



Priorytety w polityce lekowej w obszarze onkologii

Agnieszka Paculanka

W trakcie V Kongresu Wizja Zdrowia eksperci po raz kolejny dyskutowali o priorytetach w polityce lekowej w obszarze onkologii. Mówiono nie tylko o tym, jakie leki powinny znaleźć się w zasięgu polskich pacjentów i ich lekarzy, lecz także o tym, kto powinien mieć decydujący głos przy tworzeniu programów lekowych.

W Narodowej Strategii Onkologicznej znajduje się zapis, że należy przyspieszyć dostęp do nowych terapii, a mimo to przeciętny czas od zarejestrowania leku do objęcia go refundacją wynosi w Polsce 3,5 roku, nawet jeśli dana terapia już przy rejestracji została uznana za przełomową. Czy można to zmienić?

– Bez zmiany ustawy refundacyjnej ten proces niestety nie przyspieszy, a jak widać, mamy z tym poważny kłopot. Przełomowe terapie miały być też finansowane z Funduszu Medycznego, a na razie nie wybrano do niego żadnej terapii onkologicznej. Powinniśmy monitorować terapie: ich wykorzystanie, skuteczność i gdzie są kierowane, tak by pacjenci mieli do nich realny dostęp. To bardzo ważne, bo jeśli kształt programu lekowego nie jest idealny, a dodatkowo jest on alokowany do oddziałów, które nie prowadzą leczenia wcale albo mają jednego chorego, to na pewno nie jest to korzystne dla pacjentów – mówił prof. Piotr Rutkowski. Stwierdził też, że powinniśmy położyć nacisk na rozwój diagnostyki molekularnej na wysokim poziomie, bo bez dobrej diagnostyki nie ma skutecznego leczenia.

– Kluczową sprawą jest to, by programy lekowe powstawały z inicjatywy klinicystów, a nie podmiotów odpowiedzialnych – podkreślił dr hab. Jakub Kucharz. – To oni na co dzień pracują z pacjentami i to oni śledzą wszelkie nowości technologiczne oraz prowadzone badania – uzasadniał.

– Udział ekspertów w procesach decyzyjnych być może pozwoliłby zrationalizować pewne wybory – przyznał prof. Witold Owczarek. – W tej chwili jest tak, że z jednej strony mamy grupy chorych, którym nie możemy zaoferować żadnego nowoczesnego leczenia, mimo że ono istnieje, a z drugiej strony są obszary, w których dzieje się bardzo dużo, które stale są priorytetowe. Byłoby dobrze, gdybyśmy mogli zadbać o wszystkich chorych na tyle, na ile to możliwe – zauważył.



”

prof. Piotr Rutkowski: Mamy szansę leczenia pacjentów z zaawansowanym rakiem kolczystokomórkowym skóry w ramach badań klinicznych, ale to jest swego rodzaju proteza, która nie zastąpi programu lekowego

– Nam lekarzom zależy przede wszystkim na racjonalnym leczeniu pacjenta i to jest naszym priorytetem – podsumował prof. Piotr Rutkowski.

Rak nerkowokomórkowy – czas na duże zmiany

– W ostatnich 3–4 latach nastąpiła fundamentalna zmiana w koncepcji leczenia systemowego raka nerkowokomórkowego. Do pierwszej linii leczenia włączono



”

dr hab. Jakub Kucharz: Obowiązujący program lekowy był tworzony głównie z myślą o pacjentach z rakiem jasnokomórkowym nerki, którzy stanowią 80 proc. wszystkich chorych na raka nerkowokomórkowego. Pozostałe 20 proc. pacjentów z rzadszymi typami histologicznymi zostało w nim praktycznie pominięte

immunoterapię: albo skojarzenie dwóch leków immunokompetentnych, albo skojarzenie leku immunokompetentnego z terapią celowaną – inhibitorem kinazy tyrozynowej – podkreślił dr hab. Jakub Kucharz. Tłumaczył, że wiemy ponad wszelką wątpliwość, że zastosowanie takich terapii skojarzonych w pierwszej linii leczenia u dużej części pacjentów daje znacznie lepsze wyniki niż monoterapia inhibitorem kinazy tyrozynowej VEGFR. Pierw-

sza podwójna immunoterapia została zarejestrowana w 2018 r. i od tego czasu stała się standardem pierwszej linii leczenia pacjentów z grupy o pośrednim i niekorzystnym rokowaniu. W Polsce natomiast program lekowy nie zmienił się od 2018 r., kiedy to do drugiej linii leczenia dołączono kabozantynib i niwolumab. Z tego powodu zespół ekspertów Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej i Polskiego Towarzystwa Urologicznego opracował nowe wytyczne i zalecenia postępowania w tym nowotworze.

