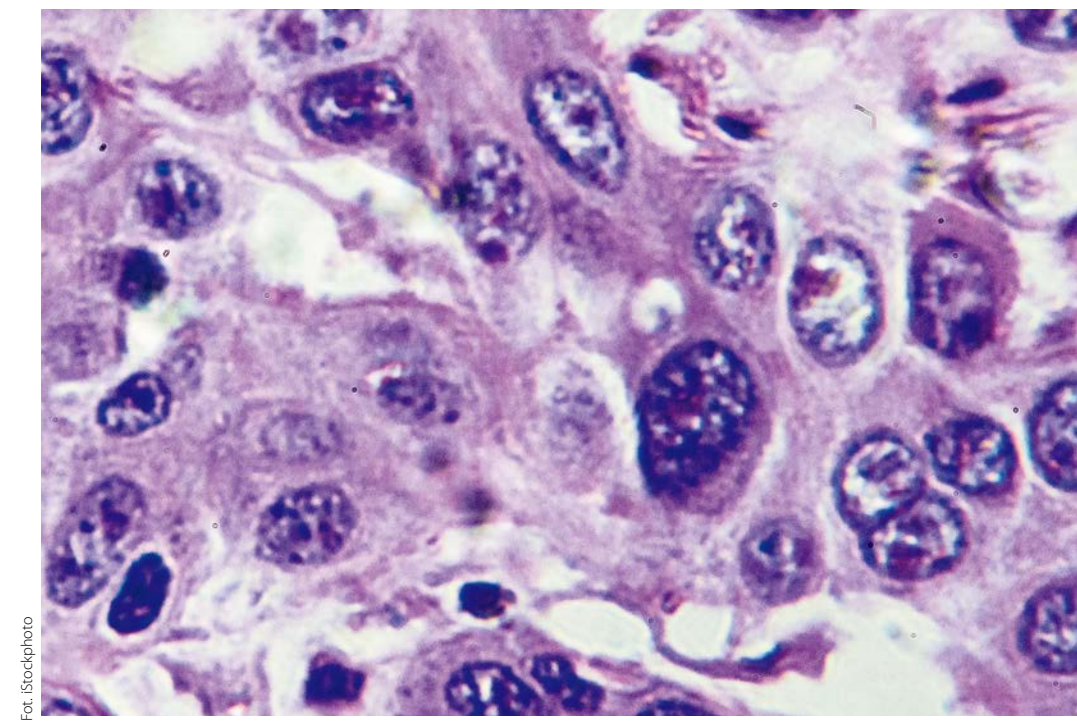
prof. Andrzej Deptała: Po 2 latach leczenia samą chemioterapią będzie żyło ok. 10 proc. chorych, a jeśli dodamy do chemioterapii durwalumab, przeżycie wzrośnie do 25 proc.

wcześniej, zanim dojdzie do nieodwracalnych zmian i zniekształceń kończyn dolnych oraz zahamowania wzrostu u dzieci będącego przyczyną karłowatości, to widoczna jest poprawa zarówno w zakresie objawów klinicznych, jak i dolegliwości bólowych. Z mniejszą częstością występują także ropnie okołozębowe, a czasem zupełnie ustępują. To leczenie jest bardzo skuteczne, co udowodniono w zakończonych badaniach klinicznych. Zaleca się je dzieciom od 1. roku życia oraz osobom dorosłym. Na razie lek znajduje się w procesie refundacyjnym – mówiła prof. Jolanta Sykut-Cegielska.

