

PRIORITIES AND CHALLENGES IN POLISH AND EUROPEAN DRUG POLICY

Jak optymalnie wykorzystać potencjał innowacyjnych leków onkologicznych

W ostatnich latach na listach refundacyjnych pojawiły się innowacyjne leki onkologiczne. O tym, jak najlepiej wykorzystać ich potencjał, dyskutowali eksperci w trakcie konferencji *Priorities and Challenges in Polish and European Drug Policy 2023*.

Polscy pacjenci w ostatnim czasie otrzymali dostęp do wielu nowoczesnych terapii lekowych. Niestety, część z nich nie jest wykorzystywana w zadowalającym stopniu. Jakie kroki należy podjąć, by ta sytuacja się zmieniła? O problemach w leczeniu onkologicznym na przykładzie raka płuca, raka nerki i raka piersi dyskutowali zaproszeni specjaliści. Wszyscy eksperci byli zgodni co do tego, że konieczne są zmiany strukturalne i organizacyjne. Bez poprawy dostępu do nowoczesnej diagnostyki, powszechnego wprowadzenia tzw. *cancer unitów* i stałego monitorowania działań nie będzie możliwe optymalne leczenie onkologiczne.

Rak płuca – ambitny program lekowy, braki w diagnostyce

– Program lekowy dla raka płuca to przykład dobrych zmian, ale i tego, z jakimi problemami się borykamy – mówiła prof. dr hab. n. med. Joanna Chorostowska-Wynimko, kierownik Zakładu Genetyki i Immunologii Klinicznej Instytutu Gruźlicy i Chorób Płuc w Warszawie. – Zakres refundacji w obrębie niektórych grup lekowych w pełni odpowiada standardom Europy Zachodniej czy Stanów Zjednoczonych. W ramach programu lekowego mamy bardzo dobry dostęp nie tylko do leków ukierunkowanych molekularnie, lecz także do immunoterapii. Nasz program jest bardzo ambitny i co ważne, dotyczy nie tylko chorych na zaawansowane postacie raka płuca, ale od 1 stycznia 2023 r. również pacjentów we wczesnym stadium choroby – przyznała. Ekspertka podkreśliła jednocześnie, że w raku płuca od dawna problemem jest wykorzystanie programu lekowego. – Nie będzie możliwości jego efektywnego wykorzystania, bez poprawy organizacji diagnostyki raka płuca. Mam na myśli wiele elementów tego procesu, w tym kwestię powiązania ośrodków diagnozujących z ośrodkami leczącymi. Specyfika raka płuca powoduje zaangażowanie nieco innych grup specjalistów na etapie diagnostyki, a innych na etapie leczenia, choć oczywiście te grupy częściowo się pokrywają – wyjaśniła. Od wielu lat toczą się dyskusje nad koncepcją ośrodków eksperckich, inaczej ośro-



W DEBACIE UCZESTNICZYLI:

- prof. dr hab. n. med. Joanna Chorostowska-Wynimko – kierownik Zakładu Genetyki i Immunologii Klinicznej Instytutu Gruźlicy i Chorób Płuc w Warszawie
- dr hab. n. med. Adam Maciejczyk – dyrektor naczelny Dolnośląskiego Centrum Onkologii we Wrocławiu, przewodniczący Krajowej Rady ds. Onkologii
- Aleksandra Rudnicka – rzecznik Stowarzyszenia na rzecz Walki z Chorobami Nowotworowymi Sanitas
- dr n. med. Joanna Streb – Szpital Uniwersytecki w Krakowie, konsultant województwa małopolskiego w dziedzinie onkologii
- Magdalena Władysiuk – wiceprezes HTA Consulting
- dr hab. n. med. Jakub Żołnierek – LuxMed Onkologia, prezes Stowarzyszenia Polska Grupa Raka Nerki

ków koordynowanej diagnostyki i leczenia raka płuca.