– Na tej podstawie stworzyliśmy propozycję programu lekowego, który byłby odzwierciedleniem oczekiwań środowiska – wyjaśnił dr hab. Jakub Kucharz. – Różni się on diametralnie od obecnego programu, który zupełnie nie przystaje do praktyki klinicznej i aktualnej wiedzy na temat leczenia tej choroby. Co więcej, zapisy obecnego programu ograniczają populację pacjentów, która może z niego skorzystać, i to na kilku płaszczyznach. Przede wszystkim obowiązujący program lekowy był tworzony głównie z myślą o pacjentach z rakiem jasnokomórkowym nerki, którzy stanowią 80 proc. wszystkich chorych na raka nerkowokomórkowego. Pozostałe 20 proc. pacjentów z rzadszymi typami histologicznymi zostało w nim praktycznie pominięte. Poza tym w obecnym programie lekowym istnieje wymóg wykonania nefrektomii cytoredukcyjnej przed włączeniem leczenia systemowego. Wiemy, że ta procedura u części pacjentów przynosi korzyść w odniesieniu do długofalowych efektów leczenia, ale potrafimy też zidentyfikować grupę pacjentów, u których tak naprawdę ten zabieg jest zbędny. Weryfikacja histologiczna w przypadku choroby przerzutowej jest wystarczająca do rozpoczęcia terapii systemowej – zaznaczył.

Kolejnym problemem w obecnym programie jest skala rokownicza MSKCC



V KONGRES WIZJA ZDROWIA DIAGNOZA I PRZYSZŁOŚĆ FORESIGHT MEDYCZNY



W DEBACIE UCZESTNICZYLI:

- **Joanna Konarzewska-Król** – dyrektor Fundacji Onkologicznej Nadzieja
- **dr hab. n. med. Jakub Kucharz** – Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie – Państwowy Instytut Badawczy, Oddział w Warszawie
- **dr n. med. Michał Kunkiel** – Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie – Państwowy Instytut Badawczy, Oddział w Warszawie
- **prof. dr hab. n. med. Witold Owczarek** – Wojskowa Akademia Medyczna w Łodzi
- **Łukasz Rokicki** – Fundacja Carita im. Wiesławy Adamiec
- **prof. dr hab. n. med. Piotr Rutkowski** – Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie – Państwowy Instytut Badawczy, Oddział w Warszawie

z 1999 r., opracowana w czasach leczenia interferonem α , którą trzeba stosować przy kwalifikacji pacjenta do leczenia. Nowsza skala z 2014 r. – IMDC – dużo lepiej stratyfikuje pacjentów pod względem ryzyka. Okazuje się, że przy ocenie chorych według jednej i drugiej skali, 20 proc. z nich zmienia grupę rokowniczą. A zmiana grupy rokowniczej wpływa na to, jakie leczenie można zaoferować danemu pacjentowi.

– Wyjątkowo frustrującymi zapisami w obecnym programie lekowym są te dotyczące parametrów laboratoryjnych – powiedział dr hab. Jakub Kucharz. – Mamy na przykład arbitralnie określone stężenie hemoglobiny, które pacjent musi mieć, by wejść do programu, co nie ma żadnego uzasadnienia w praktyce klinicznej. W nowym programie zaproponowaliśmy więc zapis „adekwatna wydolność narządowa”, który pozwoli podejmować decyzję o włączeniu pacjenta do programu lekowego na podstawie całościowego obrazu klinicznego, a nie pojedynczych parametrów – dodał.

