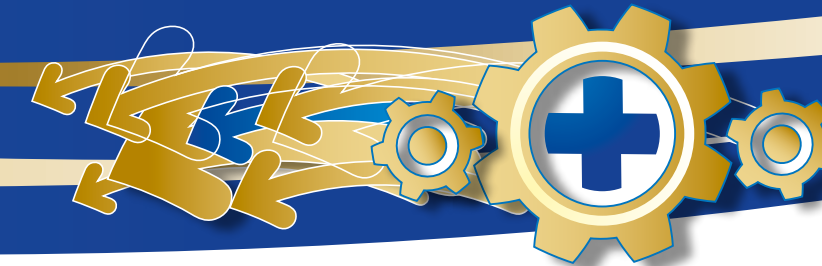




## PRIORYTETY W OCHRONIE ZDROWIA 2024



# By coraz lepiej leczyć choroby hematoonkologiczne, musimy wyznaczyć priorytety

Jest szansa, że w drugim kwartale tego roku pacjentom zostaną udostępnione leki dotychczas obecne na rynku, lecz nier refundowane ze środków publicznych – deklaruje Ministerstwo Zdrowia. Nie zaspokoi to jednak wszystkich potrzeb pacjentów. W przypadku nowotworów krwi potrzebne są terapie, które dają szansę na dłuższe przeżycie i poprawę jakości życia.

Z najnowszych danych Krajowego Rejestru Nowotworów wynika, że w 2021 r. ok. 170 tys. Polaków zachorowało na nowotwory, z czego na nowotwory krwi ok. 10 tys. Aż 40 proc. nowotworów krwi to chłoniaki, ok. 20 proc. – szpiczak plazmocytowy, kolejne 20 proc. to przewlekła białaczka limfocytowa i 20 proc. – inne białaczki. I choć hematologia rozwija się dynamicznie, poprawia się dostęp do diagnostyki i skutecznych terapii, dzięki czemu przeżywalność pacjentów hematoonkologicznych sukcesywnie rośnie, ciągle są niezaspokojone potrzeby i wiele wyzwań, przed którymi stoją klinicyści.

### Współpraca z lekarzem POZ

W Polsce jest 49 ośrodków hematologicznych. Według map potrzeb zdrowotnych łączna liczba łóżek stacjonarnych wynosi 1510, a liczba hospitalizowanych pacjentów w 2023 r. osiągnęła ponad 42 300. W Polsce 30 listopada 2023 r. było 593 specjalistów hematologów, co daje wskaźnik 1,57 hematologa na 100 tys. mieszkańców. – W ostatnich 50 latach w obszarze refundacyjnym w hematologii udało się zrobić bardzo dużo. Można powiedzieć, że weszliśmy w nową epokę, jeśli chodzi o dostęp do nowoczesnych terapii – mówiła prof. dr hab. n. med. Ewa Lech-Marañda, konsultant krajowa w dziedzinie hematologii, dyrektor Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie. – Podobnie jak inne kraje Europy obserwujemy stały wzrost zapotrzebowania na świadczenia zdrowotne w hematologii. Wynika to ze zwiększonej zapadalności na nowotwory krwi, ale również z dynamicznego rozwoju metod diagnostycznych i leczniczych, które w ostatnich latach przyczyniły się do wydłużenia przeżycia chorych – dodała. W sierpniu 2023 r. do konsultacji publicznych trafił projekt pilotażu Krajowej Sieci Hematologicznej. Opiera się on na trzech głównych elementach: referencyjności ośrodków hematologicznych i wzajemnej