– Przypomnę, że w 2018 r. Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji wspólnie z gronem ekspertów wypracowała projekt, w którym zaproponowano optymalne rozwiązania funkcjonalne z wykorzystaniem istniejących struktur, tak aby maksymalnie zwiększyć przepustowość systemu – podkreślała prof. Joanna Chorostowska-Wynimko. – Nadal nie mamy takich ośrodków. Co więcej, widzimy niepokojące próby zmiany tego modelu. Mogę z całą odpowiedzialnością stwierdzić, że kopiowanie rozwiązań z innych modeli narządowych, na przykład z raka piersi, gdzie jest możliwość przeprowadzenia całości procesu diagnostyki i leczenia „pod jednym dachem”, w raku płuca się nie uda – przestrzegala. Wskazała też, że niektóre zmiany szczególnie można wprowadzić relatywnie

szybko, uzyskując znaczący pozytywny wpływ na praktykę kliniczną. – Przykładem może być objęcie refundacją pełnej listy biomarkerów predykcyjnych, wszystkich wymienianych przez program lekowy Ministerstwa Zdrowia. Obecnie refundacja dotyczy jedynie diagnostyki genetycznej, czyli tej, która identyfikuje chorych kwalifikowanych do terapii ukierunkowanych molekularnie, brakuje natomiast na tej liście jednego biomarkera – ekspresji białka PD-L1. Dopisanie go do katalogu badań wysokospecjalistycznych rozwiąże podstawowy dla wielu ośrodków problem, czyli refundację badania warunkującego kwalifikację do immunoterapii – kluczowej opcji terapeutycznej w zaawansowanym niedrobnokomórkowym raku płuca – mówiła prof. Joanna Chorostowska-Wynimko. – Opóźnienia we wdrażaniu unitów w opiece nad pacjentami z rakiem płuca niepoko-

ją nas wszystkich – dodał dr hab. n. med. Adam Maciejczyk, dyrektor naczelny Dolnośląskiego Centrum Onkologii we Wrocławiu, przewodniczący Krajowej Rady ds. Onkologii. – Krajowa Sieć Onkologiczna (KSO) zakłada współpracę między szpitalami, a także między unitami. Najwyższy czas, by zacząć planować takie relacje. Pamiętajmy, że ścieżka diagnostyczno-terapeutyczna pacjenta jest elastyczna, konstruowana na podstawie założeń i wytycznych dla danego nowotworu. Takie rozwiązania również testowaliśmy w ramach pilotażu KSO w raku płuca, piersi, jajnika, jelita grubego czy prostaty.

Rak nerki – sprawna diagnostyka, braki w terapii

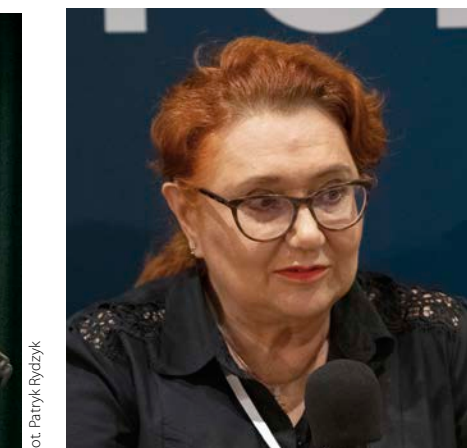
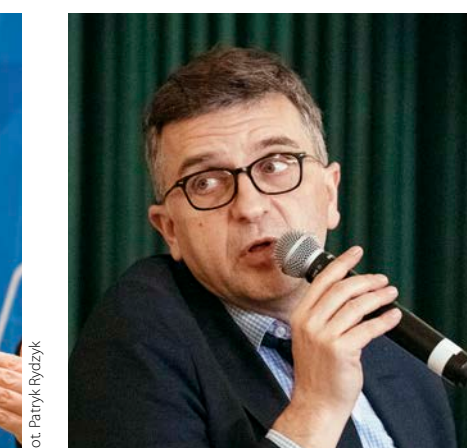
– W raku nerki nie mamy większych problemów z diagnostyką czy dostępnością leczenia w ramach programu lekowego, który jest

