

VII KONGRES WIZJA ZDROWIA DIAGNOZA I PRZYSZŁOŚĆ FORESIGHT MEDYCZNY

W roku jubileuszu 90-lecia Polskiego Towarzystwa Neurologicznego neurologia stała się dziedziną priorytetową

Podczas debaty na temat innowacyjnych terapii w neurologii w trakcie konferencji Wizja Zdrowia – Diagnoza i Przyszłość eksperci i przedstawiciele organizacji pacjentów rozmawiali o niezaspokojonych potrzebach chorych na stwardnienie rozsiane oraz osób z rzadkimi zespołami padaczkowymi.

Potrzeby neurologii w Polsce zostały dostrzeżone – świadczy o tym powołanie Krajowej Rady ds. Neurologii oraz wpisanie tej dziedziny na listę specjalizacji priorytetowych. W latach 2019–2023 minister zdrowia podjął ponad 20 decyzji o refundacji nowych leków, między innymi stosowanych w terapii udarów mózgu, padaczki, migreny przewlekłej, stwardnienia rozsianego, rdzeniowego zaniku mięśni, dystrofii mięśniowej Duchenne’a, zespołu miastenicznego Lamberta-Eaton’a, choroby Devica, a także chorób ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (*neuromyelitis optica spectrum disorders* – NMOSD).

Raport „Stan polskiej neurologii i kierunki jej rozwoju w perspektywie do 2030 r.” to dokument przygotowany przez Polskie Towarzystwo Neurologiczne (PTN) i Uczelnię Łazarskiego. Jego autorzy postulują nadanie neurologii statusu trzeciego – po kardiologii i onkologii – priorytetu zdrowotnego w naszym kraju. Podkreślają konieczność zwiększenia kadr medycznych i pomocniczych, a także podniesienia wyceny świadczeń.

Stwardnienie rozsiane – nowe wytyczne

W Polsce jest ok. 50 tys. chorych na stwardnienie rozsiane (*sclerosis multiplex* – SM), a w programie lekowym B.29 leczonych jest ponad 21 tys. pacjentów. Liczba chorych diagnozowanych i włączanych do programu znacząco wzrosła po pandemii. Według danych NFZ w 2019 r. było to 1700 osób, w 2020 r. 1300 osób, w 2021 r. ponownie 1700 osób, a w 2022 r. już 2800 osób. Wszyscy pacjenci, którzy zostali zdiagnozowani i mają wskazania do włączenia leczenia modyfikującego przebieg choroby, otrzymują terapię.

– Na przykładzie SM bardzo dobrze widać, jak wielkie zmiany zaszły w neurologii. Pierwsze preparaty przeznaczone do leczenia SM pojawiły się dopiero 30 lat temu. Dzisiaj na świecie zarejestrowanych jest wiele leków o różnych mechanizmach działania, a chorzy w Polsce mają dostęp do większości z nich. Dzięki temu mo-



W DEBACIE UCZESTNICZYLI:

- **prof. dr hab. n. med. Monika Adamczyk-Sowa** – Katedra i Klinika Neurologii w Zabrzu Śląskiego Uniwersytetu Medycznego w Katowicach, Polskie Towarzystwo Neurologiczne, prezes Sekcji Stwardnienia Rozsianego i Neuroimmunologii PTN
- **prof. dr hab. n. med. Alina Kułakowska** – Klinika Neurologii Uniwersytetu Medycznego w Białymstoku, prezes elekt Polskiego Towarzystwa Neurologicznego
- **prof. dr hab. n. med. Maria Mazurkiewicz-Betdzińska** – kierownik Kliniki Neurologii Rozwojowej Gdańskiego Uniwersytetu Medycznego, przewodnicząca Polskiego Towarzystwa Neurologów Dziecięcych
- **Mateusz Oczkowski** – zastępca dyrektora Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji, Ministerstwo Zdrowia
- **prof. dr hab. n. med. Konrad Rejdak** – kierownik Kliniki Neurologii Uniwersytetu Medycznego w Lublinie, prezes Polskiego Towarzystwa Neurologicznego
- **prof. dr hab. n. med. Halina Sienkiewicz-Jarosz** – kierownik Kliniki Neurologii Instytutu Psychiatrii i Neurologii w Warszawie, Polskie Towarzystwo Neurologiczne, przewodnicząca Krajowej Rady ds. Neurologii
- **Iwona Sierant** – prezes Polskiego Stowarzyszenia na rzecz Dzieci Chorych na Padaczkę