### W DEBACIE PT. „PRIORYTETY W OBSZARZE CHOROÓB HEMATOONKOLOGICZNYCH” UCZESTNICZYLI:

- prof. dr hab. n. med. Krzysztof Giannopoulos – prezes Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów
- prof. dr hab. n. med. Lidia Gil – Katedra i Klinika Hematologii i Transplantacji Szpiku, Uniwersytet Medyczny w Poznaniu
- prof. dr hab. n. med. Krzysztof Jamrozia – Klinika Hematologii, Transplantologii i Chorób Wewnętrznych, Warszawski Uniwersytet Medyczny
- prof. dr hab. n. med. Ewa Lech-Marañda – konsultant krajowa w dziedzinie hematologii, dyrektor Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie
- Mateusz Oczkowski – Ministerstwo Zdrowia, zastępca Dyrektora Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji
- Łukasz Rokicki – prezes zarządu Fundacji Carita
- prof. dr hab. n. med. Agnieszka Wierzbowska – kierownik Katedry i Kliniki Hematologii, Uniwersytet Medyczny w Łodzi

współpracy między nimi, zapewnieniu koordynowanej i kompleksowej opieki opartej na ścieżkach pacjentów we wszystkich objętych pilotażem ośrodkach, monitorowaniu jakości procesu diagnostyczno-terapeutycznego oraz jakości funkcjonowania nowego modelu organizacyjnego. – Przyjeliśmy pewne założenia dotyczące funkcjonowania opieki hematologicznej, czy jednak przyjęty model okaże się optymalny, pokażą wyniki pilotażu. Jego celem jest poprawa dostępności diagnostyki i leczenia, ale również zadbanie o jakość wykonywanych procedur diagnostyczno-leczniczych.

To wszystko ma służyć poprawie rokowania i wydłużeniu 5-letnich przeżyć pacjentów z nowotworami krwi – mówiła prof. Ewa Lech-Marañda. Wśród założeń znalazła się też współpraca z lekarzami POZ. – W pilotażu chcielibyśmy opracować wytyczne dla lekarzy POZ w zakresie podstawowej diagnostyki nowotworów krwi, a także zdefiniować wskazania do skierowania pacjenta do poradni czy na oddział hematologiczny. Chcemy również przygotować standard opieki przewlekłej nad pacjentami z nowotworami krwi, tak aby lekarz POZ

otrzymał informacje na temat zasad postępowania z pacjentem hematologicznym – jakie antybiotyki najlepiej zastosować w czasie infekcji, czy i kiedy należy szczepić pacjentów itp. Oczywiście oprócz przygotowania wytycznych chcielibyśmy zorganizować szkolenia w tym zakresie – wyjaśniła konsultant krajowa w dziedzinie hematologii.

### Nowe możliwości

Mateusz Oczkowski, zastępca dyrektora Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji w Ministerstwie Zdrowia, potwierdził, że

w hematoonkologii dzieje się niezwykle dużo, co bardzo cieszy.

– To efekt współpracy wszystkich stron, w tym podmiotów odpowiedzialnych, które składają dużo wniosków – podkreślił. – Widać, że nie ma jeszcze pełnego nasycenia terapiami, co rzeczywiście stawia przed nami duże wyzwania. Współpracujemy stale z ekspertami, by wiedzieć, jakie są priorytety, którymi powinniśmy się zajmować w pierwszej kolejności, by móc zapewnić pacjentom jak najwięcej możliwości – wyjaśnił.

Z perspektywy klinicystów i pacjentów ważna jest informacja o nowych narzędziach, jakie uzyskał resort zdrowia od momentu nowelizacji ustawy o refundacji. Chodzi o stworzenie listy leków o ugruntowanej skuteczności klinicznej. Pozwoli to udostępnić pacjentom leki dotychczas nier refundowane ze środków publicznych, którym minął okres wyłączności rynkowej. Jak zadeklarował Mateusz Oczkowski, być może stanie się to już w drugim kwartale tego roku.

