



Anna Kopras-Fijołek

# Optymalne terapie dają największe szanse na wyleczenie



Fot. Adobe Stock

– Nie możemy ustawać w wysiłkach w celu zapewnienia chorym odpowiedniej diagnostyki, zwiększenia dostępności nowych terapii i przede wszystkim w dążeniu do tego, aby pacjenci w Polsce byli leczeni równie dobrze, równie skutecznie i równie sprawnie jak w innych krajach europejskich – podkreśliła prof. Agnieszka Wierzbowska podczas debaty „Priorytety w obszarze hematoonkologii” zorganizowanej w ramach konferencji Priorytety w Ochronie Zdrowia 2022. W leczeniu wszystkich nowotworów układu krwiotwórczego dokonał się ogromny postęp. Poprawiło się rokowanie wielu chorych. Jakie są dziś najpilniejsze potrzeby?

Mówiąc o priorytetach w obszarze hematoonkologii na 2022 r., prof. dr hab. n. med. Lidia Gil, kierownik Kliniki Hematologii i Transplantacji Szpiku Uniwersytetu Medycznego w Poznaniu, podkreśliła, że zabiega o dostęp pacjentów do terapii CAR-T i o jej finansowanie. – *Dzisiaj wiemy, że jest to terapia bardzo skuteczna. Oczywiście nie 100-procentowo, ale bardzo skuteczna u pacjentów, u których inne metody zawodzą. Jest to też terapia bezpieczna – zapewniła. Nieco pesymistyczne jest to, że będzie nam*

bardzo trudno dogonić świat w tym zakresie. Na przykład w USA leczenie CAR-T jest już powszechnie realizowane u pacjentów, którzy tego wymagają. Na świecie, również w Europie, jest to terapia standardowa. U nas ciągle jest ona niedostępna.

#### Dużo jest jeszcze do zrobienia

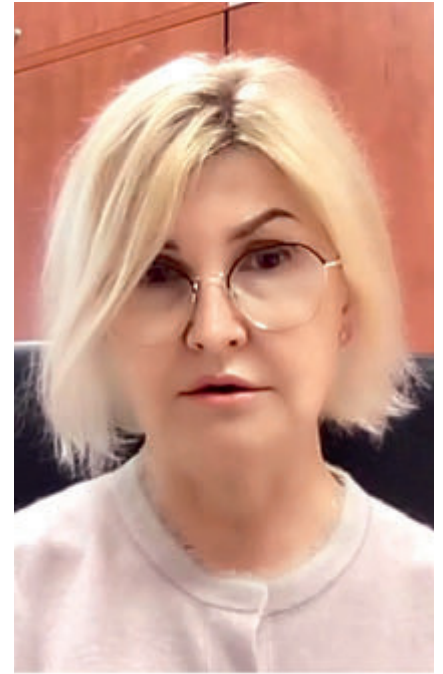
O szpiczaku plazmocytowym, możliwościach leczenia, rokowaniach i potrzebach pacjentów mówił prezes Polskiego Konsorcjum Szpiczakowego dr hab. n. med.

Dominik Dytfeld z Uniwersytetu Medycznego w Poznaniu. Dzięki nowym, refundowanym terapiom szpiczak plazmocytowy mógłby być chorobą przewlekłą, ale ciągle jest trudną chorobą nowotworową, nieuleczalną. Dostęp do nowoczesnych leków przeciwszpiczakowych w Polsce się poprawił, ale w dalszym ciągu dużo jest jeszcze do zrobienia.

– *Szpiczak jest chorobą z definicji wymagającą sekwencji leczenia. Jeśli jeden lek przestanie działać, chcielibyśmy zastosować kolejny,*

*kolejny i kolejny. Dzięki temu można uzyskać przewlekłość tej choroby – mówił prof. Dominik Dytfeld. Chciałby, żeby dostęp do leków przeciwszpiczakowych, w ogóle onkologicznych, był tożsamy z rejestracją – lek jest zarejestrowany i automatycznie dostępny dla lekarzy i pacjentów. Tak jest choćby w Niemczech. Wśród największych potrzeb, których spełnienie poprawiłoby los pacjentów w najkrótszym czasie, prof. Dominik Dytfeld wskazał wzmocnienie pierwszej linii leczenia szpiczaka plazmo-*

# PRIORYTETY W OCHRONIE ZDROWIA 2022



”

prof. Dominik Dytfeld:  
Nie tylko nowe leki, czyli DVTD w pierwszej linii, lecz także zwiększenie dostępności procedury przeszczepienia z powodu szpiczaka plazmocytoowego, wprawdzie już starej, ale ciągle efektywnej i ciągle rekomendowanej

cytoowego. Bardzo widoczny jest brak lenalidomidu w pierwszej linii [15 lutego wiceminister zdrowia Maciej Miłkowski umieścił lenalidomid w projekcie listy refundacyjnej, która wejdzie w życie 1 marca 2022 r. – przyp. red.]. – *To już tak naprawdę stary lek, a u nas ciągle niedostępny dla pacjentów, którzy wcześniej nie byli leczeni z powodu szpiczaka, zwłaszcza w populacji chorych starszych* – mówił ekspert.