żemy personalizować leczenie – mówiła prof. dr hab. n. med. Monika Adamczyk-Sowa z Katedry i Kliniki Neurologii w Zabrzu Śląskiego Uniwersytetu Medycznego w Katowicach, prezes Sekcji Stwardnienia Rozsianego i Neuroimmunologii PTN. – Rekomendacje klinicystów zrzeszonych w Sekcji Stwardnienia Rozsianego i Neuroimmunologii PTN to dokument, który powstawał w ciągu ostatnich kilkunastu miesięcy. Wskazujemy w nim, w jaki sposób prowadzić terapię u pacjentów z SM. Jak ją

rozpoczynać, jak zmieniać, jak przelączać chorych z jednej terapii na drugą, w jaki sposób planować ciężę. Mamy nadzieję, że stanowi on kompendium wiedzy na temat SM – dodała ekspertka. – W ciągu ostatnich lat dostęp do terapii SM bardzo się poprawił. Dysponujemy niemalże wszystkimi terapiami immunomodulującymi, ale to nie zaspokaja naszych potrzeb. Chcielibyśmy móc zaoferować pacjentom wszystkie formy podania tych leków, które są dostępne. Zabiegamy o dostęp

do terapii natalizumabem w formule podskórnej dla pacjentów, którzy uzyskują korzyść ze stosowania tego leku, ale mają problem z dostępem żylnym, co uniemożliwia kontynuację terapii. Oczekujemy również dostępu do refundowanych leków w terapii objawowej. Chcemy mieć możliwość zastosowania toksyny botulinowej u pacjentów ze spastycznością – wymieniała prof. Monika Adamczyk-Sowa. – Mamy kilkanaście dostępnych leków, nasi pacjenci są leżeni coraz dłużej, często już

kolejnym lekiem. Terapia staje się coraz trudniejsza, decyzje terapeutyczne są coraz bardziej skomplikowane i wymagają wiedzy eksperckiej. Ośrodków, w których leczy się SM, jest ponad 130, a pacjentów ok. 50 tys. Co prawda większość chorych mieszka blisko ośrodka leczącego, ale chodzi też o to, żeby te placówki naprawdę miały odpowiednie doświadczenie w leczeniu – dodała prof. dr hab. n. med. Alina Kułakowska z Kliniki Neurologii Uniwersytetu Medycznego w Białymstoku, prezes elekt PTN. – Połączenie programów lekowych w listopadzie ubiegłego roku dało możliwość leczenia wszystkimi lekami we wszystkich ośrodkach. Niestety, wiele z nich nadal nie wykorzystuje nowych terapii. Stąd nasz apel o wprowadzenie w życie postulatów sformułowanych w dokumencie opracowanym przez PTN we współpracy z ekspertami Uczelni Łazarskiego. Zakładamy budowę sieci ośrodków leczących SM o różnej referencyjności. Powinny powstać centra doskonałości wyspecjalizowane w diagnostyce i leczeniu SM, połączone z siecią mniejszych ośrodków leczących na danym terenie. Żeby jednak tak się stało, konieczna jest odpowiednia wycena procedur w tych ośrodkach i opracowanie pakietów diagnostycznych. To jest właśnie największe wyzwanie – poprawa organizacji leczenia – stwierdziła. – Neurologia oprócz procedur ambulatoryjnych, czyli opieki nad pacjentami, którzy mogą być diagnozowani i leczeni ambulatoryjnie, zajmuje się też pacjentami, którzy mogą być leczeni tylko i wyłącznie w szpitalu – zauważył prof. dr hab. n. med. Konrad Rejdak, kierownik Kliniki Neurologii Uniwersytetu Medycznego w Lublinie, prezes PTN. – Oddziały neurologiczne są przepelnione, a to powoduje, że pożądana jest każda możliwość przeniesienia pacjentów ze szpitala pod opiekę ambulatoryjną. Refundacja natalizumabu w formie podskórnej pozwoliłaby