zakontraktowany w wielu ośrodkach onkologicznych – mówił dr hab. n. med. Jakub Żołnierek, onkolog kliniczny z LuxMed Onkologia, prezes Stowarzyszenia Polska Grupa Raka Nerki. – Jest natomiast problem z dostępem do nowoczesnych opcji terapeutycznych w dwóch obszarach. Brakuje nam immunoterapii o założeniu uzupełniającym, inaczej adjuwantowym, w stosunkowo wąskiej grupie pacjentów, którzy byli poddani radykalnemu leczeniu operacyjnemu i u których stwierdzono czynniki wysokiego ryzyka nawrotu choroby nowotworowej z racji miejscowego czy lokoregionalnego zaawansowania guza i/lub wysokiego stopnia złośliwości histologicznej. Nadal brakuje również dostępu w ramach refundacji i obowiązującego programu lekowego do skojarzonego leczenia w pierwszej linii leczenia ukierunkowanego molekularnie łącznie z immunoterapią nowej generacji. Apeluję o dołożenie wszelkich starań, by uruchomić dostęp do tej opcji terapeutycznej – dodał. Ekspert podkreślił, że łączne stosowanie tych dwóch klas terapeutycznych podwaja efektywność leczenia rozszew, zwiększając odsetek pozytywnych odpowiedzi, wydłużając czas wolny od progresji choroby nowotworowej, a także wydłużając czas całkowitego przeżycia chorych.

– Warto zaznaczyć, że ta strategia terapeutyczna umożliwia uzyskanie u stosunkowo wysokiego odsetka ok. 10 proc. chorych całkowitej remisji, a więc mówimy o wycofaniu się rozszewnego procesu nowotworowego, który generalnie rokuje źle – dodał dr hab. Jakub Żołnierek.

Rak piersi – coraz nowsze terapie, zbyt mało breast unitów i badań genetycznych

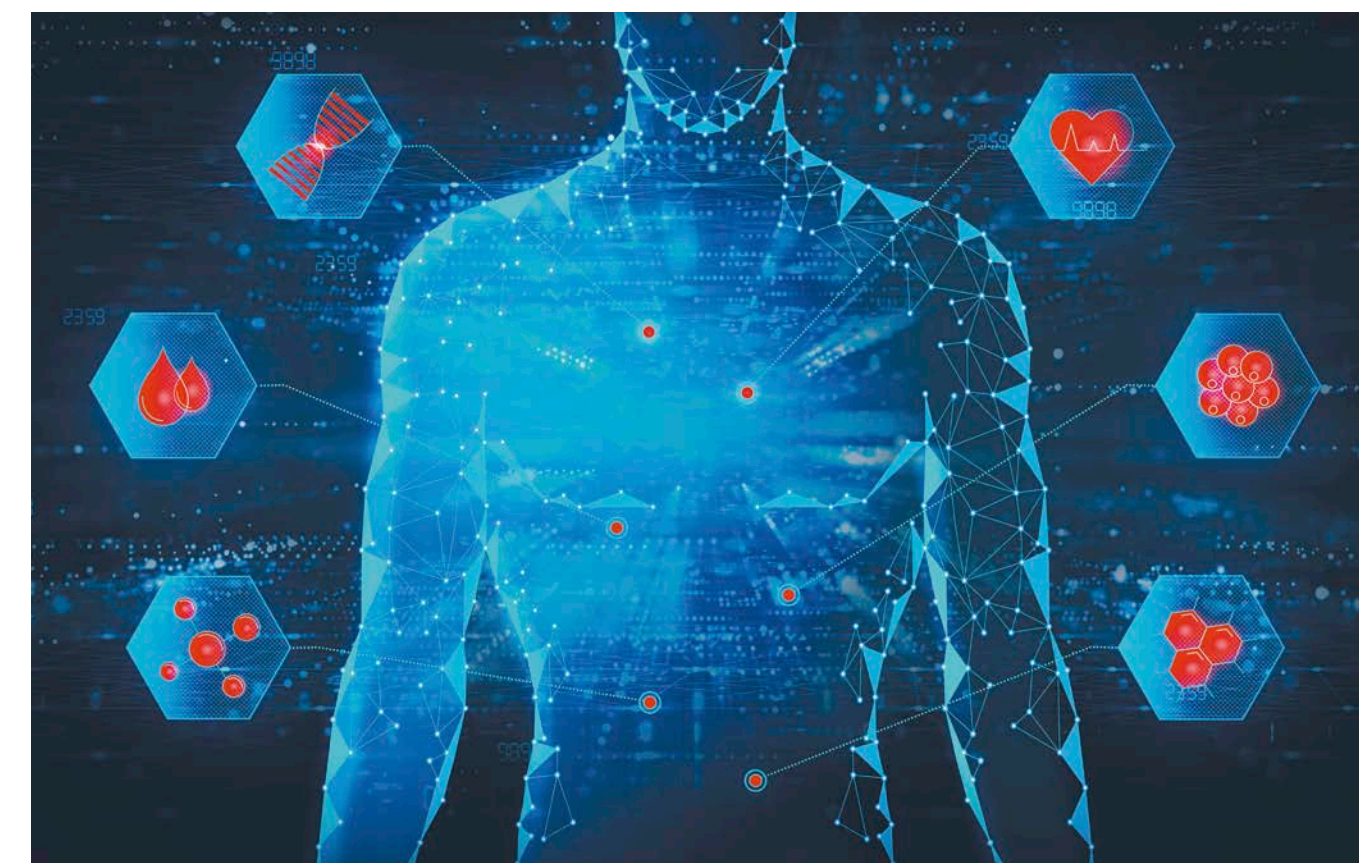
– Program raka piersi od 20 lat ciągle ewoluuje, pojawiają się coraz to nowe cząsteczki. Okazuje się, że wpływają one na wydłużenie czasu do progresji i czasu całkowitego przeżycia w raku rozszewnym, a także – jak już teraz widzimy – w leczeniu przedoperacyjnym – mówiła dr n. med. Joanna Streb ze Szpitala Uniwersyteckiego w Krakowie, konsultant województwa małopolskiego w dziedzinie onkologii. – Cały czas jednak czekamy na dostęp do nowych leków w terapii neoadjuwantowej, w leczeniu przedoperacyjnym, bo wiemy, że uzyskanie całkowitej odpowiedzi przed zabiegiem przekłada się później na wydłużenie czasu całkowitego przeżycia pacjentek. Oczekujemy na przedstawienie podczas ASCO wyników kolejnych badań dotyczących stosowania inhibitorów CDK4/6 w raku piersi. Być może wejdą one