W grupie chorych, którzy nie korzystają np. z transplantacji onkologicznych czy innych intensywnych terapii, lenalidomid bardzo poprawiłby wyniki i warunki doustnym, bezpiecznym i wygodnym. Bardzo brakuje również daratumumabu [15 lutego wiceminister zdrowia Maciej Miłkowski umieścił daratumumab w projekcie listy refundacyjnej, która wejdzie w życie 1 marca 2022 r. we wskazaniu II–IV linia leczenia dorosłych z nawrotowym szpiczakiem plazmocytoowym w skojarzeniu z bortezomibem i deksametazonem – postać podskórna. W I linii leczenia daratumumab w wersji podskórnej nadal jest

”

prof. Krzysztof Giannopoulos:  
Tak naprawdę lek stosowany wcześniej jest bardziej skuteczny i dostęp do niego można ograniczyć w terapii nawrotu. To jest bardzo ważny element analizy

niedostępny – przyp. red.]. – *Jest to jeden z lepszych leków przeciwszpiczakowych, bezpieczny. Mógłby być podawany podskórnie, ale niestety jest refundowany w formułce dożylniej. Nie zmienia to wyników leczenia, ale jest bardzo uciążliwe zarówno dla pacjenta, który spędza w szpitalu kilka godzin, jak i dla personelu medycznego* – zaznaczył prof. Dominik Dytfeld. – *Chcielibyśmy stosować daratumumab także w terapii pierwszej linii u chorych kwalifikowanych do transplantacji autologicznej* – dodał.

### Jest o co walczyć

O najpilniejszych potrzebach klinicystów, jeśli chodzi o ostrą białaczkę szpikową, mówiła prof. dr hab. n. med. Agnieszka Wierzbowska, kierownik Katedry i Kliniki Hematologii Uniwersytetu Medycznego w Łodzi. Zwróciła uwagę, że chorzy na ostrą białaczkę szpikową są obecnie w najgorszej i najtrudniejszej sytuacji w Polsce. W ciągu ostatnich 3 lat dzięki staraniom środowisk medycznych oraz współpracy z Ministerstwem Zdrowia i NFZ udało się zrefundować wiele nowych leków stosowa-

”

prof. Lidia Gil:  
Dzisiaj wiemy, że terapia CAR-T jest bardzo skuteczna. Oczywiście nie 100-procentowo, ale bardzo skuteczna u pacjentów, u których inne metody zawodzą. Jest też bezpieczna

nych w innych nowotworach. Dla chorych z ostrą białaczką szpikową po dwuletnich staraniach udało się zrefundować jeden. To midostauryna, która jest obecnie dostępna w ramach programu lekowego dla chorych z mutacją FLT3. Postęp, który dokonał się w leczeniu ostrej białaczki szpikowej, wiąże się z rejestracją w Europie siedmiu nowych leków, z czego w Polsce dostępny jest tylko jeden. Szansą dla pacjentów są nowe leki dodane do klasycznej chemioterapii już na początku leczenia, które pozwalają na wyleczenie znacznej części chorych na ostrą białaczkę szpikową. Warunkiem jest wczesne włączenie nowoczesnego leczenia. Takim lekiem jest między innymi gemtuzumab ozogamycyny, zarejestrowany dla pacjentów z ekspresją antygenu CD33. Dołączenie tego leku do standardowej chemioterapii wydłuża przeżycie, szczególnie pacjentów z korzystnym ryzykiem cytogenetycznym – w tej grupie możliwe jest wyleczenie do 77 proc. chorych, czyli o ponad 25 proc. więcej niż w przypadku standardowej chemioterapii. Jest więc o co walczyć. Klinicyści czekają na refundację gemtuzumabu ozoga-