prof. Monika Adamczyk-Sowa: Zabiegamy o dostęp do terapii natalizumabem w formule podskórnej dla pacjentów, którzy uzyskują korzyść ze stosowania tego leku, ale mają problem z dostępem żylnym, co uniemożliwia kontynuację terapii

właśnie na taką zmianę i uwolniła pacjentów od obciążających wlewów dożylnych. Skrócenie czasu podania, zmniejszenie liczby zaangażowanych kadr medycznych, szczególnie w kontekście kryzysu szpitalnictwa w zakresie neurologii, to korzyści trudne do przecenienia – przekonywał.

– Mówimy o ambulatoryjacji leczenia, odciążeniu szpitali, ale nie bierzemy pod uwagę tego, że w obu tych miejscach bardzo często pracują ci sami lekarze – dodała prof. dr hab. n. med. Halina Sienkiewicz-Jarosz, kierownik Kliniki Neurologii Instytutu Psychiatrii i Neurologii w Warszawie, członek zarządu PTN, przewodnicząca Krajowej Rady ds. Neurologii. – Godzą się oni na takie podwójne obciążenie, bo pacjent jest najważniejszy. Lepsze wyceny umożliwią poprawę wynagrodzeń, ale też na przykład zatrudnienie koordynatorów, którzy będą wspierali neurologów i odciążą ich – tłumaczyła.

– Z analizy kosztów bezpośrednich i pośrednich ponoszonych przez ZUS, którą przeprowadziliśmy na Uczelni Łazarskiego, wynika, że po wprowadzeniu 2 lata temu nowych terapii zmniejszyła się znacząco liczba orzeczonych rent i dni absencji chorobowych. Wydatki ZUS w obszarze SM spadły w perspektywie 7 lat o 100 mln zł. To jest spektakularny wynik. Chorzy na SM to młodzi, aktywni ludzie, którzy chcą pracować i żyć jak ich zdrowi rówieśnicy, więc

prof. Alina Kułakowska: Ośrodków, w których leczy się SM, jest ponad 130, a pacjentów ok. 50 tys. Co prawda większość chorych mieszka blisko ośrodka leczącego, ale chodzi też o to, żeby te placówki naprawdę miały odpowiednie doświadczenie w leczeniu

każda skuteczna, ale również przyjazna dla nich terapia jest bardzo potrzebna – podkreślił moderator dyskusji dr n. med. Jakub Gierczyński, ekspert ochrony zdrowia. – Neurologia od lat króluje w obszarze wskazań nieonkologicznych – zauważył Mateusz Oczkowski, zastępca dyrektora Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji w Ministerstwie Zdrowia. – Mija właśnie rok od podjęcia przez Ministerstwo Zdrowia decyzji o połączeniu programów lekowych. Przy tej okazji udało nam się zrefundować 9 nowych wskazań, między innymi w pierwszej linii leczenia postaci rzutowo-remisyjnej i postaci wtórnie postępującej. W tym roku osiągnęliśmy porozumienie w sprawie refundacji kladybiny i okreli-zumabu w pierwszej linii w postaci rzutowo-remisyjnej. W procesie refundacyjnym mamy natalizumab w postaci podskórnej, toksynę botulinową w leczeniu objawowym spastyczności, jak również chlorowodorek oksybutyniny w leczeniu neurogennej nadreaktywności wypieracza u pacjentów z SM – mówił.

