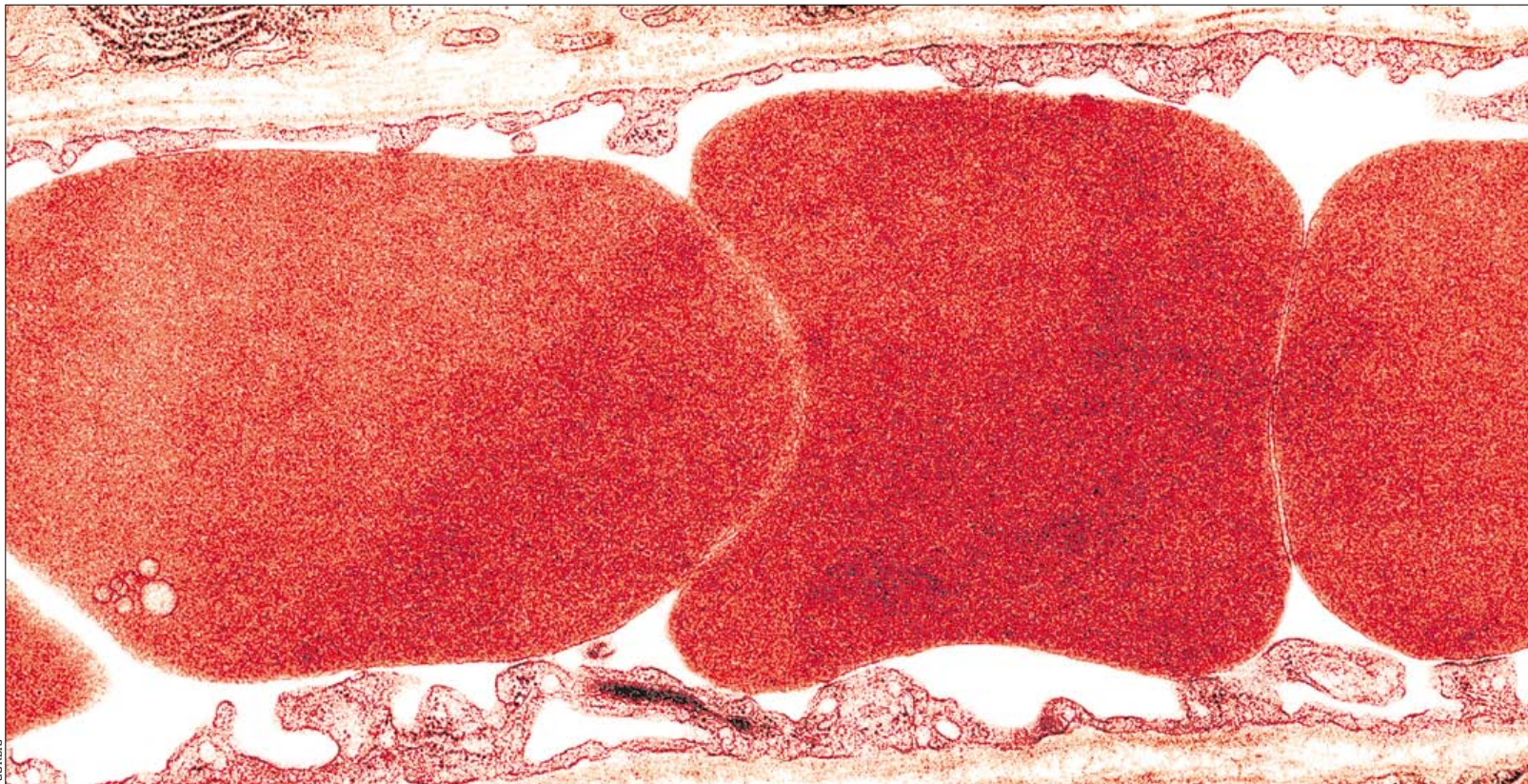


# „INNOWACJE W FARMAKOTERAPII HEMATOONKOLOGICZNEJ - NADZIEJE DLA CHORYCH, ROZWIĄZANIA DLA SYSTEMU”

Wtorek | 20 GRUDNIA 2011

Dodatek specjalny

DEBATA W „RZECZPOSPOLITEJ”



← Krwinki czerwone

## Wygrana w walce z rakiem

Nowotwory układu krwiotwórczego i limfoidalnego ze względu na przebieg kliniczny wymagają kosztownych, ale też coraz bardziej skutecznych metod diagnostyczno-terapeutycznych. Potrzeba też ośrodków, w których pacjenci będą leczeni według najnowszych standardów

AGNIESZKA USIARCZYK

**D**ane Polskiej Unii Onkologii pokazują, że w Polsce na ostrą białaczkę szpikową choruje rocznie 1200 osób, na limfoblastyczną – ok. 600. Przewlekła białaczka szpikowa dotyczy 600 chorych rocznie, limfocytowa zaś – 1700. Każdego roku notuje się ponad 6 tys. zachorowań na chłoniaki niezłazmicytowe, tysiąc osób zapada na chłoniaki Hodgkina, a u 1600 diagnozuje się szpiczaki plazmocytowe.

- Tak niepokojący obraz epidemiologiczny wynika m.in. z przedłużenia długości życia kobiet i mężczyzn oraz ze skażenia środowiska. Wszystko, co zjadamy, wypijamy, powietrze, którym oddychamy, jest skażone coraz większą liczbą czynników rakotwórczych. Oprócz tego za ważniejsze przyczyny powstania nowotworów hematologicznych uznaje się także m.in. zaburzenia regulacji immunologicznej i infekcje bakteryjne (helicobacter pylori). Istotne są też czynniki

genetyczne, infekcje wirusowe, promieniowanie jonizujące i przyjmowanie leków immunosupresyjnych. Na zachorowanie wpływ może mieć również ekspozycja na środki chemiczne owado- i grzybobójcze, rozpuszczalniki chemiczne farb, palenie papierosów, dieta bogata w tłuszcze i związki azotowe – mówi dr n. med. Janusz Meder, prezes Polskiej Unii Onkologii.

