

## NEUROLOGIA

# Kryteria drugiej linii leczenia są zbyt rygorystyczne

W Polsce przejście pacjentów ze stwardnieniem rozsianym (*sclerosis multiplex* – SM) do drugiej linii leczenia odbywa się według bardzo rygorystycznych kryteriów. Pacjenci, którzy ich nie spełniają, muszą dalej być leczeni w programie pierwszej linii, choć czasem bywa on w ich przypadku nieskuteczny. O konsekwencjach tej sytuacji dla pacjentów i systemu ochrony zdrowia oraz o potrzebie zmian opowiedziała prof. dr hab. n. med. Alina Kułakowska, prezes elekt Polskiego Towarzystwa Neurologicznego, konsultant ds. neurologii w województwie podlaskim, zastępca kierownika Kliniki Neurologii Uniwersyteckiego Szpitala Klinicznego w Białymstoku.

**Wielokrotnie w kontekście SM słyszymy, że czas ma kluczowe znaczenie. Jak w takim razie możemy odnieść się do sytuacji, kiedy u pacjentów leczonych w pierwszej linii, czyli w programie B.29, po okresie dobrej odpowiedzi na leki nastąpił postęp choroby i powinni otrzymać preparaty dostępne w programie B.46, czyli w drugiej linii leczenia? Mogłoby się wydawać, że takie przejście powinno się odbywać automatycznie, ale niestety tak się nie dzieje. Dlaczego?**

Obecnie w Polsce pacjenci mają bardzo dobry dostęp do leków pierwszej linii, ale niestety w przypadku niektórych chorych mogą się one okazać nieskuteczne. I tu rzeczywiście może pojawić się problem, ponieważ kryteria nieskuteczności, które pozwalająby na włączenie pacjenta do programu lekowego drugiej linii, są w naszym kraju bardzo rygorystyczne. Zostały stworzone wiele lat temu i nie są poparte najnowszą wiedzą naukową. W związku z tym wielu pacjentów, u których leczenie pierwszej linii ewidentnie jest nieskuteczne, nie może otrzymać leczenia drugiej linii. Czasami np. pojawiają się nowe aktywne ogniska w badaniu rezonansu magnetycznego, ale pacjent nie ma rzutów choroby. Może też być tak, że chory ma rzut, nawet ciężki, ale nie udaje się uchwycić nowych zmian w badaniu rezonansu magnetycznego. W naszym kraju, aby pacjent mógł otrzymać leczenie drugiej linii, jego stan musi się bardzo pogorszyć i klinicznie, i radiologicznie, co brzmi paradoksalnie. Dlatego pacjenci, którzy są przełączani do programu drugiej linii po nieskuteczności leczenia pierwszoliniowego, są już zazwyczaj w stosunkowo zaawansowanym stadium choroby, w którym odpowiedź na wysoce skuteczne leki drugiej linii będzie znacznie słabsza, niż gdyby otrzymali je wcześniej.

W tej chwili dysponujemy kilkunastoma preparatami modyfikującymi przebieg choroby, leczącymi postać rzutowo-remisyjną SM. Kryteria włączania wielu z nich na podstawie ChPL są tożsame z kryteriami włączenia do programu



Fot. Termedia

”

Wprowadzenie programów lekowych już odbija się na danych ZUS, z których wynika, że spada absencja chorobowa wśród chorych na SM

lekowego pierwszej linii w Polsce. Kilka preparatów tego typu ubiega się więc o to, aby mogły być refundowane w programie lekowym pierwszej linii. W tej chwili cztery wysoce skuteczne leki mają pozytywną ocenę Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji i aplikują o możliwość refundacji w programie lekowym pierwszej linii. Obecnie w każdym ośrodku leczącym SM są pacjenci, którzy już kilkakrotnie mieli zmienne leczenie w tzw. układzie poziomym, czyli z jednego leku pierwszej linii, który był nieskuteczny, na inny lek pierwszej linii, który również okazał się nieskuteczny. W takiej sytuacji nie mamy żadnego innego leku, który moglibyśmy zastosować. Nie możemy też dać pacjentowi leku o wyższej skuteczności, ponieważ nie spełnia

kryteriów przejścia do drugiej linii leczenia. Ale nie spełnia też kryteriów nieskuteczności, które są zawarte w programie lekowym pierwszej linii. Pozostaje więc na leczeniu, które nie jest efektywne.