Nowotwory dróg żółciowych

Dane epidemiologiczne pokazują, że w Polsce na nowotwory złośliwe dróg żółciowych choruje rocznie ok. 1500 osób. U ok. 80 proc. pacjentów choroba jest rozpoznawana dopiero w stadium nieresekcyjnym (zaawansowanym lub uogólnionym (przerzutowym)). W takiej sytuacji mediana przeżycia całkowitego to mniej niż 12 miesięcy, a odsetek 5-letnich przeżyć wynosi mniej niż 5 proc. Jak tłumaczył prof. dr hab. n. med. Andrzej Deptała z Państwowego Instytutu Medyczny-

MSWiA w Warszawie i Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego, z każdego odcinka dróg żółciowych może rozwinąć się rak, czyli nowotwór złośliwy wywodzący się z tkanki nabłonkowej. W drogach żółciowych rozwija się kilka różnych pod względem biologii raków (biliary tract cancers – BTC): rak dróg żółciowych wewnątrztrawobowych (intrahepatic cholangiocarcinoma – ICC), rak pęcherzyka żółciowego (gallbladder cancer – GBC) i rak zewnątrztrawobowych dróg żółciowych (extrahepatic cholangiocarcinoma – ECC). Te nowotwory wiążą się z różnymi defektami metabolicznymi i genetycznymi, ale wspólnymi czynnikami prowadzącymi do ich rozwoju są: długotrwała kamica żółciowa, nawracające zapalenia dróg żółciowych i pęcherzyka żółciowego, niektóre infekcje pasożytnicze, zwłaszcza przywrami, a także stwardniające zapalenie dróg żółciowych. Choroba zwykle dotyka osób w starszym wieku, częściej kobiet, a dodatkowymi czynnikami ryzyka zachorowania są nadwaga i otyłość, palenie papierosów oraz picie alkoholu. Obecnie pęcherzyk żółciowy usuwa się najczęściej laparoskopowo i dopiero podczas badania histopatolo-



Fot. iStockphoto

logicznego chory dowiadyuje się, że oprócz kamicy i zapalenia ma jeszcze raka. Diagnoza GBC stawiana jest więc stosunkowo późno i rak może być w różnym stopniu zaawansowania, niekoniecznie ograniczony do śluzówki pęcherzyka. W momencie operacji może naciekać błonę surowiczą pęcherzyka, co stwarza ryzyko rozsiewu w krótkim czasie po zabiegu. Raka wewnątrztrawobowych dróg żółciowych najczęściej rozpoznaje się przypadkowo przy okazji badań obrazowych, np. USG wątroby. Wtedy wykrywa się duży guz w wątrobie, a często wiele guzów. Zaawansowany ICC to rak bardzo agresywny, z krótkim przeżyciem, a nieleczony prowadzi najczęściej do zgonu w czasie krótszym niż 6 miesięcy (zwykle 3). Z reguły nie ma możliwości zoperowania pacjenta. Rak zewnątrztrawobowych dróg żółciowych zazwyczaj objawia się w postaci bezbolesnej żółtaczki mechanicznej i choć rokuje nieco lepiej niż GBC i ICC, to w stadium zaawansowanym również szybko prowadzi do śmierci chorego.

Durwalumab wydłuża przeżycie

W Polsce w leczeniu zaawansowanych BTC stosuje się klasyczną chemioterapię na bazie gemcytabiny i cisplatyny (ewentualnie nowszych pochodnych – oksaliplatyny). – To leczenie nie jest zbyt skuteczne – mediana przeżycia całkowitego nie przekracza 12 miesięcy. Stąd pilna konieczność wprowadzenia leczenia bardziej nowoczesnego i skutecznego z wykorzystaniem immu-

noterapii. Jednym z takich nowoczesnych immunoterapeutyków jest durwalumab – przeciwciało monoklonalne anti-PD-L1, które potęguje odpowiedź immunologiczną przeciwko rakom dróg żółciowych. Lek ten kojarzy się ze schematem chemioterapii gemcytabina plus cisplatyna. Takie postępowanie wydłuża przeżycie całkowite i zmniejsza o 20 proc. ryzyko zgonu z powodu BTC. Po 2 latach leczenia samą chemioterapią będzie żyło ok. 10 proc. chorych, a jeśli dodamy do chemioterapii durwalumab, przeżycie wzrośnie do 25 proc., czyli ponad 2-krotnie. Durwalumab pozwala też uzyskać poprawę odpowiedzi klinicznych i wydłużenie czasu do progresji raka – o 25 proc. zmniejsza ryzyko progresji w porównaniu z samą chemioterapią. Efekt przeciwnowotworowy durwalumabu utrzymuje się na stałym poziomie i dłużej niż po zastosowaniu samej chemioterapii – tłumaczył prof. Andrzej Deptała. Niestety, immunoterapia z zastosowaniem durwalumabu nie jest w Polsce refundowana w pierwszej linii leczenia BTC, mimo że wytyczne ASCO, NCCN i ESMO zalecają jej stosowanie w skojarzeniu z chemioterapią jako preferowaną opcję terapeutyczną.