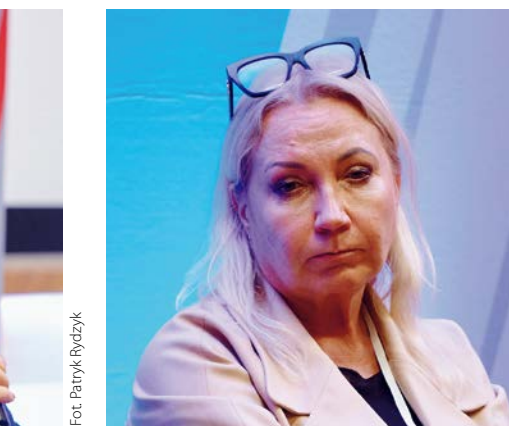
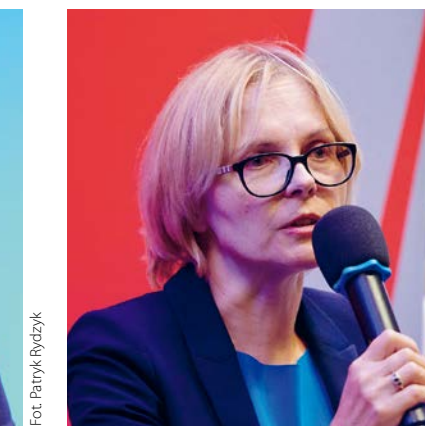
Personalizacja leczenia w rzadkich zespołach padaczkowych

– Widzimy znaczny postęp w leczeniu rzadkich zespołów padaczkowych – przyznała prof. dr hab. n. med. Maria Mazurkiewicz-Betdzińska, kierownik Kliniki Neurologii Rozwojowej Gdańskiego Uniwersytetu

prof. Maria Mazurkiewicz-Betdzińska: Jesteśmy u progu negocjacji z ministerstwem leku, który jest czystym kannabidiolem, a został przebadany w badaniach klinicznych w zespole Dravet i zespole Lennox-Gastauta

Medycznego, przewodnicząca Polskiego Towarzystwa Neurologów Dziecięcych (PTND). – W przypadku pacjentów z rzadkimi encefalopatiami padaczkowymi czy rozwojowymi, takimi jak zespół Dravet czy zespół Lennox-Gastauta, możemy już mówić o personalizacji leczenia. W rzadkich zespołach padaczkowych pacjent otrzymuje niewiarygodnie dużo leków. Personalizacja ma polegać na tym, że otrzyma lek pierwszego rzutu, lek drugiego rzutu, a potem dostanie leki celowane na bardzo charakterystyczne cechy tych zespołów padaczkowych – wyjaśniła.

– Jesteśmy u progu negocjacji z ministerstwem leku, który jest czystym kannabidiolem, a został przebadany w badaniach klinicznych w zespole Dravet i zespole Lennox-Gastauta. Znajduje się również w wytycznych towarzystw neurologicznych, w tym Sekcji Padaczki PTN oraz PTND. Wiemy, że ma swoje miejsce w kolejnej linii leczenia w tych zespołach. Dobrze by było, gdyby dla tej grupy pacjentów był dostępny w refundacji w sytuacji, gdy standardowe leki nie działają. Powinno się go stosować według rzutowości, jeśli są spełnione kryteria lekooporności. Zastosowanie tego leku daje szansę na to, że komfort, jakość życia i redukcja liczby napadów padaczkowych u pacjentów będą satysfakcjonujące. Nie spodziewamy się, że wszystkich pacjentów uwolnimy od napadów, ale mamy nadzieję,



VII KONGRES WIZJA ZDROWIA DIAGNOZA I PRZYSZŁOŚĆ FORESIGHT MEDYCZNY



Fot. Patryk Rydzik



Fot. Patryk Rydzik



Fot. Patryk Rydzik



Fot. Patryk Rydzik

”

Mateusz Oczkowski: *W procesie refundacyjnym mamy natalizumab w postaci podskórnej, toksynę botulinową w leczeniu objawowym spastyczności i chlorowoderek oksybutyniny w leczeniu neurogennej nadreaktywności wypieracza u pacjentów z SM*

że u części z nich uda się powstrzymać ich kaskadę – mówiła ekspertka.