Dziś chorych diagnozuje się i leczy w 18 krajowych, wyspecjalizowanych ośrodkach (w Instytucie Hematologii, Centrum Onkologii, w klinikach hematologicznych uniwersytetów medycznych), które mają zaplecze umożliwiające zastosowanie nowoczesnej diagnostyki cytogenetycznej i molekularnej i nowoczesnego leczenia (np. terapii celowanych molekularnie).

### Atakują nie tylko węzły

Białaczki i chłoniaki to nowotwory złośliwe rozwijające się najczęściej w węzłach chłonnych lub np. w śledzionie, wątrobie, szpiku, żołądku, mózgu, kościach

i płucach. Dlatego warto raz w roku wykonywać podstawowe badania krwi, na podstawie których można rozpoznać białaczkę.

- Pierwsze objawy białaczki są niespecyficzne, sygnalizować ją mogą takie symptomy jak: apatia, osłabienie, blada skóra, brak apetytu, skłonność do powstawania siniaków. W przypadku chłoniaków, a częściowo także białaczki, głównymi objawami są powiększone węzły chłonne na szyi, pod pachami, w pachwinach, wewnątrz klatki piersiowej i jamy brzusznej. Gdy choroba atakuje narządy wewnętrzne, pojawiają się także stany podgorączkowe, chorzy są osłabieni, chudną, skarżą się na swędzenie skóry, dokuczają im kaszel, duszności, bóle brzucha – mówi lekarz.

Trzeba wiedzieć, że powiększenie węzłów chłonnych, które nie ustępuje mimo leczenia przez okres dwóch – maksymalnie trzech tygodni, wymaga wnikliwego sprawdzenia (biopsja oraz badanie mikroskopowe). Skuteczność leczenia może zapewnić wysoki stopień intensywności terapii.

### Terapia szyta na miarę

- Dotychczas stosowaną terapię skojarzoną w różnych sekwencjach czasowych – chirurgię, radioterapię i chemioterapię – powinna zastąpić zintegrowana terapia skojarzona w z góry zaplanowanych sekwencjach terapeutycznych i określonym czasie. Chodzi o to, by tego typu leczenie pozwoliło na jak najlepsze wyniki terapeutyczne przy najniższym ryzyku wystąpienia ciężkich powikłań u pacjentów – mówi prezes PUO. Współczesne zintegrowane leczenie zgodne z taką koncepcją musi poprzedzać nowoczesna diagnostyka molekularna. Według onkologów postępy w terapii (indywidualne modyfikowanie terapii na podstawie zdefiniowanych biomarkerów) pozwolą z większym prawdopodobieństwem doprowadzić do wyeliminowania u chorych wszystkich opornych na leczenie macierzystych komórek nowotworowych.

- Z wielką nadzieją obserwujemy przypadki coraz dłuższych okresów remisji w nowoczesnym leczeniu np. szpiczaka i chłonia-

ków albo wręcz pełnej odpowiedzi molekularnej na leczenie z zastosowaniem terapii nowej generacji np. w przypadku przewlekłej białaczki szpikowej. Z ostrożnym optymizmem liczymy na możliwość całkowitej wygranej z chorobą – dodaje specjalista.

Obecnie w badaniach klinicznych testowanych jest ponad 200 różnego rodzaju leków celowanych, czyli ukierunkowanych molekularnie.

- Coraz częściej klinicyści na świecie skutecznie upominają się o możliwość zastosowania nowoczesnych terapii już w pierwszej linii, a nie dopiero w kolejnych etapach choroby. Dobrana zgodnie z zasadami medycyny spersonalizowanej daje większe szanse na szybszą odpowiedź organizmu, a co za tym idzie, także oszczędności. Takie rozwiązania postulują również polscy hematoolodzy, kierując się przede wszystkim możliwością poprawy efektów leczenia, ale też odpowiedzialnością za publiczne wydatki – zaznacza dr Janusz Meder.

### Dla dobra pacjenta

W ramach społeczno-edukacyjnej kampanii „Liczymy się z naszym zdrowiem”, zainicjowanej przez Polską Unię Onkologii w partnerstwie z Fundacją Watch Health Care, Business Centre Club i Agencją Green PR, odbywają się spotkania, podczas których eksperci dyskutują m.in. o postępie i wyzwaniach w medycynie, o kryzysie finansów publicznych.

- Zindywidualizowana terapia i możliwość jej stosowania w jak najkrótszym czasie od diagnozy, uelastycznienie procedury zmian w programach terapeutycznych, np. udostępnienie cierpiącym na niewydolność nerek w szpiczaku mnogim terapii optymalnej albo dodatkowe ubezpieczenia zdrowotne – to rozwiązania, które mają zapewnić dobro pacjentowi, o których będziemy rozmawiać – dodaje prezes PUO.

Pierwsza debata poświęcona była rozwiązaniom systemowym pozwalającym zwiększyć dostęp do innowacyjnych metod farmakoterapii onkologicznej, druga – wyzwaniom hematologicznym. ■

Kampania społeczno-edukacyjna



LICZYMY SIĘ  
Z NASZYM ZDROWIEM

RZECZPOSPOLITA

Business Centre Club

Agencja  
GREEN PR



# Sztywne procedury uniemożliwiają

O barierach dostępu do innowacyjnych metod leczenia hematologicznego rozmawiali uczestnicy debaty „Innowacje w farmakoterapii”

**H**ematologia to nauka o wielu odmianach białaczki, chłoniaków i szpiczaka. We wszystkich tych jednostkach chorobowych istnieją ustalone standardy leczenia, zgodne z zaleceniami opracowanymi przez Polską Unię Onkologii. Dzisiejsze sposoby leczenia w Polsce są znacznie bliższe światowym standardom. Dokonał się spory postęp w tej dziedzinie. Przeszczepianie szpiku odbywa się na skalę masową: ponad 1000 zabiegów rocznie przeprowadzanych jest w Polsce. Ale problemem jest m.in. sytuacja chorych, którzy wymagają leczenia powyżej drugiej, trzeciej linii leczenia, gdy mamy do czynienia z kolejnymi nawrotami choroby lub brakiem odpowiedzi organizmu na dotychczas zastosowaną terapię. Na tym etapie czegoś takiego jak standardy nie ma i być nie może – mówił podczas debaty prof. Wiesław Jędrzejczak, konsultant krajowy ds. hematologii. – Głównym problemem naszych pacjentów z chorobami krwi jest brak dostępności do skutecznego, nowoczesnego leczenia. Im rzadsza choroba, tym trudniejsze jest zapewnienie chorym dostępu do nowych terapii (wysokie koszty leczenia).