W przewlekłej białaczce limfocytowej odchodzimy od chemioterapii

Zgodnie ze światowymi i europejskimi rekomendacjami w leczeniu chorób hematoonkologicznych coraz częściej odchodzi się od klasycznej chemioterapii na rzecz

VII KONGRES WIZJA ZDROWIA DIAGNOZA I PRZYSZŁOŚĆ FORESIGHT MEDYCZNY

terapii celowanych. W ostatnich latach każda lista refundacyjna zawierała nowe czesne terapie celowane dla kolejnych grup pacjentów. Niestety, często nowe cząsteczki są dostępne dopiero w kolejnych liniach leczenia, kiedy ich działanie jest mniej skuteczne.

Prezes Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów prof. dr hab. n. med. Krzysztof Giannopoulos zazna- czył, że przewlekła białaczka limfocytowa, mimo że występuje często, spełnia kryteria chorób rzadkich. – W zasadzie choroby hematologiczne stanowią dużą liczbę chorób rzadkich, co daje nam powiększającą się populację pacjentów. W tym przypadku udostępnienie terapii, nawet tych droższych, powinno być analizowane bardzo indywidualnie, pod kątem populacji, którymi się zajmujemy, a są to pacjenci z przewlekłą białaczką limfocytową, ale też szerzej – z limfoproliferacjami. Mediana wieku zachorowania na te choroby wynosi powyżej 65 lat, dlatego konieczne jest uwzględnianie profilu bezpieczeństwa leków i chorób współistniejących u pacjentów w tej grupie wiekowej – zauważył.

Pilna potrzeba refundacji ibrutinibu i wenetoklaksu

Profesor Krzysztof Giannopoulos dodał, że w ostatnim czasie pacjenci są w zasadzie leczeni zgodnie z europejskimi standardami, z odchodzeniem od immunochemioterapii. – Mówię „w zasadzie”, ponieważ jest jedna, wąska grupa pacjentów młodszych bez czynników wysokiego ryzyka, którym nadal oferujemy tylko immunochemioterapię. I tu pojawia się niezaspokojona potrzeba medyczna. Ostatnio dużo się dzieje w hematologii, w tym w przewlekłej białaczce limfocytowej. Wiemy, że do Ministerstwa Zdrowia są zgłoszone trzy wnioski o refundację w pierwszej linii. Pierwszy dotyczy terapii z inhibitorem BTK drugiej generacji zanubrutynibem, drugi – obinutuzumabem z wenetoklaksem, a trzeci – terapii skojarzonej dwoma lekami doustnymi – wenetoklaksem i ibrutinibem. Wenetoklaks plus przeciwciało monoklonalne obinutuzumab to terapia ograniczona w czasie, która ze względu na dostępność i potencjalne koszty jest preferowana w określonych sytuacjach klinicznych. Terapia ibrutinibem, która w Polsce jest dostępna zarówno dla pacjentów z nawrotami, jak i w pierwszej linii leczenia dla pacjentów wysokiego ryzyka genetycznego, jest natomiast terapią ciągłą. Te dwa nowoczesne leki – ibrutinib i wenetoklaks – są w Polsce refundowane, ale nie jest refundowane ich połączenie. W takim schemacie pacjent byłby wstępnie przez 3 miesiące leczony ibrutinibem, a później przez rok wenetoklaksem. Te 3 miesiące wstępnego leczenia są potrzebne szczególnie pacjentom z chorobami współistniejącymi, ponieważ w sposób płynny przygotowują one chorego do terapii wenetoklaksem. Taki płynny początek lece-