Zaawansowany rak kolczystokomórkowy skóry – rzadki, ale często wymagający leczenia systemowego

– Częstość występowania raków skóry wzrasta w ostatnich latach, i to nie tylko osób starszych. Dzięki akcjom społecznym i edukacji Polacy częściej i wcześniej zgłaszają się do lekarzy, by poddać ocenie zmiany, które ich niepokoją. Leczenie chirurgiczne jest w przypadku raka kolczystokomórkowego złotym standardem postępowania terapeutycznego, które prowadzi do wyleczenia znaczącej liczby pacjentów – mówił prof. Witold Owczarek. – U części chorych przeprowadzenie zabiegu doszczętnego nie jest jednak możliwe lub w ogóle nie można ich operować. Wtedy do dyspozycji mamy paliatywną radio- czy chemioterapię, która niestety nie daje tak dobrych rezultatów, jak byśmy chcieli. Od niedawna istnieje możliwość leczenia pacjentów z zaawansowanym bądź przerzutowym rakiem kolczystokomórkowym immunoterapią. Nowym lekiem zarejestrowanym w tym

wskazaniu jest cemiplimab, który w Polsce nie jest dostępny w ramach programu lekowego, natomiast może być stosowany w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL) – dodał.

– Rak kolczystokomórkowy występuje dość często, ale postaci zaawansowane spotykamy rzadko. Naszym zdaniem w Polsce rocznie ok. 100 pacjentów wymagałoby nowej immunoterapii za pomocą cemiplimabu. To leczenie jest w rekomendacjach już od dość dawna. Poza tym jest zatwierdzone przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) w ramach RDTL. Ta ostatnia możliwość ma jednak ograniczenia finansowe – zauważył prof. Piotr Rutkowski. – Oczywiście mamy szansę leczenia pacjentów z zaawansowanym rakiem kolczystokomórkowym skóry w ramach badań klinicznych, ale to jest swego rodzaju proteza, która nie zastąpi programu lekowego. We współpracy z WIM prowadzimy takie badania, dzięki czemu zapewniamy chorym dostęp do najnowszych technologii medycznych, ale to nie jest standardowy dostęp do le-

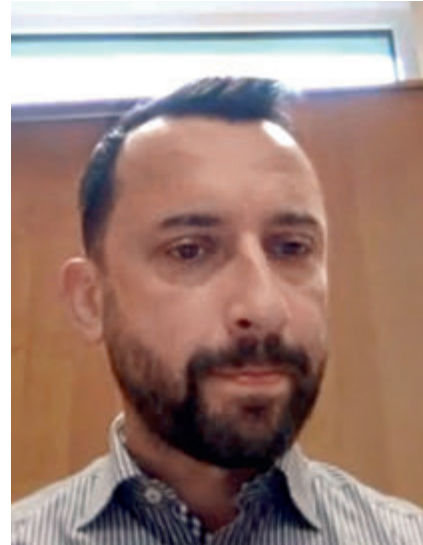
czenia, o jaki nam wszystkim chodzi – zaznaczył.

Profesor Piotr Rutkowski podkreślił, że wielu lekarzy w Polsce zapomina, że badania kliniczne są nieodłączną częścią nowoczesnej medycyny. – Udział w badaniach klinicznych to nasz lekarski obowiązek. W naszym kraju istnieje tendencja do traktowania udziału w badaniach klinicznych jako czegoś ostatecznego, dopuszczalnego jedynie w sytuacji bez wyjścia. A we Francji ok. 40 proc. chorych onkologicznie a priori uczestniczy w badaniach klinicznych na różnych stopniach zaawansowania. Podobnie jest w Holandii. Takie postępowanie jest elementem rutynowej dobrej opieki onkologicznej – stwierdził.