Hematolodzy podkreślają, że brak dostępu do optymalnego leczenia dla Polaków cierpiących na szpiczaka mnogiego sprawia, że chorzy umierają zbyt szybko. By temu zapobiec, powinni być leczeni najlepszymi dostępnymi lekami od momentu zdiagnozowania choroby.

Szpiczak mnogi (plazmocytozy) jest drugim co do częstości występowania nowotworem układu krwiotwórczego. Wywodzi się z komórek układu odpornościowego i produkujących przeciwciała – tzw. limfocytów B. Szacuje się, że w Polsce co roku zapada na niego 1500 osób, a ogólna liczba pacjentów wynosi 8 – 10 tys. Najczęściej chorują osoby po 65. roku życia. Choroba może prowadzić m.in. do uszkodzenia układu kostnego, niedokrwistości lub niewydolności nerek, którą stwierdza się u 10 – 15 proc. chorych.

Jak tłumaczył prof. Jędrzejczak, światowym standardem jest u chorych na szpiczaka z niewydolnością nerek zastosowanie jednego z nowych leków – bortezomibu od początku terapii, a nie dopiero w kolejnych rzutach choroby. W Polsce, zgodnie z aktualnymi zapisami

programu terapeutycznego, preparat ten można podawać pacjentom, dopiero gdy pierwszy lek nie pomoże. Także zgodnie z przepisami nie podaje się go pacjentom, którzy mają problemy z nerkami. A ma je ok. 10 proc. chorych na szpiczaka.

By to zmienić, należałoby doprecyzować niektóre zapisy w programach terapeutycznych i automatycznie je wprowadzać. – Od dawna upominamy się o rozwiązanie kwestii leczenia chorych na szpiczaka z niewydolnością nerek. Program terapeutyczny właściwie zakazuje stosowania leku niezbędnego chorym. Zgodnie z aktualną wiedzą jest to lek polecany w rozpoznaniu niewydolności nerek. Wystarczyłaby drobna zmiana w programie uwzględniająca interes chorego. Również w interesie tych chorych jest podanie bortezomibu w pierwszej linii. Wtedy szanse pacjenta rosną. Decyzję o zastosowaniu leków powinien podejmować specjalista, który ma doświadczenie kliniczne – mówi prof. dr hab. Anna Dmoszyńska z Katedry i Kliniki Hematologii i Transfuzjologii Szpiku na Uniwersytecie Medycznym w Lublinie.

## Kary za leczenie

Prof. Jędrzejczak zwrócił uwagę, że w czerwcu 2010 r. złożył do Ministerstwa Zdrowia wniosek w sprawie zmiany w programie terapeutycznym, jednak do tej pory nie przyniosło to skutku. – Niestety, obecnie w świetle prawa nawet najmniejsze odstępstwo od zapisu programu jest rodzajem przestępstwa. Żadne więc zdroworozsądkowe korekty dezaktualizacji czy niedociągnięć programu nie mogą być wprowadzone, ponieważ za niesubordynację grożą szpitalowi dotkliwe kary finansowe. Dziś sytuacja wygląda następująco: pacjent potrzebuje leku, my go podajemy, terapia działa i... spotyka nas kara! Rozwiązaniem byłaby systemowa aktualizacja programów raz na pół roku – mówi prof. Jędrzejczak.

Profesor dodał też, że niektóre z przygotowanych przez niego programów leczenia długo czekały na opinie Agencji Oceny Technologii Medycznych. – A to grozi tym, że zanim wprowadzone zostaną niezbędne korekty, zmieniają się już wskazania do podawania leku i program trzeba będzie oceniać ponownie – zaznacza specjalista.

– W przypadku podawania bortezomibu chorym z niewydolnością nerek potrzebna jest

drobna zmiana w programie terapeutycznym dotycząca uwzględnienia jednego przeciwwskazania albo jego wyeliminowania, bo pojawiły się ważne dowody naukowe – i to nie wymaga ponownej oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych – ale już decyzja o zastosowaniu bortezomibu w pierwszej linii leczenia szpiczaka, związana ze zmianą populacji chorych, a zatem także poziomu finansowania, wymaga naszej oceny – mówi Wojciech Matusiewicz, prezes AOTM.

I dodaje: – Prof. Jędrzejczak przygotował projekt zmian programu leczenia szpiczaka mnogiego w czerwcu 2010 r. Zlecenie oceny dostaliśmy od ministra zdrowia w kwietniu 2011. Jeszcze nie wydaliśmy rekomendacji do tego programu, ale może to dobrze, gdyż minął rok i zmieniły się zasady stosowania bortezomibu. W pierwszym programie był on kwalifikowany w drugiej linii leczenia, a dzisiaj jest już zarejestrowany do leczenia w pierwszej linii niektórych postaci szpiczaka. W nowym programie niewydolność nerek nie jest przeciwwskazaniem do podawania bortezomibu. Ten lek powinien być także stosowany w leczeniu amyloidozy, ale w tej chwili nie ma prawem dopuszczalnej możliwości poza chemioterapią niestandardową. Chodzi bowiem o wskazanie pozarejestrowane. Tymczasem są już publikacje naukowe, które wskazują na możliwość powodzenia takiej terapii w leczeniu amyloidozy – uważa Matusiewicz.

## Nowa ustawa

Prezes AOTM podkreśla, że lekarze często myślą biurokrację z przejrzystością. – Choroby hematologiczne są bardzo zróżnicowane, a przez to rzadkie. Badania robi się na niewielkich grupach pacjentów. W takiej sytuacji trudno jest ocenić skuteczność, a zwłaszcza bezpieczeństwo czasem bardzo drogiej terapii. Budżety, nawet najbogatszych krajów, nie są w stanie sfinansować wszystkiego, co w tej chwili jest innowacyjne i co trafia na rynki. I tak dziś dużo szybciej rejestruje się leki niż jeszcze 15 – 20 lat temu. Ale nie wszystkie innowacje przynoszą efekty. Często po dwóch – trzech latach znikają z rynku farmaceutycznego, bo okazują się niestety niebezpieczne – mówi. Jego zdaniem agencja zazwyczaj ocenia program terapeutyczny w ciągu trzech – sześciu miesięcy.