Fot. Patryk Rydzik

”

prof. Krzysztof Giannopoulos: Wenetoklaks plus przeciwciało monoklonalne obinutuzumab to terapia ograniczona w czasie, która ze względu na dostępność i potencjalne koszty jest preferowana w określonych sytuacjach klinicznych

nia to redukcja ryzyka zespołu lizy guza, który jest efektem bardzo skutecznego leczenia wenetoklaksem, ale może stanowić zaburzenie metaboliczne wymagające interwencji z hospitalizacją pacjenta. Omawiany schemat pozwala ominąć ten problem i w zasadzie leczyć chorych w pełni ambulatoryjnie. Jest to kolejny element, na który zwracamy coraz większą uwagę ze względu na ograniczony dostęp do działań hematologicznych i na niewystarczającą liczbę hematologów, którzy



Fot. Patryk Rydzik

”

prof. Krzysztof Jamrozik: Ryzyko zgonu w przypadku zastosowania schematu DRD (daratumumab z lenalidomidem i deksametazonem) jest obniżone o 45 proc. w porównaniu z najczęściej w Polsce stosowaną terapią lenalidomidem i deksametazonem

mogliby leczyć zwiększającą się populację chorych na nowotwory układu krwiotwórczego i chłonnego – mówił prof. Krzysztof Giannopoulos.

Ekspert podkreślił, że sytuacja w przewlekłej białaczce limfocytowej jest dobra, ale to nie znaczy, że nie mogłaby być lepsza. Do tego niezbędne jest stosowanie skutecznych leków już w pierwszej linii leczenia. Na przykładzie 6-letniego doświadczenia w stosowaniu wenetoklaksu z obinutuzumabem wiadomo, że więcej niż

połowa pacjentów po rocznym leczeniu nie wymaga kolejnej terapii.

Szpiczak plazmocytowy

Szpiczaka plazmocyтового rozpoznaje się u ok. 2 tys. Polaków rocznie, a mediana wieku zachorowania to ponad 70 lat. Częstość występowania tej choroby wzrasta wraz ze starzeniem się populacji. Chorzy na szpiczaka plazmocyтового po niepowodzeniu chemioterapii otrzymują dostęp do nowoczesnej terapii DRD (daratumumab z lenalidomidem i deksametazonem). Taki schemat jest rekomendowany przez polskie i międzynarodowe wytyczne, m.in. EHA-ESMO oraz zalecenia Polskiej Grupy Szpiczakowej. Tymczasem również w tym wypadku zastosowanie tego leczenia na początku dалоby pacjentom szansę na uzyskanie dłuższego czasu remisji i znacznej poprawy jakości życia.

– Szpiczak plazmocytowy jest nowotworem bardzo dokuczliwym dla pacjenta. Sam proces nowotworowy toczy się przede wszystkim w szpiku, ale objawy dotyczą różnych układów. Pacjent zmagają się z niedokrwistością, małopłytkowością, dochodzi do niewydolności nerek, pojawiają się bóle kostne czy patologiczne złamania. Plagą chorych na szpiczaka i częstą przyczyną zgonów są infekcje. Mimo że jest to nowotwór nieuleczalny, jego leczenie można uznać za ogromny sukces nowoczesnej medycyny – mówił prof. dr hab. n. med. Krzysztof Jamrozik z Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego, przedstawiciel Polskiego Konsorcjum Szpiczakowego.

Schemat DRD już od pierwszej linii leczenia

W terapii szpiczaka plazmocyтового jest zarejestrowanych najwięcej różnych klas leków. Dzięki temu w ostatnich 20 latach życie pacjentów wydłużyło się 2-, a nawet 3-krotnie.