”

prof. Iwona Hus:  
Niestety polscy pacjenci na razie nie mają dostępu do leczenia luspaterceptem. Mam nadzieję, że to się w bieżącym roku zmieni

mycyny dla chorych z grupy korzystnego (standardowego) ryzyka. Profesor Agnieszka Wierzbowska podkreśliła, że spośród tych wspomnianych siedmiu leków sześć jest zarejestrowanych w pierwszej linii terapii. Oprócz wspomnianego gemtuzumabu ozogamycyny potrzebna jest również refundacja CPX-351. To nowoczesna formuła leczenia, bardzo skuteczna w pierwszej linii u chorych z tzw. białaczką wtórną lub z niekorzystnym ryzykiem cytogenetycznym. Ponadto u chorych, którzy uzyskali remisję, ale nie mogą kontynuować intensywnej chemioterapii i nie kwalifikują się do transplantacji, leczenie podtrzymujące doustną azacytydyną (CC-486) z pewnością wydłuży całkowite przeżycie. – *To jest niezwykle ważne zadanie dla nas. Włączenie optymalnego leczenia w skojarzeniu z terapiami celowanymi już na początku choroby stwarza największe szanse na wyleczenie. Mam na myśli przede wszystkim chorych leczonych intensywnie* – powiedziała prof. Agnieszka Wierzbowska.

Istnieje potrzeba zwiększenia dostępności (refundacji) nowoczesnych i skutecznych



#### W DEBACIE UCZESTNICZYLI:

- **dr hab. n. med. Dominik Dytfeld** – Uniwersytet Medyczny w Poznaniu, prezes Polskiego Konsorcjum Szpiczakowego
- **prof. dr hab. n. med. Krzysztof Giannopoulos** – kierownik Zakładu Hematoonkologii Doświadczalnej Uniwersytetu Medycznego w Lublinie, lekarz kierujący Oddziałem Hematologicznym Centrum Onkologii Ziemi Lubelskiej im. św. Jana z Dukli, prorektor Uniwersytetu Medycznego w Lublinie
- **prof. dr hab. n. med. Lidia Gil** – kierownik Kliniki Hematologii i Transplantacji Szpiku Uniwersytetu Medycznego w Poznaniu
- **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
- **prof. dr hab. n. med. Ewa Lech-Marańda** – dyrektor Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie, konsultant krajowy w dziedzinie hematologii
- **Łukasz Rokicki** – prezes Fundacji Carita im. Wiesławy Adamiec
- **prof. dr hab. n. med. Agnieszka Wierzbowska** – kierownik Katedry i Kliniki Hematologii Uniwersytetu Medycznego w Łodzi
- moderator: **Bartosz Kwiatek**

leków, takich jak wenetoklaks. Terapia wenetoklaksem w skojarzeniu z azacytydyną uzyskała pozytywną decyzję Komisji Europejskiej o rejestracji do stosowania u pacjentów z wcześniej nieleczoną ostrą białaczką szpikową, którzy nie kwalifikują się do intensywnej chemioterapii (decyzja KE z 19 maja 2021 r.). Obecnie u pacjentów z ostrą białaczką szpikową stosuje się azacytydynę w monoterapii w formie podskórnej. To leczenie nie wymaga hospitalizacji, ale jego skuteczność jest zdecydowanie gorsza niż skojarzenia wenetoklaksu z azacytydyną.

#### Zmniejszone ryzyko zgonu

O dużym potencjale klinicznym tej terapii świadczy fakt, że amerykańska Agencja ds. Żywności i Leków (*Food and Drug Administration* – FDA) już w styczniu 2016 r. oraz lipcu 2017 r. przyznała wenetoklaksowi status

terapii przełomowej w leczeniu ostrej białaczki szpikowej (*breakthrough therapy*), a w listopadzie 2018 r. dokonała przyspieszonej rejestracji (*accelerated approval*) w leczeniu osób z nowo zdiagnozowaną ostrą białaczką szpikową w wieku 75 lat i więcej lub niekwalifikujących się do intensywnej chemioterapii, wyłącznie na podstawie nierandomizowanych badań klinicznych fazy I/II. Status terapii przełomowej przyznawany jest interwencjom charakteryzującym się znacznymi korzyściami klinicznymi (pomimo dostępności jedynie wstępnych danych klinicznych) w stosunku do istniejących opcji terapeutycznych, dotyczącym poważnych lub zagrażających życiu schorzeń. Najnowsze wytyczne praktyki klinicznej (ESMO, ASH, NCCN) u pacjentów z nowo rozpoznaną ostrą białaczką szpikową, którzy nie kwalifikują się do intensywnej chemioterapii, wskazują wenetoklaks z azacytydyną jako opcję preferowaną. Takie leczenie pozwala na dwukrotne

wydłużenie przeżycia w stosunku do obecnego standardu.