– W padaczkę każde leczenie, które nie redukuje liczby napadów, jest niesatysfakcjonujące. Pojawia się jednak pytanie, jakim kosztem osiągamy tę redukcję. Możemy pacjentowi podać wszystkie leki, którymi dysponujemy, uspimy go i nie będzie miał napadów, ale przecież nie o to chodzi. Pacjent chce w miarę normalnie funkcjonować, uczyć się, chodzić do szkoły, być samodzielny, na ile to możliwe. W przypadku zespołów, o których mówimy, te potrzeby nie są zaspokojone. To bardzo mała grupa pacjentów, ale wyjątkowo istotna, ponieważ poprzez szybkie włączenie leczenia możemy zapobiec instytucjonalizacji oraz dysfunkcji całych rodzin. Zależy nam na tym, by doprowadzić naszych pacjentów do 18. roku życia w jak najlepszej formie. Wkrótce pojawią się kolejne leki, które będą służyły niewielkim grupom chorych. To jest kierunek, w którym zmierza terapia padaczki. Są oczywiście leki o szerokim spektrum, uznane i skuteczne, ale dla szczególnych grup pacjentów mamy leki, które zaspokajają ich specyficzne potrzeby i są lekami wysoce innowacyjnymi – tłumaczyła prof. Maria Mazurkiewicz-Beldzińska.

– Nasza organizacja istnieje od 20 lat i przez cały ten czas zgłaszają się do nas rodzice z całej Polski – mówiła Iwona Sierant, prezes Polskiego Stowarzyszenia na rzecz Dzieci Chorych na Padaczkę. – Im cięższy typ padaczki, tym problemy są bardziej złożone i bardziej dramatyczne. Zespoły padaczkowe, które zaliczamy do chorób rzadkich, to ciężkie padaczki rozpoczynające się we wczesnym okresie życia, ale większość

”

prof. Konrad Rejdak: *W przebiegu zespołów encefalopatii padaczkowych dochodzi do strasliwej degradacji całego organizmu, pojawiają się dodatkowe objawy i urazy. Interwencja terapeutyczna na wczesnym etapie mogłaby sprawić, że skutki choroby nie byłyby tak tragiczne*

tych dzieci nie rodzi się niepełnosprawna. To choroba znacząco wpływa na rozwój dziecka, którego mózg dopiero się kształtuje. Staje się ono niepełnosprawne na kolejnych etapach życia na skutek napadów padaczkowych, które powodują uszkodzenia mózgu. Jeżeli już bardzo wczesnie ten rozwój jest zaburzony, to dziecko ma niewielkie szanse, że będzie kiedyś samodzielne. Dlatego tak ważne jest, by leczenie zaczynać jak najwcześniej i by było ono dostępne w ramach refundacji. Na rynku jest bardzo dużo leków, ale dla nas istotne są leki celowane. To, że kannabidiol otrzymał pozytywną ocenę Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT), że potwierdzono jego kliniczną skuteczność, to dla nas wspaniała wiadomość. Rośnie w nas nadzieja, że zostanie objęty refundacją – dodała.

– Mówiąc o encefalopatiach padaczkowych, musimy pamiętać o jednej bardzo ważnej sprawie – nagłej śmierci w padaczkę – podkreśliła prof. Maria Mazurkiewicz-Beldzińska. – Rzadko się o tym mówi, ale szczególnie zespół Dravet niesie ze sobą zwiększone ryzyko nagłej śmierci w padaczkę, a innowacyjne terapie mają też temu zjawisku zapobiegać. To dotyczy kilkuset pacjentów w Polsce, którzy muszą być dobrze dobrani do tego leczenia – zaznaczyła.

– W zespole Dravet mamy do czynienia z defektem genetycznym, którego nie zmienimy, ale możemy znacząco wpłynąć na przebieg choroby, złagodzić zaburzenia rozwojowe – dodał prof. Konrad Rejdak. – Mniej napadów to lepsza zdolność do rehabilitacji, do rozwoju umysłowego. Im pacjent jest lepiej leczony w dzieciństwie i wczesnej młodości, tym potem łatwiej