– Chorych ze szpiczakiem leczymy wielokrotnie, ponieważ jest to nowotwór nawrotny. Zawsze jednak najważniejsza jest pierwsza linia, ponieważ przed każdą kolejną linią leczenia tracimy 25–30 proc. pacjentów. Jeżeli nie wykorzystamy pewnych leków w pierwszej linii, to one już nigdy nie zostaną zastosowane u prawie 1/3 chorych. W tej chwili pod względem możliwości leczenia szpiczaka plazmocyowego nie odbiegamy od krajów zachodnich. Przykładem może być terapia pierwszego rzutu u młodszych chorych, czyli u 1/3 pacjentów, którzy mogą mieć wykonany przeszczep autologiczny szpiku – stwierdził prof. Krzysztof Jamrozik. – Poważną luką systemu jest natomiast leczenie osób starszych, które stanowią 2/3 pacjentów i nie kwalifikują się do przeszczepienia szpiku. W takiej sytuacji dysponujemy dwoma schematami: lenalidomidem w skojarzeniu z deksametazonem lub lenalidomidem w skojarzeniu z deksametazonem i bortezomibem. Pojawiła się jednak nowa terapia, która może zmienić wszystko – DRD. W Polsce jest ona refundowana od drugiej linii leczenia. Aby wykonać, co ta terapia zmienia, przedstawili dwa duże amerykańskie badania kliniczne. Na ich podstawie wiemy, że w przypadku schematu lenalidomidem i deksametazonem, który stosuje się u 70–80 proc. chorych, czas do progresji wynosi 29–34 miesięcy. W przypadku drugiego schematu, czyli lenalidomidem w skojarzeniu z deksametazonem i bortezomibem, który stosujemy u mniej więcej 20 proc. chorych, czas do progresji wynosi 41 miesięcy. Z kolei schemat z daratumumabem daje 60 miesięcy, czyli o 1/2 albo o 1/3 więcej czasu do nawrotu choroby. Ryzyko zgonu jest obniżone o 45 proc. w porównaniu z najczęściej w Polsce stosowaną terapią lenalidomidem i deksametazonem. Bardzo czekamy na refundację tego schematu. Jak wiemy, proces jest w toku – dodał.

Czy nowe refundacje spełnią wszystkie oczekiwania?

Jakie refundacje pojawią się niebawem i czy spełnią wszystkie oczekiwania klinicystów i pacjentów?

– W ciągu ostatnich 3 lat pojawiły się 104 nowe wskazania dotyczące chorób rzadkich i ultraradkich. Stanowią one aż 60 proc. wszystkich wskazań rzadkich, które w ciągu 12 lat istnienia ustawy o refundacji pojawiły się w polskim systemie refundacyjnym – podsumował Mateusz Oczkowski, przedstawiciel Ministerstwa Zdrowia. – Na tle chorób rzadkich zdecydowanie wyróżnia się hematologia, ponieważ tylko w tym roku aż 29 nowych wskazań w tej dziedzinie stanowiło jednocześnie wskazania rzadkie. Wśród nich można na pewno wymienić 9 nowych wskazań w zakresie samego szpiczaka plazmocyowego, dla którego program lekowy uległ całkowitemu przemodelowaniu. Analogiczne zmiany nastąpiły w przypadku przewlekłej białaczki limfocytowej, gdzie pojawiły się 4 nowe wskazania terapeutyczne oraz dokonano unifikacji trzech programów w jeden wspólny program lekowy. W przypadku szpiczaka mnogiego trwają trzy różne procesy refundacyjne – we wskazaniu leczenia daratumumabem w skojarzeniu z lenalidomidem i deksametazonem w pierwszej linii, we wskazaniu leczenia karfilzomibem od drugiej do czwartej linii oraz we wskazaniu leczenia teklitamabem od czwartej linii. Większość z tych terapii jest na etapie negocjacji cenowych z Komisją Ekonomiczną, a rozmowy zbliżają się ku końcowi. Jeśli chodzi o przewlekłą białaczkę limfocytową, to aż 4 nowe wskazania są w procesie refundacyjnym. Mowa tutaj o zanubrutynibie stanowiącym konkurencję dla innych obecnie refundowanych inhibitorów kinaz Brutona: ibrutinibu oraz akalabrutynibu, dla którego mamy wniosek w nowej populacji pacjentów z oporną lub nawrotną przewlekłą białaczką limfocytową bez delecji 17p lub mutacji TP53. Ponadto terapie skojarzone ibrutinibem z wenetoklaksem w pierwszej linii leczenia niezależnie od statusu delecji 17p i mutacji w genie TP53 oraz wenetoklaksem z obinutuzumabem w pierwszej linii leczenia (populacja pacjentów FIT). Terapie skojarzone są bardzo dużym wyzwaniem ekonomicznym dla płatnika publicznego, zwłaszcza jeśli stosuje się je w grupach pacjentów leczonych w pierwszych liniach, stanowiących zazwyczaj największe populacje docelowe. Jeśli chodzi o durwalumab, to on już znalazł się w naszym systemie refundacji od 1 stycznia 2023 r. w leczeniu drobnokomórkowego raka płuca. W immunoterapii przeciwciałami anty-PD1 i anty-PD-L1 rzeczywiście firmy farmaceutyczne podzieliły się między sobą docelowymi obszarami terapeutycznymi. Są liderzy w zakresie pembrolizumabu i niwolumabu, dla których dochodzimy do ponad 30 zarejestrowanych wskazań. Inne firmy poszły w kierunku specyficznych ob-