Wenetoklaks w skojarzeniu z azacytydyną podawany w pierwszej linii pacjentom z ostrą białaczką szpikową wydłuża o ponad 7 miesięcy czas do pogorszenia funkcjonowania fizycznego. Stosowanie tego schematu prowadzi do uzyskania przez większość pacjentów (58 proc.) niezależności od transfuzji krwi, które przy obecnym standardzie leczenia znacząco obniżają jakość życia z uwagi na konieczność częstych wizyt w szpitalu. Zastosowanie wenetoklaksu z azacytydyną u 66 proc. pacjentów prowadzi do uzyskania odpowiedzi całkowitej lub odpowiedzi całkowitej z niepełną regeneracją (*vs* 28 proc. w przypadku samej azacytydyny). Profil bezpieczeństwa terapii skojarzonej jest zgodny z poznanym dotąd profilem dla pojedynczych substancji wchodzących w skład schematu. Zastosowanie połączenia wenetoklaksu z azacytydyną

zmniejsza ryzyko zgonu o 34 proc. Odsetek remisji w grupie leczonej wenetoklaksem z azacytydyną wyniósł prawie 70 proc.

Profesor Agnieszka Wierzbowska jako niezaspokojoną potrzebę medyczną wskazała leczenie chorych, którzy nie kwalifikują się do intensywnej chemioterapii. Są to pacjenci nie tylko w starszym wieku, powyżej 75 lat, lecz także powyżej 50 lat, którzy z powodu chorób współistniejących, np. przebytego zawału mięśnia sercowego lub powszechnych chorób cywilizacyjnych, nie mogą otrzymać intensywnej chemioterapii indukującej albo jej podanie wiąże się u nich z ryzykiem zgonu przekraczającym 30 proc.

#### Powinniśmy takie leczenie oferować pacjentom

W ostatnich latach decyzje refundacyjne zmieniły możliwości leczenia chorych na nowotwory hematologiczne, w tym naj-

# PRIORYTETY W OCHRONIE ZDROWIA 2022

częstszy, czyli przewlekłą białaczkę limfocytową.

– To są decyzje dotyczące pierwszej linii leczenia z jesieni ubiegłego roku. Mówiliśmy też dużo o indywidualnym podejściu do terapii, o grupach pacjentów, którzy nie będą odpowiadać nawet na tak nowoczesne leczenie. I rzeczywiście – jedna z tych grup zaznacza się bardzo mocno. To grupa, która nie ma zmutowanych genów immunoglobulinowych, a dokładniej części zmiennych łańcuchów ciężkich immunoglobulin. Mamy dowód z badania rejestracyjnego, że ten status mutacji genów nadal jest czynnikiem rokowniczym – stwierdził prof. dr hab. n. med. Krzysztof Giannopoulos, kierownik Zakładu Hematoonkologii Doświadczalnej Uniwersytetu Medycznego w Lublinie, lekarz kierujący Oddziałem Hematologicznym Centrum Onkologii Ziemi Lubelskiej im. św. Jana z Dukli, prorektor Uniwersytetu Medycznego w Lublinie.

O czym to świadczy? O tym, że pacjenci dostają nowoczesne leczenie, ale ci, którzy mają złe rokowanie, nadal będą je mieli. Pacjenci z dobrym rokowaniem będą odpowiadali lepiej. – Oczywiście możemy się zadowolić tym, że w porównaniu z immunochemioterapią osiągamy ogromny sukces, ale zastanówmy się, czy nie mamy czegoś lepszego – mówił prof. Krzysztof Giannopoulos. – Okazuje się, że mamy. W tej grupie pacjentów inhibitory innego punktu przekąźnikowego, czyli kinazy Brutona, znoszą znaczenie rokownicze stanu mutacji genów immunoglobulinowych. Jeśli mimo nowoczesnego leczenia rokowanie jest złe, a mamy grupę leków, która znosi tę złą prognozę, tym bardziej powinniśmy takie leczenie oferować pacjentom – przekonywał.

## Co dla chorych z zespołami mielodysplastycznymi?

O zespołach mielodysplastycznych, celach leczenia i o tym, co można zaproponować chorym w 2022 r., mówiła 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. Zwróciła uwagę, że pod pojęciem zespołów mielodysplastycznych kryje się różnorodna grupa nowotworów układu krwiotwórczego. Cele leczenia są różne w zależności od tego, z jaką postacią choroby mamy do czynienia.