**Jednym z leków stosowanych w drugiej linii, czyli w programie lekowym B.46, jest Tysabri (natalizumab), którego skuteczność i bezpieczeństwo zostały potwierdzone w badaniach klinicznych i rzeczywistej praktyce lekarskiej. Niedawno zarejestrowano jego nową postać przeznaczoną do podawania podskórnego. Jakie ma ona zalety dla pacjenta, a także dla systemu ochrony zdrowia?**

Tysabri jest jednym z bardzo skutecznych leków dostępnych w drugiej linii leczenia. Po wielu latach praktyki klinicznej z wykorzystaniem tej terapii mamy mnóstwo danych, które potwierdzają zarówno skuteczność, jak i bezpieczeństwo leku na dużych grupach pacjentów. Obecnie Tysabri jest podawany dożylnie, ale została zarejestrowana jego forma podskórna, która jest korzystniejsza pod każdym względem. Po pierwsze jest łatwiejsza technicznie do podania. Chorzy na SM muszą mieć wielokrotnie pobieraną krew do badań laboratoryjnych i co jakiś czas podawane kroplówki, w związku z czym dostęp do żył z czasem staje się u nich coraz trudniejszy. Podanie podskórne leku jest znacznie prostsze. Wymaga również dużo mniej sprzętu. W efekcie ta forma podania leku jest tańsza, a przede wszystkim mniej obciążająca chorego i personel medyczny. Kolejną zaletą jest to, że iniekcja podskórna trwa bardzo krótko, a cała procedura wykonania wlewu dożylnego może zająć nawet do kilku godzin. Dzięki formie podskórnej pacjent oszczędza swój czas, co jest niezwykle ważne, ponieważ chorzy na SM to zazwyczaj osoby młode, czynne zawodowo, uczące się. Do tego dochodzi jeszcze kwestia zaangażowania personelu medycznego, którego bardzo nam brakuje. W tej chwili praktycznie wszystkie ośrodki leczące pacjentów z SM cierpią na braki kadrowe. Brakuje nam

# nia SM

Rozmawiała Agata Misiurewicz-Gabi

lekarzy neurologów, którzy mogliby prowadzić programy lekowe, mamy niewystarczającą liczbę personelu pielęgniarskiego. To wszystko może sprawić, że będzie nam coraz trudniej leczyć pacjentów w programie lekowym. Dodatkowo przez ostatnich kilka lat z powodu pandemii narósł tzw. dług zdrowotny. Już teraz widzimy, że w okresie pandemii zmniejszyła się liczba pacjentów wprowadzanych do programu lekowego. To znaczy, że prawdopodobnie wielu chorych, którzy powinni być zdiagnozowani i włączeni do programu lekowego, do tej pory nie zgłosiło się do lekarza. Za jakiś czas, kiedy do nas trafią, będą prawdopodobnie w gorszym stanie klinicznym, niż gdyby wcześniej rozpoznano u nich chorobę.

Kolejnym problemem, z którym musimy się dziś zmierzyć, są uchodźcy. Już trafiło do Polski ponad 2 mln uchodźców z Ukrainy. Większość z nich to młode kobiety, a wiemy, że SM jest chorobą młodych kobiet – kobiety chorują 2–3 razy częściej niż mężczyźni. Wiemy też, że uchodźcy z Ukrainy mają być w Polsce leczeni w programach lekowych na tych samych zasadach co obywatele polscy. W związku z tym należy oczekiwać znacznego wzrostu liczby pacjentów. Dlatego bardzo korzystne byłoby wprowadzenie zmian, które sprzyjałyby zmniejszeniu obciążenia personelu medycznego zaangażowanego w prowadzenie programów lekowych. Jedną z nich mogłoby być wdrożenie formy podskórnej natalizumabu. Nas, jako środowisko neurologiczne, bardzo cieszy, że lek Tysabri został zarejestrowany do podawania podskórnie. Liczymy jednak na to, że ta forma zostanie również zrefundowana w ramach programu lekowego. Jeśli tak się nie stanie, to sam fakt zarejestrowania leku niewiele w Polsce zmieni.