Pomóc może nowa ustawa refundacyjna, która skróci proces legislacyjny, wprowadzając zmiany w zasadach finansowania nowych leków. – Od nowego roku państwo będzie mogło finansować leki (programy lekowe), które nie mają zarejestrowanych wskazań do leczenia rzadkich odmian chorób nowotworowych. To duży krok naprzód – tłumaczy prezes AOTM.

Cieszą się też lekarze. – Taka zmiana bardzo ułatwi nam leczenie najnowszymi lekami, gdy tylko ukażą się publikacje naukowe potwierdzające, że mają one pozytywny wpływ na pacjentów – tłumaczy prof. Jędrzejczak.

Na konieczność skrupulatnej oceny leków i programów zwraca uwagę też Edyta Matusik, główny specjalista w Departamencie Polityki Lekowej i Farmacji w Ministerstwie Zdrowia. – Zakwalifikowanie świadczenia jako świadczenia gwarantowanego obejmującego finansowanie leczenia zarówno nowo zarejestrowanymi lekami, jak również lekami obecnie finansowanymi, których wskazania zostały rozszerzone, wymaga oceny AOTM. Żaden system i budżet państwa nie jest w stanie udźwignąć finansowania wszystkich nowo wchodzących leków we wszystkich wskazaniach, bez tworzenia uregulowań jasno określających finansowanie tych świadczeń. Brak tych uregulowań prowadziłby do niejasnych kryteriów dostępu do poszczególnych terapii dla pacjentów, a w konsekwencji również do różnic w dostępie do świadczeń. Dodam też, że oczekiwania na wydanie rekomendacji Prezesa AOTM w przypadku szpiczaka mnogiego nie skutkuje brakiem dostępu do leczenia dla pacjentów, gdyż leczenie w zakresie opisanym w ocenianym programie jest finansowane w ramach chemioterapii niestandardowej – mówi Edyta Matusik.

## Półowa wyleczona

Choroby hematologiczne bywają już w Polsce wyleczalne. – Uczyniliśmy ogromne postępy. Paradoksalnie częścią naszego problemu jest sukces. Gdy 20 – 30 lat temu ktoś zachorował na ostrą białaczkę, po trzech tygodniach umierał. Kosztowało to system jedną hospitalizację. Dziś chory albo zostaje wyleczony, albo żyje z chorobą i jest hospitalizowany nawet 30 – 40 razy. W związku z tym liczba świadczeń uległa zwielokrotnieniu.



♦ Debata „Innowacje w farmakoterapii hematologicznej – nadzieje”

Obecnie udaje się wyleczyć 30 proc. wszystkich chorych na białaczkę, u kolejnych 30 proc. choroba przechodzi w fazę przewlekłą; chorzy żyją z nią latami. To sukces, ale wiążący się z wydatkami – mówi prof. Jędrzejczak.

Zdaniem klinicystów i w szpiczaku, i w przewlekłej białaczce szpikowej powinno się podawać leki kolejnej generacji na najwcześniejszym etapie choroby, by mówić o skutecznym leczeniu. – Nilotym, lek tzw. drugiej generacji o wysokiej skuteczności, został zarejestrowany przez agencje amerykańskie i europejskie do leczenia w pierwszej linii. Z korzyścią dla pacjentów i systemu. Od kilku miesięcy na tych samych zasadach lek powinien być stosowany w Polsce. Ale nie sądzę, by zmiany wprowadzono w najbliższym roku i by można było go podać chorym. Nowe leki drugiej generacji stosowane w pierwszej linii mają dzisiaj prawdopodobnie lepsze działanie od tych pierwszej generacji i należy z tego dobrodziejstwa skorzystać, a nie w sposób sztuczny je ograniczać – mówi prof. Krzysztof Warzocha, dyrektor Instytutu Hematologii i Transfuzjologii.

Problem zbyt dużego zbiurokratyzowania programów dotyka

przede wszystkim pacjentów. Negatywnie o systemie ochrony zdrowia wypowiada się prof. Andrzej Hellmann, konsultant ds. hematologii w województwie pomorskim. – Problemy biorą się stąd, że nasze podejście do leczenia jest zbyt zbiurokratyzowane. Należałoby przywrócić zaufanie do lekarza, który prowadzi leczenie. W tej chwili jesteśmy skazani na kierowanie się schematami, ocenami urzędników, wypełnianie sprawozdań, zamiast skutecznie prowadzić terapię potrzebne chorym. Jeżeli zbyt długo będziemy się zastanawiać, gdzie postawić kropkę i przecinek, pół roku czekać na podpisanie dokumentów przez AOTM, to wydaje mi się, że nigdy nie będzie w Polsce dobrze – komentuje prof. Hellmann.

W ocenie Jacka Gugulskiego, prezesa Polskiej Koalicji Organizacji Pacjentów Onkologicznych (PKOPO), brak elastyczności powoduje, że pacjenci nie mają dobrego dostępu do leczenia. Według niego lekarz staje się urzędnikiem i nie może decydować zgodnie z wiedzą medyczną. – Sam jestem pacjentem i idąc do lekarza, chciałbym, żeby leczył mnie według aktualnego stanu wiedzy. Chorzy na nowotwory krwi czekają



♦ Anna Dmoszyńska



♦ Marek Goliszewski



♦ Jacek Gugulski



♦ Andrzej Hellmann



♦ Wiesław Jędrzejczak



♦ Krzysztof Łanda



# Wizualizacja właściwego leczenia

opieki hematoonkologicznej – nadzieje dla chorych, rozwiązania dla systemu” pod patronatem „Rzeczpospolitej”



„Nadzieje dla chorych, rozwiązania dla systemu” w „Rzeczpospolitej”

na skuteczne terapie. Jako pacjenci rozumiemy, że wydatki na służbę zdrowia muszą być kontrolowane. Niechaj tylko w tym procesie znaczącą rolę mają klinicyści! Pamiętajmy, że pacjenci ze schorzeniami przewlekłymi leczeni skutecznie będą produktywni. To niezwykle ważne w kryzysie – mówi prezes PKOPO.