”

prof. Halina Sienkiewicz-Jarosz: *Nadal wielu pacjentów, którzy osiągnęli wiek dorosły, nie ma ustalonej przyczyny lekooporności padaczki. To jest grupa, nad którą powinniśmy się pochylić, żeby uzyskać lepsze wyniki leczenia*

go prowadzić jako dorosłego. W przebiegu zespołów encefalopatii padaczkowych dochodzi do strasliwej degradacji całego organizmu, pojawiają się dodatkowe objawy i urazy. Wszystko to sprawia, że w wieku dorosłym, którego dożywa tylko pewien procent chorych, zorganizowanie kompleksowej opieki jest wielkim wyzwaniem i zwykle odbywa się to w zakładach opiekuńczo-leczniczych. Interwencja terapeutyczna na wczesnym etapie mogłaby sprawić, że skutki choroby nie byłyby tak tragiczne – wyjaśnił.

– Musimy mieć świadomość, że dzieci rosną i stają się dorosłymi pacjentami – podkreśliła prof. Halina Sienkiewicz-Jarosz. – Wraz z pojawianiem się skutecznych terapii rośnie też apetyt na coraz lepsze efekty. Mówimy o redukcji liczby napadów, o wydłużaniu się czasu wolnego od napadów. Nadal wielu pacjentów, którzy osiągnęli wiek dorosły, nie ma ustalonej przyczyny lekooporności padaczki. To jest grupa, nad którą powinniśmy się pochylić, żeby uzyskać lepsze wyniki leczenia – lepszą kontrolę napadów. Przy padaczkę lekoopornej pojawiają się potrzeby związane z diagnostyką, również genetyczną, i ewentualnym leczeniem operacyjnym. Każda nowa terapia przeciwpadaczkowa, a właściwie przeciwnapadowa, której skuteczność została udowodniona, zwiększa nasze szanse na indywidualizowanie leczenia i dobieranie go do potrzeb pacjenta – mówiła.

– Wszystkie wnioski dotyczące leczenia padaczki, które do nas wpłynęły na przestrzeni lat, zostały objęte refundacją – zapewnił Mateusz Oczkowski. – Możemy jedynie ubolewać, że nie wpływają do nas

”

Iwona Sierant: *To, że kannabidiol otrzymał pozytywną ocenę AOTMiT, że potwierdzono jego kliniczną skuteczność, to dla nas wspaniała wiadomość. Rośnie w nas nadzieja, że zostanie objęty refundacją*

wnioski w zakresie padaczek lekoopornych i rzadkich zespołów padaczkowych. W przypadku kannabidiolu wniosek o refundację został złożony dopiero po 2 latach od jego pojawienia się na liście technologii lekowych o dużej wartości klinicznej. Wnioskodawca zdecydował się na jego złożenie nie tylko dla wąskiej populacji, o której mówimy, lecz dla całego zakresu wskazań, czyli również stwardnienia guzowatego, co sprawia, że dotyczy to już kilku tysięcy pacjentów, co w połączeniu z różnicą kilku rzędów wielkości ceny jednostkowej stanowi duże wyzwanie dla płatnika publicznego. Poza tym w przypadku kannabidiolu mamy leczenie skojarzone z klobazamem, który ma zupełnie inną rejestrację wiekową, więc pojawia się pytanie, kto weźmie odpowiedzialność za leczenie pacjentów, jeśli zdecydujemy się na jak najszerzą populację. A to nie jedyne kwestie, które musimy wyjaśnić, zanim zapadnie rozstrzygnięcie, co będzie miało swój finał w obwieszczeniu stycznym – tłumaczył.

– Uważam, że nie trzeba się bać wielkości grupy pacjentów, ponieważ nawet po zsumowaniu tych trzech grup chorych jest to niewielka populacja – odpowiedziała prof. Maria Mazurkiewicz-Beldzińska. – Będą oni leczeni w programach lekowych przez ekspertów, którzy doskonale znają zasady terapii i nie ma niebezpieczeństwa, że lek zostanie podany bez potrzeby. A optymistycznym akcentem jest informacja, że pojawił się w badaniach klinicznych nowy celowany oligonukleotyd antysensowny na zespół Dravet – leczenie przeciwpadaczkowe, a nie przeciwnapadowe – zakończyła.

Agnieszka Pacuła