prof. Joanna Chorostowska-Wynimko: Bez struktur pionowych, czyli funkcjonalnego połączenia diagnostyki i leczenia, nie będziemy mogli ani korzystać z tego, co już mamy, ani zwiększać efektywności systemu. Czas bacznie się przyjrzeć, dlaczego pewne procesy nie działają

dr hab. Adam Maciejczyk: Opóźnienia we wdrażaniu unitów w opiece nad pacjentami z rakiem płuca niepokoją nas wszystkich. Krajowa Sieć Onkologiczna zakłada współpracę między szpitalami, a także między unitami. Najwyższy czas, by zacząć planować takie relacje

Aleksandra Rudnicka: Sama diagnostyka raka płuca trwa 5 tygodni, a od podejrzenia choroby do rozpoczęcia leczenia mija 4–8 miesięcy. To absolutnie niedopuszczalne w tak szybkim postępującym nowotworze



PRIORITIES AND CHALLENGES IN POLISH AND EUROPEAN DRUG POLICY

do terapii adjuwantowej, czyli leczenia uzupełniającego – wyjaśniła.

– Mamy też te same problemy co w innych nowotworach. Sieć ośrodków zajmujących się leczeniem raka piersi, tzw. breast unitów, jest wciąż zbyt mała. Ocena patomorfologiczna, tzn. oznaczenie receptorów progesteronowych i estrogenowych HER2 i K67, jest dostępna a priori w momencie pobierania materiału do weryfikacji, czyli przy biopsji. Pojawiają się jednak nowe czynniki predykcyjne i nowe badania genetyczne, z którymi musimy się jakoś uporać – zaznaczyła dr Joanna Streb.

Czas, by zbierać dane i je analizować

– Przed nami stoi duże wyzwanie, by przekształcić obecny system w ramach Narodowej Strategii Onkologicznej (NSO) i KSO, nie niszcząc zasobów ludzkich, strukturalnych i pewnych form świadczeń, które istnieją – zaznaczyła Magdalena Władysiuk, wiceprezes HTA Consulting.