Podobnego zdania jest prof. dr hab. med. Jan Walewski, kierownik Kliniki Nowotworów Układu Chłonnego Centrum Onkologii w Warszawie: – Ewolucja systemu refundowania leków, zwłaszcza innowacyjnych, w Polsce niebezpiecznie zmierzania ku całkowitemu wyeliminowaniu decyzji lekarza. Tak być nie może. Nikt nie kwestionuje potrzeby usystematyzowanego sposobu tworzenia rekomendacji, ale administracja państwowa powinna brać pod uwagę zdanie lekarza. Za chorego nie odpowiada ani urzędnik w NFZ, ani w ministerstwie, tylko ja i tylko ja rozmawiam z tym człowiekiem. Ewolucja zmierzająca do umniejszenia roli lekarza to zły kierunek zmian – podkreśla.

O tym, jak poprawić w Polsce dostęp do standardowych na świecie procedur leczniczych, mówił także dr Janusz Meder, prezes Polskiej Unii On-

kologii. Ubolewał, że od 25 lat nie ma wypracowanych należytych modeli leczenia pomimo chęci lekarzy i ich wiedzy.

– Wielu z nas od kilkudziesięciu lat dopomina się o konieczne zmiany. Niestety, zanim wdrożymy konkretne rozwiązanie, zmienia się ekipa rządząca. By zapewnić dostęp do tzw. optymalnego leczenia, niezbędny jest dialog. Definicja leczenia optymalnego mówi wyraźnie, że to jest dostarczenie pacjentowi najlepszej metody leczniczej w oparciu o medycynę faktów, stosownie do poziomu finansowania w danym kraju. Niezbędna jest reforma ochrony zdrowia uwzględniająca zwiększenie stawki ubezpieczeniowej, dopuszczająca współpracę za procedury tańsze z ochroną najbiedniejszych i dopuszczająca równoległy rynek ubezpieczeń komplementarnych. Jeśli to nie nastąpi, za jakiś czas spotkamy się jeszcze bardziej sfrustrowani tym, co powinno nas uskrzydlać: postępowaniem nauki – mówi Meder. Według niego brakuje też partnerskiego dialogu klinicystów z decydentami.

Ubolewa nad tym także prof. Dmoszyńska. – Wszyscy pacjenci powinni mieć dostęp do skutecznego leczenia i płatnik w ramach statutowych obowiązków

powinien za to płacić. Rzeczywiście nie ma dialogu między NFZ a specjalistami. Jako konsultant wojewódzki czuję się niewykorzystana. Wielokrotnie proponowałam prezesom, dyrektorom oddziałów NFZ pomoc i uczestnictwo w negocjacjach, bo dokładnie wiem, gdzie można znaleźć oszczędności w systemie. Ani razu nie zostałam zaproszona do współpracy. W efekcie zapadają decyzje dalekie od moich oczekiwań i dobrze rozumianego interesu pacjenta. Tam, gdzie nie powinno być oszczędności, są cięcia. A tam, gdzie można zaoszczędzić spore kwoty, brak pomysłu. W Wielkiej Brytanii decyzje o stosowaniu drogich leków podejmuje pięciu czy sześciu specjalistów. Analizuje się przypadek i zapada decyzja. Wcale nie musi być jednogłośnie – zauważa prof. Dmoszyńska.

## Korzyści z ubezpieczeń

System opieki zdrowotnej wymaga nowego, niezależnego, przejrzystego źródła finansowania, którym powinny być dodatkowe ubezpieczenia zdrowotne – zgodnie stwierdzili obecni na spotkaniu specjaliści. Dziś firmy oferują tzw. ubezpieczenia suplementarne. Jednak to, co proponują, Polacy mają zagwarantowane w koszyku świadczeń, czyli płacą dwa razy za to samo.

– Rozumiejąc kontekst uwarunkowań ekonomicznych, chcielibyśmy, żeby w Polsce pojawiły się ubezpieczenia dodatkowe nowego typu, czyli tzw. ubezpieczenia komplementarne. Dzięki nim będzie możliwy dostęp do technologii medycznych aktualnie niefinansowanych przez NFZ. Pozwoli na poprawę efektywności wykorzystania środków prywatnych wydawanych na ochronę zdrowia, wprowadzenie możliwości wyboru dodatkowego ubezpieczenia dla obywateli, zwiększenie środków w systemie bez podnoszenia podatków oraz poprawienie dostępności do świadczeń zdrowotnych w koszyku gwarantowanym – mówi dr Krzysztof Łanda, prezes Fundacji Watch Health Care. Fundacja monitoruje ograniczenia systemowe i dostrzegła dwa problemy. Pierwszym są ograniczenia dostępu do świadczeń hematologicznych, które znajdują się w koszyku. – Wizyta u hematologa to świadczenie, które jest najpowszechniej wykorzystywane i niezbędne chorzy. Jeżeli pacjent z niepokojącymi wynikami badania krwi ma czekać kilka miesięcy na wizytę u hematologa – a takie są polskie

realia – to trzeba z tym walczyć. Mniejsza grupa osób ma problemy z dostępem do innowacyjnych metod leczenia, które znajdują się poza koszykiem świadczeń gwarantowanych. Nanaszej liście słabo dostępnych leków jest bortezomib stosowany w leczeniu szpiczaka mnogiego w pierwszej linii leczenia. Za chwilę znajdzie się na tej liście również nilotinib stosowany w pierwszej linii leczenia przewlekłej białaczki szpikowej. Dziwi mnie, dlaczego w przypadku leku plasującego się poniżej granicy opłacalności dla chorych z niewydolnością nerek tak trudno uruchomić program terapeutyczny. A wiele innych leków weszło do programów terapeutycznych przy znacznie gorszym stosunku kosztu do efektów – wskazuje dr Łanda.

Ideę dodatkowych, dobrowolnych ubezpieczeń zdrowotnych wspierać będą także środowiska biznesowe. – Musi powstać konkurencyjny rynek placówek służby zdrowia i konkurencyjny rynek ubezpieczeń społecznych. Pacjent ma prawo wybrać ośrodek zdrowia, który oferuje najtańsze i najlepsze leczenie, dlatego potrzebna jest konkurencja. Dodatkowe ubezpieczenia powinny być powszechne, w związku z tym szeroko rozreklamowane. To być może uniezależni nas od polityki finansowej państwa i da obywatelom większe gwarancje. Trzy środowiska – lekarzy, pacjentów i pozarządowych organizacji gospodarczych – muszą krzyknąć o racjonalizację wydatków publicznych. Business Centre Club jest członkiem trójstronnej komisji opiniującej budżet państwa. Z tej perspektywy widzimy, jak marnują się pieniądze, które powinny być przeznaczone na leczenie chorych – mówi Marek Goliszewski, prezes Business Centre Club.