– Co możemy zaoferować chorym? Zaczniemy od pacjentów z zespołami mielodysplastycznymi niskiego ryzyka, których głównym problemem jest niedokrwistość. Większość z tych chorych niestety ma pro-



Fot. Termedia / Patryk Rydzik

”

prof. Ewa Lech-Marańda:

Na naszych oczach zmieniają się standardy leczenia w hematologii, do których wchodzi nowe leki, tzw. terapie celowane, ale też leki, które kiedyś stosowaliśmy u chorych w przypadku nawrotu czy oporności, teraz przechodzą do pierwszej linii leczenia

blemy z niedokrwistością. Konieczne są częste transfuzje krwi. W takiej sytuacji leczeniem pierwszej linii są czynniki stymulujące erytropozę – mówiła prof. Iwona Hus. – Jeśli jednak takie leczenie nie działa, mamy już leki, które są zarejestrowane w tym wskazaniu, np. luspaterecept. Niestety polscy pacjenci na razie nie mają do niego dostępu. Mam nadzieję, że to się w bieżącym roku zmieni – dodała.

## Intensywna pierwsza linia

Do udziału w debacie został zaproszony również prezes Fundacji Carita Łukasz Rokicki. Mówił między innymi o potrzebach w zakresie terapii szpiczaka mnogiego. Bardzo ważna jest indywidualizacja leczenia. Szpiczak jest chorobą złożoną, każdy pacjent jest inny. Czasami trzeba zastosować różne schematy terapeutyczne. Dobrze byłoby, żeby w rękach lekarzy znajdowało się jak najwięcej narzędzi, by możliwości terapeutyczne – rozszerzenia pierwszej linii, drugiej linii, trzeciej, kolejnych, bo dzięki nowym terapiom czas



Fot. Termedia / Patryk Rydzik

”

prof. Agnieszka Wierzbowska:

Włączenie optymalnego leczenia w skojarzeniu z terapiami celowanymi już na początku choroby daje największe szanse na wyleczenie

przeżycia się wydłuża – były jak najbardziej dostępne.

– Mam nadzieję, że przyjdzie taki czas, że nie będzie zawężeń refundacyjnych, przez które pacjent nie może dostać leku. Ważne jest też, by odświeżona została pierwsza linia – powiedział Łukasz Rokicki.

– Im lepsza jest ta pierwsza linia, bardziej intensywna, tym lepiej potem się pacjentowi dzieje i nam lepiej się tę chorobę leczy. Chodzi o optymalizację i zwiększenie efektywności pierwszej linii u pacjentów, którzy kwalifikują się do przeszczepienia, czyli chemioterapię DVTD, która jest zarejestrowana w Europie już dobrych kilka lat, ale dla polskiego pacjenta niedostępna. Daratumumab pojawia się gdzieś tam w dalszych liniach leczenia, a lepiej, gdyby mógł być podany w pierwszej linii. I to właśnie ta populacja też może skorzystać na wprowadzeniu nowych leków. To ciągle jest niezaspokojona potrzeba. Ilu pacjentów oczekuje na przeszczepienie, tego nie powiem, ale przeszczepień szpiku wykonuje się w Polsce mniej niż w Europie i mniej,



Fot. Termedia / Patryk Rydzik

”

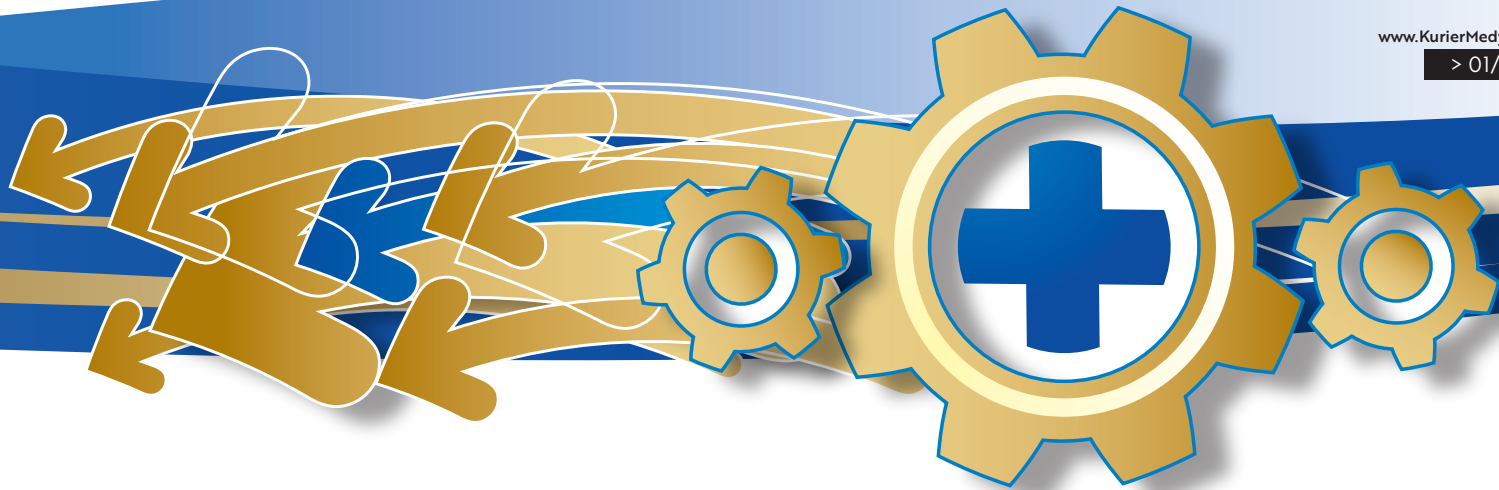
Łukasz Rokicki:

Mam nadzieję, że przyjdzie taki czas, że nie będzie zawężeń refundacyjnych, przez które pacjent nie może dostać leku

niż wynikałoby to z wieku populacji albo analizy, którą przeprowadziliśmy w ramach Polskiej Grupy Szpiczkowej oraz Polskiego Konsorcjum Szpiczakowego, a także Narodowego Funduszu Zdrowia. To jest obszar, który wymaga poprawy. Konieczne jest zwiększenie dostępności procedury przeszczepienia z powodu szpiczaka plazmocytozy. Nie tylko więc nowe leki, czyli DVTD w pierwszej linii, lecz także zwiększenie dostępności tej procedury medycznej, wprawdzie już starej, ale ciągle efektywnej i ciągle rekomendowanej – dodał prof. Dominik Dytfeld.

## Bardzo ważny element analizy

Profesor Krzysztof Giannopoulos również podkreślił ogromną potrzebę dostępu do leczenia w pierwszej linii lenalidomidem i schematu DVTD dla chorych na szpiczaka. – Jeżeli leki zostaną zrefundowane, będziemy musieli bardzo dokładnie spojrzeć w program lekowy, dlatego że on już nie będzie kompatybilny z leczeniem pierwszej linii. Na przykład po leczeniu



lenalidomidem w pierwszej linii schematy oparte na lenalidomidzie, czyli KRd lub IRd, nie będą miały uzasadnienia do stosowania w nawrocie. Jeśli natomiast DVTd będzie dostępny dla pacjentów przeszczepowych, to szczególnie ci z grupy wysokiego ryzyka powinni otrzymać icksazomib w schemacie IRd już w drugiej linii leczenia.

Ciekawa jest również analiza badania rejestracyjnego dla DVTd. – W tym badaniu chorzy odpowiadają podobnie niezależnie od tego, czy otrzymali daratumumab w indukcji terapii czy w leczeniu podtrzymującym. Tak naprawdę ta ostatnia grupa nie kwalifikuje się do leczenia DVTd w drugiej linii, bo będzie dostawała daratumumab do progresji. Myślę, że to też należy brać pod uwagę przy decyzjach refundacyjnych – tak naprawdę lek stosowany wcześniej jest bardziej skuteczny i dostęp do niego można ograniczyć w terapii nawrotu. To jest bardzo ważny element analizy – przekonywał prof. Krzysztof Giannopoulos.

### Optymalna diagnostyka

Profesor Agnieszka Wierzbowska zwróciła uwagę, że współczesna hematologia się zmienia. Wchodzimy w erę terapii celowanych już od pierwszej linii leczenia. W związku z tym trzeba pacjentom zapewnić optymalną, szybką i wielogenową diagnostykę, bardzo zróżnicowaną. Stworzenie sieci laboratoriów diagnostycznych, które będą prowadziły diagnostykę molekularną opartą nie tylko na standardowych metodach PCR, lecz także na sekwencjonowaniu nowej generacji, tzw. NGS, umożliwiłoby chorym współczesną diagnostykę. Dzięki temu można by też selekcjonować pacjentów do pierwszoliniowych terapii „skrojonych na miarę” i dobranych dla poszczególnych grup genetycznych.

– Uważam, że w pierwszej kolejności powinny być finansowane terapie pierwszoliniowe. To jest nowy standard leczenia. Leczenie optymalne w pierwszej linii daje pacjentom szansę na wyleczenie. Zwłaszcza chorym na ostre białaczki, którzy nie mają innych możliwości – jedynie te, które jest im w stanie zagwarantować system – powiedziała prof. Agnieszka Wierzbowska.