Zdaniem ekspertki wszystkie ośrodki będą się borykały z problemami na różnych poziomach. Część z nich, takie jak finansowanie, wprowadzanie świadczeń i technologii, organizacja pracy, można rozwiązać systemowo. Kluczową sprawą jest jednak zarządzanie szpitalami czy świadczeniodawcami. – Tutaj niestety obserwujemy duże zaniedbania w ciągu ostatnich 20 lat. Mamy słabą kadrę menedżerską, bo zaniedbaliśmy jej kształcenie, a w wielu przypadkach upolityczniliśmy funkcjonowanie szpitali. Musimy zdać sobie sprawę z tego, że dyrektorzy szpitali stanowią ważne ogniwo poprawy funkcjonowania systemu, a współpraca między dyrektorami jest kluczowa, żeby polepszyć organizację pracy na poziomie jednostek, szczególnie że mamy koordynatorów – podkreślała Magdalena Władysiuk. – Narodowa Strategia Onkologiczna i KSO otwierają przed nami nowe perspektywy. Pojawianie się nowych technologii lekowych pociąga za sobą konieczność rozwoju nowoczesnej diagnostyki, a to wymaga stałego monitorowania. Musimy mierzyć ich skuteczność, bo tylko w ten sposób będziemy wiedzieli, dlaczego na przykład programy lekowe źle funkcjonują. Mam nadzieję, że tworzona Rada ds. Onkologii przy NSO będzie zbierała informacje z kraju i odpowiednio je porządkowała, byśmy mogli systematycznie poprawiać system – mówiła Magdalena Władysiuk. – Uważam, że digitalizacja to szansa na lepsze, wydajniejsze wykorzystanie zasobów. Rozwój e-DiLO może się stać narzędziem komunikacji, sprawozdawczości i współpracy pomiędzy ośrodkami. Mówimy tu na przykład o kwestii niepowtarzania badań czy przesuwania pacjentów, by otrzymali świadczenia szybciej. Zwiększenie przepływu w systemie jest bowiem kluczowe – dodała.

Optymalizacja okiem pacjentów – skończmy z odyseją diagnostyczną

– Z punktu widzenia pacjentów najtrudniejszym etapem jest diagnostyka. Mamy



Fot. Patryk Bydzyk



Fot. Patryk Bydzyk



Fot. Patryk Bydzyk

”

dr Joanna Streb: *Czekamy na dostęp do nowych leków w terapii neoadjuwantowej raka piersi, bo wiemy, że uzyskanie całkowitej odpowiedzi przed zabiegiem przekłada się później na wydłużenie czasu całkowitego przeżycia pacjentek*

nawet termin „odyseja diagnostyczna” – mówiła Aleksandra Rudnicka ze Stowarzyszenia na rzecz Walki z Chorobami Nowotworowymi Sanitas. – Dlatego ten rok dla pacjentów onkologicznych i hematologicznych jest poświęcony diagnostyce genetycznej. Mamy bowiem nowoczesne terapie, programy lekowe, ale nie mamy badań, które pozwalają zakwalifikować pacjentów do leczenia. Tak jest na przykład z badaniem PD-L1 w raku płuca. W przypadku badań genetycznych jest problem z panelami i ich wprowadzeniem. Są one dobrze wycenione na poziomie ośrodków, które posiadają własne laboratoria, brakuje natomiast wyceny badania z tzw. świeżego materiału pobranego de novo w ramach porady ambulatoryjnej – zauważyła.

– Mamy dobre programy lekowe, ale często w mniejszych ośrodkach. Właśnie z powodu niedostępności badań genetycznych dochodzi do ich fragmentaryzacji. Na przykład w raku płuca niektóre ośrodki wybierają tylko lek stosowany w najczęstszej mutacji. Jeśli pacjent ją ma, to jest leczony zgodnie z programem. Jeśli jednak nie ma tej określonej mutacji, to proponuje mu się chemioterapię albo odsyła do innej placówki. Są też ośrodki ambitne, które próbują dalej realizować leczenie takiego pacjenta, ale efekt jest taki, że mamy ok. 10 proc. pacjentów zdiagnozowanych genetycznie w raku płuca. Sama diagnostyka trwa 5 tygodni, a od podejrzenia raka płuca do rozpoczęcia leczenia mija 4–8 miesięcy. To absolutnie niedopuszczalne w tak szyb-

”

Magdalena Władysiuk: *Pojawianie się nowych technologii lekowych pociąga za sobą konieczność rozwoju nowoczesnej diagnostyki, a to wymaga stałego monitorowania. Musimy mierzyć ich skuteczność, bo tylko w ten sposób będziemy wiedzieli, dlaczego na przykład programy lekowe źle funkcjonują*

ko postępującym nowotworze – stwierdziła Aleksandra Rudnicka.