## Biznes i medycyna

I dodaje, że nie uda się rozwiązać głównych problemów w ochronie zdrowia, jeśli nie usuniemy trzech głównych chorób nowotworowych. – Pierwsza to nowotwór systemu finansów publicznych i budżetu państwa. Druga to niemoc systemu zabezpieczenia społecznego i systemu ubezpieczenia społecznego. Trzecia to choroba systemu organizacji służby zdrowia. Mamy 800 mld długu publicznego, 112 mld deficytu budżetu państwa. To powoduje, że nie ma pieniędzy. By zmienić tę sytuację, potrzebny jest 4-procentowy wzrost gospodarczy, a zapo-

wiada się jedynie 2-procentowy! Także obecna sytuacja dotycząca OFE spowoduje wzrost zadłużenia ZUS na ok. 220 mld zł po 2020 r. NFZ powinien zostać zdemonopolizowany i zdecentralizowany. Pieniądze pożyczane dzisiaj ZUS-owi od OFE trzeba oddawać. Kto to zrobi? My, obywatele. Czyli w kasie będzie o wiele mniej pieniędzy niż mamy dzisiaj. Zatem trzeba racjonalizować wydatki. Upominajmy się o sensowny sposób organizacji służby zdrowia – apeluje Goliszewski.

Krytycznie o wydawaniu środków publicznych wypowiada się także prof. Jan Walewski. Mówił, że konsekwencjami braku elastyczności w systemie obciążeni są chorzy na nowotwory krwi. – Czasami mam wrażenie, że celem systemu jest umożliwienie pacjentom sfinansowania optymalnego leczenia, którego potrzebują, ale ograniczenie dostępu, by nie kosztowali za dużo. Przypominam, że jesteśmy krajem, w którym wydaje się najmniej pieniędzy na jednego obywatela – mówi.

Receptę na wprowadzenie zmian w systemie ochrony zdrowia podaje prof. Wiesław Jędrzejczak. – Powinno się wyznaczyć dwa terminy: do 30 kwietnia i do 30 października, w których podmioty powinny zgłosić swoje poprawki do dotychczasowych zapisów rozporządzeń koszykowych. W ciągu następnego dwóch miesięcy te propozycje powinny być rozpatrzone. 30 czerwca i 31 grudnia rozporządzenia powinny być regularnie nowelizowane. Taki mechanizm administracyjny byłby sensowny. Sądzę, że resort zdrowia ma zbyt wiele obowiązków. Albo trzeba więc uprościć system tak, żeby liczba zatrudnionych tam ludzi była w stanie podolać obowiązkowi, albo zatrudnić w ministerstwie więcej osób – twierdzi specjalista.

Zgadza się z tym przedstawicielka resortu zdrowia. – Mamy faktycznie ogrom obowiązków w Departamencie Polityki Lekowej. Jeszcze niedawno było ponad 20 programów terapeutycznych, obecnie mamy ich ponad 40 – informuje Edyta Matusik.

– Agnieszka Usiarczyk

Debata „Innowacje w farmakoterapii hematoonkologicznej – nadzieje dla chorych, rozwiązania dla systemu” zorganizowana przez Polską Unię Onkologii, Fundację Watch Health Care Business Centre Club i Agencję Green PR i odbyła się 30 listopada w ramach kampanii społeczno-edukacyjnej „Liczymy się z naszym zdrowiem”, której patronuje „Rz”. Organizatorzy planują przygotowanie serii debat naukowych dotyczących różnych dziedzin medycyny, w których występują bariery dostępu do najskuteczniejszych metod diagnostyki i leczenia.

## Skuteczne i niedostępne

prof. Jadwiga Dwilewicz-Trojaczek

Katedra i Klinika Hematologii, Onkologii i Chorób Wewnętrznych WUM

Dostępność do nowych leków, które mają zastosowanie w leczeniu nowotworowych i nienowotworowych chorób układu krwiotwórczego, jest w Polsce ograniczona. Niektóre można stosować w ramach programów leczniczych. Szczegółowe wytyczne często uniemożliwiają ich użycie.

Przykładem jest zastosowanie przeciwciała monoklonalnego – rituximabu – w agresywnej postaci chłoniaka jedynie z chemioterapią zawierającą antracyklinę. Chorzy na serce mają przeciwwskazania do przyjmowania antracykliny. Nie można u nich skojarzyć rituximabu z inną skuteczną chemioterapią, co zmniejsza szansę na całkowite wyleczenie. Innym przykładem jest możliwość zastosowania bortezomibu. Według tego programu leku nie można podać chorym z zaawansowaną niewydolnością nerek, która u chorych na szpiczaka występuje stosunkowo często. To niezgodne z wiedzą medyczną. W Polsce chorzy na szpiczaka i niewydolność nerek nie mają dostępu do bortezomibu. Inny lek stosowany w leczeniu szpiczaka, lenalidomid, może być podany chorym jedynie w przypadku, gdy doszło do powikłań neurologicznych po leczeniu talidomidem lub bortezomibem. Lenalidomid nie może być stosowany w leczeniu tzw. zespołu mielodysplastycznego 5q, mimo że wywiera korzystne działanie u 60 proc. chorych. Zespoły mielodysplastyczne są jedynymi z nowotworów układu krwiotwórczego. Leczenie ich w Polsce jest ograniczone. Część tych chorych musi otrzymywać przetoczenia koncentratu krwinek czerwonych z powodu ciężkiej niedokrwistości. Leczeniem z wyboru jest zastosowanie czynników stymulujących erytropozę. To odpowiedniki ludzkiej erytropoetyny, hormonu wytwarzanego w nerkach, który powoduje dojrzewanie układu czerwonych krwinek w szpiku. Czynniki stymulujące erytropozę (erytropoetyny) prowadzą do uniezależnienia od przetoczeń krwi u 50-60 proc. chorych.