– W raku kolczystokomórkowym skóry podobnie jak w przypadku innych chorób nowotworowych wczesna diagnostyka ma kluczowe znaczenie dla zdrowia i życia pacjenta. Niezwykle istotna jest świadomość społeczna, która ma przełożenie na profilaktykę, diagnostykę i leczenie, dlatego zainicjowaliśmy ogólnopolską kampanię edukacyjną RAK UV poświęconą kolczystokomórkowemu nowotworowi skóry. Stawiamy przede wszystkim na edukację i budowanie świadomości choroby we wszystkich grupach społecznych – podkreśliła Joanna Konarzewska-Król z Fundacji Onkologicznej Nadzieja. – Staramy się dotrzeć do tych, którzy znajdują się w grupach ryzyka: rolników, sadowników, ogrodników, rybaków, pracowników budowlanych, ale również działkowców i seniorów z gmin wiejskich i miejsko-wiejskich. Włączając się w kampanię, zachęcamy do profilaktyki pierwotnej, czyli edukacji dotyczącej zachowań prozdrowotnych, m.in. unikania ekspozycji na promieniowanie UV, jak również używania filtrów UV, nakryć głowy i ciała. Przypominamy, że ważnym elementem profilaktyki nowotworów skóry jest też samoobserwacja polegająca na uważnym sprawdzeniu skóry pod kątem nowych zmian oraz obserwacji wcześniejszych. A w przypadku pojawienia się czegoś niepokojącego zachęcamy do niebagatelizowania zmian i wizyty u lekarza dermatologa – podkreśliła Joanna Konarzewska-Król.

Przerzuty do kości – tracimy pacjentów z radaru onkologicznego

Przerzuty do kości definiuje się jako nacieki nowotworowe na strukturę kostną, które powodują jej osłabienie, przebudowę patologiczną i zwiększają ryzyko złamań. – Przerzuty do kości mogą dotyczyć w zasadzie każdego nowotworu złośliwego – tłumaczył dr Michał Kunkiel. – Są oczywiście nowotwory, którym przerzuty towarzyszą częściej. U mężczyzn jest to rak gruczołu



”

dr Michał Kunkiel:

Nie powinniśmy pozwalać, by dochodziło do takich sytuacji, że podajemy pacjentowi skuteczne leczenie onkologiczne za kilkadziesiąt tysięcy złotych, a tracimy go z powodu zdarzenia kostnego

krokowego, u kobiet rak piersi, jednak grupą najbardziej zagrożoną są kobiety w wieku pomenopauzalnym z osteoporozą. Wraz ze starzeniem się społeczeństwa rośnie liczba pacjentów zagrożonych przerzutami do kości – dodał.

Przerzuty do kości wiążą się ze zdarzeniami kostnymi, do których zaliczamy złamania patologiczne (np. złamanie kości szyjki udowej), kompresję rdzenia spowodowaną odłami kostnymi, ból indukowany przerzutami do kości, konieczność zastosowania radioterapii na kości oraz hiperkalcemię. Jeżeli do nich dochodzi, to sytuacja pacjenta zmienia się diametralnie, bo niosą one ze sobą duży ładunek dysfunkcyjny. Pacjent traci mobilność, nie może kontynuować aktywności zawodowej i społecznej, a pogarszająca się jakość życia może powodować zespoły depresyjne. Wszystko to sprawia, że często tracimy go z radaru onkologicznego.

– Nie powinniśmy pozwalać, by dochodziło do takich sytuacji, że podajemy pacjentowi skuteczne leczenie onkologiczne za kilkadziesiąt tysięcy złotych, najczęściej w rytmie co 3 tygodnie, a tracimy go z powodu zdarzenia kostnego. Gdy nasz pacjent, po takim zdarzeniu, znajdzie się na oddziale ortopedycznym lub neurologicznym, nie mamy możliwości kontynuowania leczenia

”

prof. Witold Owczarek:

Z jednej strony mamy grupy chorych, którym nie możemy zaoferować żadnego nowoczesnego leczenia, mimo że ono istnieje, a z drugiej strony są obszary, które stale są priorytetowe

OD REDAKCJI

Kilka dni po zakończeniu Kongresu Wizja Zdrowia minister zdrowia podjął decyzję, że pacjenci z zaawansowanym nieoperacyjnym rakiem kolczystokomórkowym skóry od 1 listopada otrzymają dostęp do przełomowej terapii.