Fot. Patryk Rydzik

”

Mateusz Oczkowski: W przypadku szpiczaka mnogiego trwają trzy różne procesy refundacyjne – we wskazaniu leczenia schematem DRD w pierwszej linii, we wskazaniu leczenia karfilzomibem od drugiej do czwartej linii oraz we wskazaniu leczenia teklitamabem od czwartej linii

szarów terapeutycznych, na przykład durwalumab w leczeniu raka dróg żółciowych, gdzie został złożony wniosek i znajduje się na etapie oceny przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji – wymieniał. Najbliższe refundacji, od 1 listopada, jest burosumab. – Myślę, że będzie to duży sukces i przykład dobrej współpracy pomiędzy wszystkimi stronami procesu. Jeśli chodzi o wskazania w zakresie szpiczaków i przewlekłej białaczki limfocytowej, to bardziej realnym terminem wydaje się obwieszczenie styczeńowe. Durwalumab natomiast mógłby się znaleźć w obwieszczeniu przypadającym na kwiecień 2024 r. Oczywiście podają szacunkowe terminy, bo tak wypadają czasy kolejnych obwieszczeń refundacyjnych. O tym, kiedy dana terapia będzie dostępna dla pacjentów, powinniśmy mówić dopiero wtedy, kiedy jest podpisana i wydana decyzja refundacyjna – zastrzegł Mateusz Oczkowski.

Okiem pacjenta

Stanisław Maćkowiak z Krajowego Forum Orphan, prezes Federacji Pacjentów Polskich, zauważył, że jeszcze 3 lata temu efektywność leczenia wielu chorób rzadkich była ograniczona ze względu na brak dostępności leków. – Na szczęście nadrobiamy te zaległości w szybkim tempie. Nie znaczy to jednak, że jesteśmy na takim poziomie, że niczego nam nie brakuje. Obserwujemy, że w ostatnich latach