W Polsce nie można uzyskać zgody NFZ na sfinansowanie leczenia erytropoetyną tej grupy chorych (leczenie pierwszej linii według zaleceń ekspertów światowych). W Europie lek otrzymuje 60 proc. chorych na zespoły mielodysplastyczne (MDS). Do leczenia pewnych typów MDS stosuje się azacytydynę, która przedłuża życie o 10 miesięcy, a u części pacjentów prowadzi do remisji całkowitej. Lek ten może być stosowany w ramach chemioterapii niestandardowej, po uzyskaniu zgody NFZ. Na szczęście w większości oddziałów chorych taką zgodę uzyskują. Brak zgody na leczenie prowadzi często do nawrotu choroby. Terapia jest droga, a my marnujemy mnóstwo pieniędzy, nie mogąc jej kontynuować. W innych krajach lek stosowany jest u części chorych ambulatoryjnie. W Polsce podanie go wymaga tygodniowej hospitalizacji, która zwiększa koszty. – not.a.u.



♦ Wojciech Matuszewicz



♦ Edyta Matusik



♦ Janusz Meder



♦ Jan Walewski



♦ Krzysztof Warzocha



## Lekarze nie mogą mieć związanych rąk

**Jacek Gugulski**

prezes Polskiej Koalicji Organizacji Pacjentów Onkologicznych

By zapewnić chorym dostęp do skutecznego leczenia, należy przede wszystkim uporządkować niektóre procedury. Pewne zapisy w programach terapeutycznych powodują, że wielu pacjentów nie ma dostępu do leków.

W tej chwili program dotyczący przewlekłej białaczki wymaga modyfikacji, ponieważ według najnowszych doniesień towarzystw naukowych na świecie i obowiązujących standardów leki drugiej generacji (nilotynib, dazatynib) powinny być stosowane także w tzw. pierwszej linii leczenia, czyli zaraz po zdiagnozowaniu u pacjenta nowotworu.

Kolejną kwestią jest program dotyczący szpiczaka, w ramach którego skuteczny lek – bortezomib – nie jest dostępny dla pacjentów z niewydolnością nerek, a to właśnie oni mogą odnieść korzyść z leczenia tym lekiem. Inny zaś środek jest finansowany poprzez chemioterapię niestandardową, co niestety ogranicza dostęp pacjentom do leczenia nim, ponieważ w niektórych częściach kraju szpitale bardzo ograniczają jego stosowanie.

Drugą istotną kwestią jest ograniczanie lekarzy, którzy muszą ściśle trzymać się wytycz-

nych Ministerstwa Zdrowia albo NFZ, w związku z czym nie mogą w pełni korzystać ze swojej wiedzy. Z jednej strony mówi się o indywidualizacji leczenia, a z drugiej – zamyka się to leczenie w pewnych ramach, nie dając możliwości świetnie wykształconym lekarzom.

Leczenie powinno być szyte na miarę, a pacjent powinien być najważniejszy. Sam jestem pacjentem i chciałbym, żeby mój specjalista miał możliwość leczenia mnie według swojego aktualnego stanu wiedzy.

Jako pacjenci rozumiemy, że wydatki na służbę zdrowia muszą być w jakiś sposób kontrolowane i oceniane, ale te procedury należy uprościć i przyspieszyć. Powinien powstać jeden program, w ramach którego lekarze będą swobodnie mogli stosować leki.

Problemem są też kolejki do lekarzy, np. do hematologów. Niezrozumiałe jest, dlaczego do tego właśnie specjalisty potrzebne jest skierowanie od lekarza pierwszego kontaktu (do onkologa nie potrzeba skierowania – red.). Nie może być tak, że w przypadku chorób szybko rozwijających się – jak np. białaczka – pacjent musi czekać na wizytę. Ważne jest, by lekarz mógł zbadać chorego i ocenić, czy może on jeszcze poczekać, czy też konieczne jest szybkie zastosowanie terapii.

—not.a.u.

## Mamy możliwości skutecznego leczenia



dr. n. med.  
**Tomasz Sacha**

Katedra i Klinika Hematologii UJCM w Krakowie

Odpowiedź na leczenie dazatynibem i nilotynibem – inhibitorami kinazy tyrozynowej drugiej generacji (2GTKD) stosowanymi w terapii pierwszego rzutu przewlekłej białaczki szpikowej (PBSz) – osiągnięta jest znacznie szybciej niż podczas leczenia imatynibem – inhibitorem pierwszej generacji. W określonym czasie całkowitą odpowiedź hematologiczną, cytogenetyczną i molekularną uzyskuje znacznie większa liczba chorych.

Zaobserwowano także, że 2GTKI lepiej niż imatynib chronią pacjentów przed postępem choroby i, co istotne, nie obciążają chorych większą liczbą działań niepożądanych w porównaniu z leczeniem inhibitorem pierwszej generacji. Dzieje się tak dzięki temu, że te leki mają znacznie większą siłę hamowania nieprawidłowej kinazy tyrozynowej – białka będącego przyczyną pojawienia się i rozwoju przewlekłej białaczki szpikowej.

Drugim powodem tego ochronnego efektu jest wspomniana już znaczna szybkość eliminacji komórek białaczkowych, co istotnie ogranicza ryzyko pojawienia się różnych mechanizmów oporności, które mogą w dużym stopniu zmniejszyć skuteczność terapii.

Pod wpływem tych leków zwiększa się również odsetek chorych uzyskujących bardzo głą-

boką odpowiedź molekularną, zwaną dotychczas całkowitą remisją molekularną. Jest to stan, który – jeżeli nieprzerwanie utrzymuje się odpowiednio długo (przynajmniej przez rok) – daje nadzieję na odstawienie leczenia. Dotychczasowe wyniki badań wskazują, że choroba nie powraca u ok. 40 proc. chorych, u których po osiągnięciu tej remisji odstawiono imatynib. Po nad pięcioletni okres obserwacji tych pacjentów, u których nie doszło do nawrotu choroby, pozwała mieć nadzieję, że zostali oni z niej wyleczeni. Sugeruje się, że istnieje poziom tzw. choroby resztkowej – liczba komórek białaczkowych, poniżej której układ immunologiczny może przejąć nad nią skuteczną kontrolę.