– Wreszcie pacjenci z nieoperacyjnym rakiem kolczystokomórkowym skóry i ich rodziny, którzy z niecierpliwością czekali na ten lek, będą mogli odetchnąć z ulgą. Dzięki ogromnej pracy i determinacji ministra Macieja Miłkowskiego dołączyliśmy do grona krajów Europy Zachodniej i z czystym sumieniem możemy powiedzieć, że nareszcie polscy pacjenci z rakiem kolczystokomórkowym skóry będą leczeni na światowym poziomie, zgodnie z najnowszą wiedzą medyczną – podkreśliła Joanna Konarzewska-Król, dyrektor Fundacji Onkologicznej Nadzieja.

onkologicznego, co sprawia, że zwiększa się ryzyko zgonu – mówił dr Michał Kunkiel. Zdarzeniom kostnym można jednak zapobiegać. – Podstawowym sposobem jest leczenie rozpoznanej choroby onkologicznej – podkreślił dr Michał Kunkiel. – Mamy też leczenie wspomagające w postaci dwóch leków. Pierwszy to kwas zoledronowy z grupy bisfosfonianów, refundowany, znany i stosowany od dawna również w leczeniu osteoporoz. Drugim jest przeciwciało monoklonalne – denosumab, które wybiórczo i znacznie silniej niż starsza grupa leków hamuje aktywność osteoklastów. Niestety w przypadku przerzutów do kości nie jest on refundowany, nie jest też dostępny w ramach RDTL. Jedyna możliwość to zakup komercyjny denosumabu przez pacjenta, jed-

”

Łukasz Rokicki: Jedynym sposobem leczenia choroby kostnej w szpiczaku były bisfosfoniany, których większość z nas nie mogła przyjmować ze względu na uszkodzenie nerek przez chorobę podstawową. Dlatego duże nadzieje wiążemy z nowymi cząsteczkami

nak z powodu ceny jest on poza zasięgiem większości chorych, mimo wprowadzenia przez producenta programu rozszerzonego dostępu. W programie lekowym mogą go otrzymać jedynie chorzy z olbrzymiokomórkowym guzem kości – mówił.

– Problem przerzutów do kości towarzyszy różnym nowotworom, dlatego może dotyczyć kilkunastu tysięcy pacjentów. I to może stanowić główną przeszkodę w przekonaniu płatnika do refundacji najnowszych leków – podsumował dr Michał Kunkiel.

Szpiczak mnogi – potrzeb jest dużo, ale mamy nadzieję

– Wielu pacjentów ze szpiczakiem nie zdaje sobie sprawy, że rozwijają się u nich przerzuty do kości, dopóki nie dojdzie do

”

Joanna Konarzewska-Król:

Wczesne wykrycie nowotworu pozwala na proste, szybkie i skuteczne leczenie, dlatego nasza fundacja postawiła przede wszystkim na edukację i budowanie świadomości choroby we wszystkich grupach społecznych

złamania patologicznego – mówił Łukasz Rokicki. – Co więcej, prawie 90 proc. pacjentów dowiaduje się, że ma problem hematologiczny, właśnie poprzez układ kostny. Jedynym sposobem leczenia choroby kostnej w szpiczaku były bisfosfoniany, których większość z nas nie mogła przyjmować ze względu na uszkodzenie nerek przez chorobę podstawową. Dlatego duże nadzieje wiążemy z nowymi cząsteczkami. Gdyby weszły one do refundacji, znacznie poprawiłyby komfort naszego życia. Denosumab to nie jedyny lek, na którego pojawienie się czekają pacjenci ze szpiczakiem mnogim. Rewlimid jest stosowany w pierwszej linii leczenia szpiczaka w całej Europie – podkreślił.

– Skoro pandemia nie mija, to szczególnie istotne staje się to, by pacjenci onkologiczni jak najczęściej mogli przyjmować leki we własnych domach, co jest dużo łatwiejsze, gdy mają się one formę doustną lub podskórną. Z tego powodu mówimy o potrzebie wprowadzenia w pierwszej linii rewlimidu z deksametazonem, o pomalidomidzie z bortezomibem i deksametazonem, o daratumumabie podskórnym, który pozwala zamienić wielogodzinne wlewy na podanie podskórne w ambulatorium – wymienił Łukasz Rokicki. ■