### Lekarz musi wiedzieć, co będzie skuteczne

Co jest ważne w nowoczesnym leczeniu? – Przede wszystkim nowoczesne leczenie musi być stosowane zgodnie z obowiązującymi standardami. Lekarz musi mieć wiedzę, jakie leczenie i na jakim etapie choroby będzie skuteczne u danego pacjenta – odpowiedziała prof. Ewa Lech-

Marańda. – Do leczenia zgodnie ze standardami konieczny jest również dostęp do nowoczesnych technik diagnostycznych, na podstawie których można określić profil genetyczny pacjenta, a to z kolei umożliwia dobór odpowiedniej terapii, czyli leczenie spersonalizowane. Wśród nowoczesnych terapii stosowanych w hematologii coraz więcej jest tzw. terapii celowanych, które są skierowane na konkretne antygeny czy białka powstające na skutek nieprawidłowych genów lub mutacji. Aby móc w pełni korzystać z nowoczesnego leczenia, nie można zapominać o kluczowej roli diagnostów laboratoryjnych, którzy dzięki swojej wiedzy i doświadczeniu zapewniają nowoczesną diagnostykę hematologiczną naszym pacjentom. Kolejnym niezbędnym elementem jest oczywiście odpowiednie wyposażenie laboratoriów w ośrodkach hematologicznych w sprzęt i aparaturę do diagnostyki nowotworów krwi. W poprzednich latach ośrodki hematologiczne mogły kilkukrotnie skorzystać z dofinansowania do zakupu sprzętu do diagnostyki i leczenia w ramach Krajowego Programu Zwalczania Chorób Nowotworowych. Obecnie czekamy na ogłoszenie kolejnej edycji konkursu, tym razem już w ramach Narodowej Strategii Onkologicznej – dodała.

### Poprawiło się rokowanie wielu chorych

W XXI wieku leczenie nowotworów hematologicznych przeszło niewątpliwie ogromną transformację. We wszystkich nowotworach układu krwiotwórczego dokonał się wielki postęp. Poprawiło się rokowanie wielu chorych.

– U części pacjentów choroba nowotworowa przekształca się dzięki nowym terapiom w chorobę przewlekłą, którą leczymy długo, do końca życia chorego, tak jak nadciśnienie czy cukrzyca. W innych przypadkach nowe terapie i identyfikowanie szczegółowych grup chorych, którzy najbardziej korzystają z nowych terapii, zwiększają z kolei szanse na wyleczenie choroby całkowicie. Nie możemy ustawać w wysiłkach w celu zapewnienia chorym odpowiedniej diagnostyki, zwiększenia dostępności nowych terapii i przede wszystkim w dążeniu do tego, aby pacjenci w Polsce byli leczeni równie dobrze, równie skutecznie i równie sprawnie jak w innych krajach europejskich – mówiła prof. Agnieszka Wierzbowska.

Trudno nam się równać z krajami o takim wysokim dorobku jak Niemcy czy Francja. Okazuje się jednak, że w krajach z naszej wschodniej granicy, np. w Estonii, często dostępność nowych terapii jest lepsza niż w Polsce.

Profesor Ewa Lech-Marańda zwróciła uwagę, że w ciągu ostatnich 3 lat bardzo poprawił się dostęp do nowoczesnych te-

rapii. – Minister Zdrowia wydał w ciągu ostatnich 3 lat wiele ważnych decyzji refundacyjnych, dzięki którym istotnie poprawił się dostęp do nowoczesnego leczenia dla polskich pacjentów hematologicznych – zrefundowano 21 wskazań dla nowych leków. Z drugiej strony hematologia rozwija się bardzo dynamicznie, można śmiało powiedzieć, że jest lokomotywą postępu. Co roku w Europie rejestrowanych jest kilka nowych cząsteczek w różnych wskazaniach hematologicznych. Na naszych oczach zmieniają się standardy leczenia w hematologii, do których wchodzi nowe leki, tzw. terapie celowane o zupełnie innych mechanizmach działania w porównaniu z klasycznymi lekami cytostatycznymi, ale też leki, które kiedyś stosowaliśmy u chorych w przypadku nawrotu czy oporności, teraz przechodzą do leczenia pierwszej linii – mówiła.