Inhibitory drugiej generacji zastosowane w pierwszym rzucie leczenia dają możliwość szybszego osiągnięcia tego poziomu, zatem możliwość zastosowania ich u osób ze świeżo rozpoznaną chorobą nowotworową może istotnie zwiększyć liczbę pacjentów, którzy – osiągając stabilną całkowitą remisję molekularną – staną się kandydatami do bezpiecznego odstawienia leczenia.

Należy jednocześnie podkreślić, że tego typu eksperymenty są niedopuszczalne poza dobrze kontrolowanymi badaniami klinicznymi, których rozpoczęcie planowane jest już wkrótce także w Polsce w ramach współpracy z European Leukemia Net (Europejską Siecią Białaczkową).

Inhibitory kinazy tyrozynowej drugiej generacji, podobnie jak imatynib około dziesięć lat temu, wprowadziły nas w zupełnie nową erę.

Możemy w niej istotnie wydłużyć życie chorych na przewlekłą białaczkę szpikową, przywracając ich do grona osób czynnych zawodowo, mogących realizować swoje życiowe cele. W erze tej spełnia się też marzenie o możliwości wyleczenia chorych z białaczki metodą farmakoterapii.

Biorąc pod uwagę duże koszty terapii powyższymi lekami, może to mieć niebagatelne znaczenie dla budżetu państwa i przyczynić się do znacznych oszczędności.

—not.a.u.



By zapewnić chorym dostęp do skutecznego leczenia, należy przede wszystkim uporządkować procedury medyczne

## Dojrzelismy do wprowadzenia ubezpieczeń dodatkowych na szeroką skalę

**dr. Krzysztof Łanda**

niezależny ekspert

ds. ochrony

i ekonomiki zdrowia,

prezes fundacji Watch Health Care

Z farmakoekonomicznego punktu widzenia stosowanie innowacyjnych terapii w hematologii to i wydatek, i inwestycja w przyszłość.

Innowacyjne technologie medyczne, które znajdują się wciąż poza koszykiem świadczeń, są potrzebne pacjentom i z pewnością są skuteczniejsze niż te dostępne w ramach koszyka świadczeń gwarantowanych. Tu dochodzi kwestia ceny.

Zgodnie z nową ustawą rozpoczyna prace komisja ekonomiczna, a do systemu finansowania terapii wprowadzono również tzw. porozumienia podziału ryzyka.

W związku z tym myślę, że będzie znacznie łatwiej wprowadzić do koszyka świadczeń gwarantowanych nowe technologie medyczne, które są skuteczniejsze od tych dotychczas stosowanych.

Polski system ochrony zdrowia wciąż się rozwija. Wszystko na to wskazuje, że dojrzelismy już do wprowadzenia ubezpieczeń dodatkowych na szeroką skalę.

Dzisiaj firmy oferują nam tzw. ubezpieczenia suplementarne. Jednak to, co proponują, mamy już zagwarantowane w koszyku świad-

czeń, czyli płacimy dwa razy za to samo. Jeśli chcemy walczyć z deficytem środków w systemie ochrony zdrowia, należy wprowadzić tzw. ubezpieczenia komplementarne, dzięki którym będzie możliwy dostęp do nowoczesnych technologii medycznych obecnie nie finansowanych przez Narodowy Fundusz Zdrowia.

Pozwoli to na poprawę efektywności wykorzystania środków prywatnych wydawanych na ochronę zdrowia, wprowadzenie możliwości wyboru dodatkowego ubezpieczenia dla polskich obywateli, zwiększenie ilości środków w systemie bez podnoszenia podatków oraz na poprawienie dostępności do świadczeń zdrowotnych w koszyku gwarantowanym.

Powszechne ubezpieczenia zdrowotne nie wystarczą, aby zagwarantować każdemu choremu bezpośredni i łatwy dostęp do opieki lekarskiej, dlatego potrzebne są ubezpieczenia nowego typu.

Pojawiły się już pierwsze obliczenia dotyczące opłaty za polisę. To koszt rzędu 50 – 100 zł miesięcznie za wykupienie dostępu do technologii innowacyjnych, które znajdują się aktualnie poza koszykiem świadczeń gwarantowanych.

Szacuje się, że gdy ubezpieczenia będą dostępne na polskim rynku, zainteresowanych nimi może być ok. 30 proc. populacji. Myślę, że w przyszłym roku możemy się spodziewać nowej oferty.

—not.a.u.

## Pierwsza terapia przynosi najlepsze efekty

prof. **Wiesław Jędrzejczak**

Katedra i Klinika Hematologii WUM w Warszawie

Zasada tzw. złotej strzały w onkologii (w tym w hematologii) sprowadza się do tego, że najlepszy skutek terapeutyczny ma leczenie, które jest zastosowane jako pierwsze – niezależnie od tego, czy jest ono najlepsze. W związku z tym należy dążyć do tego, aby jako pierwsze zastosować najlepsze leczenie. Wtedy za tę samą cenę uzyskujemy najlepszy efekt.

Ta zasada wynika stąd, że mniej skuteczne leczenie selekcjonuje komórki: zabija łagodniejsze i zostawia bardziej złośliwe i bardziej odporne na jakiegokolwiek następne leczenie. W związku z tym bardzo dobre leczenie zastosowane jako trzecia albo czwarta linia jest znacznie mniej skuteczne niż wprowadzone w pierwszej linii, gdyż

trafia na wyselekcjonowane złośliwe komórki.

Leki wprowadza się do leczenia w ten sposób, że pierwotnie próbuje się je u chorych opornych już na wszystko. Jeśli wtedy wykaza nawet niewielką skuteczność, to znaczy, że mają bardzo duży potencjał leczniczy. Wówczas należy je możliwie szybko wprowadzać do leczenia chorych „dziewicznych”, czyli do pierwszej linii terapii.

Powołam się na przykład bortezomibu. Ten lek został pierwotnie zarejestrowany dlatego, że spowodował 30 proc. remisji częściowych w szpiczaku u chorych opornych na wszystkie znane metody leczenia. Ale jego przyszłość jest w pierwszej linii leczenia, gdzie może spowodować kilkadziesiąt procent remisji całkowitych, a uzyskanie takiej remisji znacząco wydłuża przeżycie.

—not.a.u.