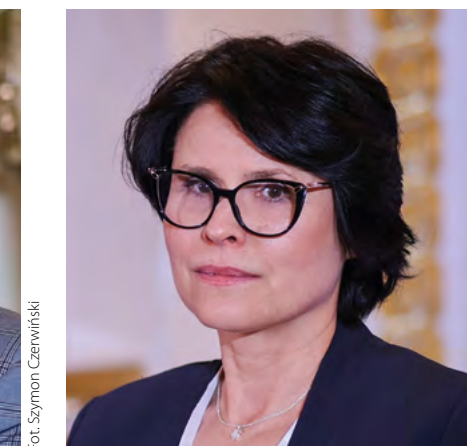
– Mamy nadzieję, że uda się nam to zrobić, ale oczywiście to i tak nie rozwiąże problemu, bo trzeba będzie złożyć wniosek refundacyjny. Jest to udogodnienie dla podmiotu odpowiedzialnego, bo nie musi wносить opłaty za ocenę HTA i nie musi wydawać pieniędzy na wykonanie analizy weryfikacyjnej przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji – dodał przedstawiciel resortu zdrowia.

Klinicyści są zadowoleni z dynamicznych zmian w hematologii, dostępu do terapii i współpracy z Ministerstwem Zdrowia. Wskazują jednak na stale zwiększające się niezaspokojone potrzeby medyczne pacjentów z poszczególnymi nowotworami krwi.

### Większe szanse dla pacjentów

Jednym z nowotworów krwi jest ostra białaczka szpikowa. To stosunkowo rzadki nowotwór, który rozwija się szybko i agresywnie. Mimo rozwoju medycyny rokowania pacjentów wciąż są niekorzystne – za ledwie 24 proc. przeżyje 5 lat od momentu diagnozy. Zapadalność na ostrą białaczkę szpikową rośnie wraz z wiekiem. Każdego roku w Polsce odnotowywanych jest ok. 1200 nowych przypadków.

– Mamy dostęp do wszystkich zarejestrowanych terapii w ostrej białaczce szpikowej i możemy leczyć tak jak w Europie. Ale wy-



”

prof. Ewa Lech-Marañda: Celem pilotażu Krajowej Sieci Hematologicznej jest poprawa dostępności diagnostyki i leczenia

”

Mateusz Oczkowski: W naszym interesie jest, by pracować wspólnie, bo nie znamy dnia ani godziny, gdy może nas dopaść rak

”

prof. Agnieszka Wierzbowska: Mamy bardzo skuteczny lek, który powinien być priorytetem refundacyjnym w ostrej białaczce szpikowej

starczył rok, żeby nasze potrzeby zaczęły się zwiększać. Mamy zarejestrowane kolejne dwie terapie – mówiła prof. dr hab. n. med. Agnieszka Wierzbowska, kierownik Katedry i Kliniki Hematologii Uniwersytetu Medycznego w Łodzi. – Do tej pory wszystkich chorych, którzy nie kwalifikują się do intensywnej chemioterapii, leczylismy jednakowo, nie było procesu personalizacji terapii w zależności od profilu genetycznego pacjenta, co dzieje się u chorych młodszych – dodała.

W maju 2023 r. Komisja Europejska zarejestrowała iwosydenib w skojarzeniu z azacytydyną w leczeniu dorosłych pacjentów z nowo rozpoznaną ostrą białaczką szpikową z mutacją genu *IDH1*, którzy nie kwalifikują się do intensywnej chemioterapii. Iwosydenib wykazuje wysoką skuteczność. – Opublikowane wyniki randomizowanego badania potwierdziły jednoznacznie, że dołączenie iwosydenibu do standardowych dawek azacytydyny nie tylko znacząco wydłuża całkowite przeżycie, zmniejsza odsetek nawrotów, lecz także – co jest bardzo ważne u chorych z mutacją *IDH1* – zmniejsza częstość powikłań infekcyjnych, zwłaszcza ciężkich, w porównaniu z samą azacytydyną. Wykazano też istotną poprawę jakości życia u chorych leczonych w ten sposób – potwierdziła prof. Agnieszka Wierzbowska. – Dla