### Potrzebne są leki i dostęp do nowoczesnych terapii

Ekspertka podzieliłaby priorytety na kilka grup. – Na pierwszym miejscu wskazałabym konieczność uzupełnienia pierwszej linii leczenia o lenalidomid – dla tych chorych na szpiczaka plazmocytozy, którzy nie kwalifikują się do auto-HSCT (i tu mamy nadzieję, że lek pojawi się na najbliższej liście refundacyjnej), oraz o inhibitory kinazy Brutona dla chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową z niekorzystnymi zaburzeniami genetycznymi. W ubiegłym roku dwa podmioty odpowiedzialne produkujące te leki (ibrutinib i akalabrutynib) złożyły wnioski refundacyjne, które są obecnie na etapie oceny przez AOTMiT – wskazała prof. Ewa Lech-Marańda.

Na drugim miejscu wymieniła konieczność dostępu do nowoczesnych terapii dla chorych na chłoniaki, w tym terapii CAR-T dla pacjentów z nawrotowymi lub opornymi agresywnymi chłoniakami B-komórkowymi. – Jest to leczenie skuteczne w takich sytuacjach klinicznych, w których inne dostępne leki już zawodzą. Potrzebny jest również polatuzumab wedotyny dla dorosłych pacjentów z nawrotowym lub opornym chłoniakiem rozlanym z dużych komórek B, którzy nie kwalifikują się do przeszczepienia autologicznego krwiotwórczych komórek macierzystych. Zastosowanie tego leku przedłuży całkowite przeżycie chorych w porównaniu z pacjentami leczonymi standardową immunochemioterapią. Należy podkreślić, że obie terapie, tj. CAR-T i polatuzumab wedotyny, znalazły się na ubiegłorocznej liście leków o wysokiej skuteczności klinicznej opublikowanej przez AOTMiT. Oprócz wyżej wymienionych chłoniaków ogromna potrzeba refundacyjna jest również u chorych na nawrotowego lub opornego chłoniaka z komórek płaszczka. Jest to rzadki

nowotwór układu chłonnego, w którym nie mamy obecnie dostępu do nowoczesnych leków, takich jak ibrutinib czy lenalidomid, a terapia, którą możemy stosować, opiera się na klasycznych cytostatykach – dodała prof. Ewa Lech-Marańda.

### Dokonał się ogromny postęp

Kolejna grupa chorych, o której wspomniała prof. Ewa Lech-Marańda, to pacjenci z ostrymi białaczkami. – W leczeniu chorych na ostre białaczki szpiczkowe również dokonał się w ostatnich latach ogromny postęp. Mam na myśli rejestrację wenetoklaksu w połączeniu z azacytydyną w pierwszej linii leczenia dla tych pacjentów, którzy nie kwalifikują się do intensywnej chemioterapii – jest to nowoczesna terapia, która wydłuża ich całkowite przeżycie. Drugim nowoczesnym lekiem, który znalazł się na liście leków o wysokiej skuteczności klinicznej opublikowanej przez AOTMiT, jest gemtuzumab ozogamycyny. Lek ten uzyskał rejestrację w pierwszej linii leczenia w połączeniu ze standardową chemioterapią dla tych chorych, u których na powierzchni komórek białaczkowych obecny jest antygen CD33. Kolejny lek, który został niedawno zarejestrowany przez EMA, to gliterytynib – lek skuteczny w przypadku nawrotu ostrej białaczki szpiczkowej z obecnością mutacji FLT3, która występuje u ok. 30 proc. chorych i wiąże się z bardzo niepomyślnym rokowaniem – wyjaśniała specjalistka.

Profesor Ewa Lech-Marańda dodała, że bardzo pilną potrzebą refundacyjną dla biorców przeszczepów szpiku jest również letermowir. – Jest to lek zalecany w zapobieganiu reaktywacji cytomegalowirusa (CMV) i rozwojowi bardzo niebezpiecznej choroby u seropozytywnych względem CMV biorców, którzy zostali poddani zabiegowi alogenicznego przeszczepienia krwiotwórczych komórek macierzystych – podkreśliła.

### Razem walczyliśmy o to samo

Podczas debaty podkreślono znaczenie współpracy lekarzy z pacjentami oraz ze środowiskami pacjentskimi.

– To jest nam bardzo potrzebne, to pokazuje sens naszej pracy – powiedziała prof. Lidia Gil.

Słowa te potwierdził prof. Dominik Dytfeld: – Współpraca z pacjentami jest bardzo ważna. Dzięki niej lepiej rozumiemy ich potrzeby. Przecież ramię w ramię walczyliśmy o to samo i dzięki temu możemy łatwiej zdobywać nowe leki, nowe terapie dla chorych, bo o to właśnie chodzi.

Uczestnicy konferencji zachęćli do udziału w corocznym rajdzie rowerowym „Rozjechać szpiczaka”, który wiosną odbędzie się w Poznaniu. ■