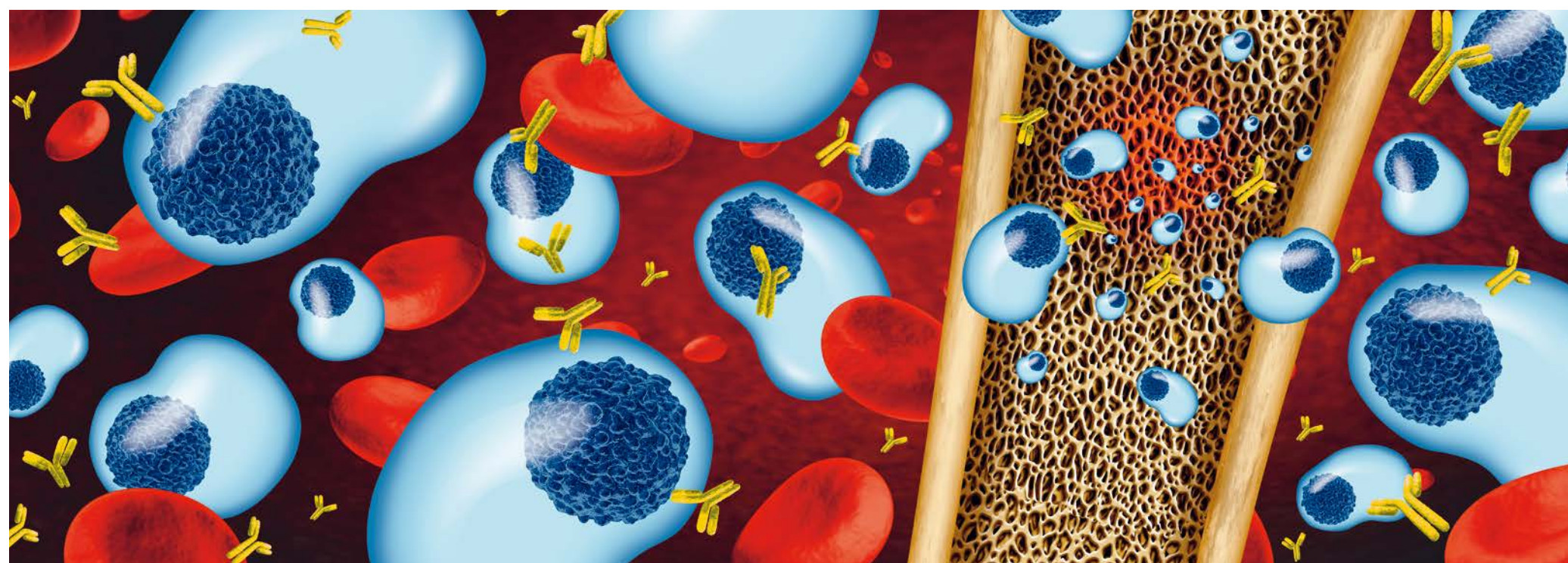
Fot. Patryk Rydzik

”

Stanisław Maćkowiak: Ważną kwestią jest umożliwienie wprowadzenia wszelkich dostępnych terapii w pierwszej linii leczenia, kiedy ich efektywność jest najwyższa

Ministerstwo Zdrowia – przy zrozumieniu i współpracy podmiotów odpowiedzialnych – działa efektywniej, co widać w procesach refundacyjnych. Niezwykle ważna jest zmiana otoczenia prawnego przy włączaniu nowych terapii w programach lekowych, bez konieczności uzyskania zgody innych podmiotów, co dotychczas było dużym utrudnieniem. Oczywiście jest parę rzeczy, które nas martwią. Nadal czas efektywnej możliwości leczenia po decyzji refundacyjnej w programach lekowych jest zbyt długi. Kolejną kwestią jest umożliwienie wprowadzenia wszelkich dostępnych terapii w pierwszej linii leczenia, kiedy ich efektywność jest najwyższa. Musimy zauważyć utworzenie Funduszu Medycznego – specjalnych, dodatkowych środków przeznaczonych na choroby rzadkie i onkologię. To oznacza również dodatkowe możliwości refundacyjne. Mamy też specjalną formę udostępniania terapii finansowanych z funduszy publicznych, tzw. ratunkowy dostęp do technologii lekowych. Decyzje refundacyjne z ostatniego czasu dotyczące najbardziej innowacyjnych leków istotnie rozszerzyły możliwości leczenia osób z chorobami rzadkimi. Mamy nadzieję, że ten trend zostanie utrzymany, a dostępność leczenia będzie wyrównywana do najlepszych standardów europejskich i światowych – podsumował Stanisław Maćkowiak.

Agata Misiurewicz-Gabi



Fot. Shutterstock