**Ilu chorych uczestniczących w programie lekowym B.29 jest leczonych nieskutecznie, a jednocześnie nie kwalifikuje się do programu B.46 ze względu na bardzo restrykcyjne kryteria?**

To bardzo trudne pytanie, ponieważ nikt tak naprawdę nie zna na nie odpowiedzi. Są pewne ekstrapolacje danych dotyczących małych grup, ale trudno tego typu szacunki uznać za wiążące. Można ustalić liczbę pacjentów z tzw. częściową nieskutecznością leczonych w programie lekowym pierwszej linii, ale w tym celu należałoby przeprowadzić analizę danych z systemu monitorowania programów lekowych (SMPT), najlepiej z okresu przed pandemią, a więc przeanalizować lata 2018–2019. Każdy chory leczony w progra-



Fot. Termedia

”

W Polsce, aby pacjent mógł otrzymać leczenie drugiej linii, jego stan musi się bardzo pogorszyć i klinicznie, i radiologicznie, co brzmi paradoksalnie

mie pierwszej linii ma co 12 miesięcy tzw. wizytę roczną, podczas której są wprowadzane dane kliniczne i radiologiczne. Dzięki temu można zobaczyć, ilu pacjentów ma w danej chwili tzw. częściową nieskuteczność leczenia pierwszoliniowego, a zarazem niewystarczające objawy kliniczne i radiologiczne, aby przejść do programu drugiej linii. Dopóki nie przeprowadzimy analizy danych z SMPT, dopóty niestety dane przedstawiane przez różne organizacje pacjenckie, środowisko lekarskie, firmy farmaceutyczne będą się różnić. Obecnie podawane liczby wahają się od kilkuset do kilku tysięcy osób. A jak jest naprawdę? Na to pytanie nie potrafimy odpowiedzieć w sposób jednoznaczny. Przeprowadzono wprawdzie analizę danych SMPT z lat 2014–2017 i wyniki zostały opublikowane, jednak w tej chwili są one

już nieaktualne. Wydaje się, że jedyną instytucją, która mogłaby wykonać wiarygodną analizę danych SMPT, jest NFZ.

**Pacjent z SM pozbawiony skutecznej terapii jest narażony na drastyczne przyspieszenie rozwoju choroby, co może prowadzić do poważnej niepełnosprawności. Jakie mogą być tego następstwa kliniczne i terapeutyczne? Jaki ma to wpływ na system ochrony zdrowia?**

Konsekwencje pogorszenia stanu klinicznego chorych na SM są ogromne. Musimy zdać sobie sprawę, że choroba jest rozpoznawana u tzw. młodych dorosłych, czyli osób pomiędzy 20. a 40. rokiem życia. Zdarza się, że nawet wcześniej – u nastolatków. Są to więc osoby w wieku produkcyjnym – pracujące, uczące się, będące na początku swojej drogi życiowej, podejmujące decyzje o założeniu rodziny, o posiadaniu potomstwa. Mówimy o młodych współmałżonkach czy rodzicach małych dzieci. Dlatego konsekwencje pogorszenia ich stanu zdrowia są bardzo poważne. Osoby te zamiast efektywnie pracować, jeżeli ich stan się pogorszy, będą wymagać opieki, świadczeń, pomocy w sensie materialnym, ale również w sensie społecznym. Nie będą mogły pełnić swoich ról społecznych, czyli być rodzicem czy współmałżonkiem. Jako społeczeństwo nie możemy sobie na to pozwolić. Fakt wprowadzenia programów lekowych już w tej chwili odbija się korzystnie na danych ZUS, z których wynika, że spada absencja chorobowa wśród chorych na SM. Pacjenci ci rzadziej też przechodzą na renty inwalidzkie. Nakłady poniesione na leczenie SM zwrócą się zarówno pod względem finansowym, jak i społecznym.

**Ostatnie zmiany w programie lekowym dotyczącym SM miały miejsce we wrześniu 2020 r. Wielokrotnie eksperci i pacjenci sygnalizowali konieczność modyfikacji zapisów programu lekowego drugiej linii. Czy wiadomo, kiedy możemy się spodziewać oczekiwanego złagodzenia kryteriów włączania pacjentów do tego programu?**

Niestety nie potrafimy odpowiedzieć na to pytanie. O potrzebie zmiany rygorystycznych kryteriów włączania pacjentów do drugiej linii leczenia mówi się od dawna. Całe środowisko neurologiczne w Polsce i przede wszystkim pacjenci z SM chcieliby, aby to się stało jak najszybciej. Dlatego wielokrotnie wnioskowaliśmy do Ministerstwa Zdrowia w tej sprawie, jednak dotąd bezskutecznie. ■