Mamy dużo do zrobienia

– Do tej pory wszyscy zajmowaliśmy się mniej lub bardziej diagnostyką i leczeniem nowotworów. Teraz musimy się nauczyć organizacji opieki onkologicznej, a szczególnie mierzenia jakości i efektywności systemu. Jest to szczególnie ważne teraz, w okresie wdrożenia KSO. Bez zmian w organizacji nowe programy lekowe nie będą realizowane – podsumował dr hab. Adam Maciejczyk.

– Warto zacząć działać na najwcześniejszych etapach leczenia, wcześniej podawać leki. Programy lekowe trzeba tak zreformować, by lekarze byli do nich przygotowani i nie bali się ich prowadzić. Trzeba też skupić się na budowaniu właściwych postaw w społeczeństwie, bo na przykładzie nałogu tytoniowego widać, że sama wiedza o jego szkodliwości nie wystarcza – podkreśliła Aleksandra Rudnicka.

– Bez struktur pionowych, czyli funkcjonalnego połączenia diagnostyki i leczenia, nie będziemy mogli ani korzystać z tego, co już mamy, ani zwiększać efektywności systemu. Czas baczenie się przyjrzeć, dlaczego pewne procesy nie działają, z czego wynika fakt, że kompleksowa diagnostyka i leczenie chorych na raka płuca są organizacyjnie tak bardzo trudne w istniejącym systemie opieki zdrowotnej, dlaczego przytłaczająca większość chorych jest diagnozowana w warunkach szpitalnych, a nie ambulatoryjnie itd. – wymieniła prof. Joanna Chorostowska-Wynimko.

”

dr hab. Jakub Żołnierek: *Nadal brakuje dostępu w ramach refundacji i obowiązującego programu lekowego do skojarzonego leczenia w pierwszej linii rozsiewu raka nerki z wykorzystaniem leczenia ukierunkowanego molekularnie łącznie z immunoterapią nowej generacji*

– Weszliśmy w Polsce na taki etap, że warto zacząć się zastanawiać nad wprowadzaniem nowoczesnych leków na wczesnych etapach, nie zapominając jednak również o chirurgii i radiologii. Musimy pamiętać, że wprowadzanie nowych terapii lekowych będzie podnosiło koszty, ale dzięki nowoczesnym technologiom, ograniczonym w czasie, dającym możliwość reagowania na neoadjuwancie i adjuwancie, mamy szansę dalej poprawiać wyniki, szczególnie w grupach pacjentów najgorzej rokujących – zaznaczyła Magdalena Władysiuk.

– Chciałbym zaapelować, by w zapisach programów lekowych unikano zawierania kontrowersyjnych treści, takich jak tworzenie własnych definicji progresji czy oceny nieskuteczności, bo w ten sposób powstaje lokalny folklor onkologiczny i wprowadzamy dualizm oraz zamieszenie w kwestii ocen opartych na wiedzy medycznej. W efekcie stosujemy definicje, które są dla wielu klinicystów zupełnie niezrozumiałe i niosą szereg zagrożeń – dodał dr hab. Jakub Żołnierek.

– Mówiąc o optymalizacji nowoczesnych terapii, nie zapominajmy, że ważne jest, by zacząć je stosować wtedy, kiedy pacjenci są leczeni z możliwością radykalnego wyleczenia. W potrójnie ujemnym raku piersi byłaby to chemioimmunoterapia neoadjuwantowa, która w tym bardzo agresywnym nowotworze, dotyczącym młodych kobiet, z reguły z mutacją BRCA1, BRCA2, w momencie uzyskania całkowitej odpowiedzi przekłada się na dobre wyniki końcowe leczenia – podkreśliła dr Joanna Streb.

Maria Kowalska