tej populacji chorych mediana całkowitego przeżycia wynosiła prawie 30 miesięcy, to blisko 2,5 roku. U chorych starszych nie udało się uzyskać takiego wyniku żadną terapią skojarzoną, przy utrzymaniu się mediana całkowitego przeżycia ok. 8 miesięcy w ramieniu z samą azacytydyną. Wydaje się więc, że mamy nowego gracza. Lek jest bardzo skuteczny i w mojej ocenie jest priorytetem refundacyjnym w ostrej białaczce szpikowej – oceniła. Zdaniem ekspertki iwosydenib nie tylko uzupełniłby schemat spersonalizowanego, optymalnego leczenia, ale przede wszystkim stworzyłby szansę pacjentom na dłuższe przeżycie i poprawę jakości życia.

### Dajmy lekarzowi wybór

Najczęstszym nowotworem hematologicznym jest przewlekła białaczka limfocytowa. Według danych Narodowego Funduszu Zdrowia choruje na nią ok. 20 tys. osób w Polsce, a co roku rozpoznaje się 2 tys. nowych przypadków. Na przewlekłą białaczkę limfocytową mogą zachorować przede wszystkim osoby dorosłe i starsze, mediana wieku zachorowania jest zbliżona do 70 lat. Częściej występuje ona u mężczyzn. Trzeba jednak pamiętać, że ok. 10 proc. pacjentów ma poniżej 55 lat – są to ludzie aktywni zawodowo i społecz-

nie, dla których dobre leczenie jest szansą na dalsze życie.

– W tej chwili dysponujemy standardem leczenia, który jest w pełni zachodni – mówił prof. dr hab. n. med. Krzysztof Jamrozia z Kliniki Hematologii, Transplantologii i Chorób Wewnętrznych Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego. Mimo to według danych Krajowego Rejestru Nowotworów przeżycia w przypadku tej choroby są u nas o 10 proc. niższe niż w krajach Europy Zachodniej.

– Przełomem w terapii były dwie grupy leków: inhibitory kinazy Brutona refundowane w Polsce i terapia alternatywna, czyli wenetoklaks z obinutuzumabem, również refundowana. Brakuje nam jedynie jednego schematu, a jest on bardzo ciekawy, bo łączy dwa innowacyjne leki, tj. ibrutinib z wenetoklaksem. Ta terapia jest o tyle interesująca, że jest ograniczona w czasie. Terapia inhibitorami kinazy Brutona trwa wiele lat, a tu mamy 15 miesięcy leczenia – tłumaczył ekspert.

Zdaniem prof. Krzysztofa Jamrozia warto poszerzyć wskazania leków, które już są zarejestrowane, np. inhibitorów kinazy Brutona. Ich rejestracja jest ograniczona do pacjentów z wysokim ryzykiem cytogenetycznym lub chorych niekwalifikujących się do intensywnej terapii. – Te terapie



# PRIORYTETY W OCHRONIE ZDROWIA 2024



Fot. Szymon Czerwiński



Fot. Szymon Czerwiński



Fot. Szymon Czerwiński



Fot. Szymon Czerwiński

”

prof. Krzysztof Jamroziak: Warto poszerzyć wskazania leków, które już są zarejestrowane, np. inhibitorów kinazy Brutona. Te terapie powinny być dostępne dla wszystkich chorych

powinny być dostępne dla wszystkich chorych – przekonywał.

### Szersze stosowanie CAR-T

Kolejny nowotwór – chłoniaki – to bardzo heterogenna grupa chorób. Do najczęstszych należą agresywne chłoniaki z komórek B, które występują głównie u dorosłych. Wszyscy pacjenci wymagają leczenia. I to w tej grupie chłoniaków miał miejsce największy w ostatnim czasie przełom: możliwość korzystania z terapii CAR-T.

– W Polsce dostępność finansowa tej terapii w programie lekowym istnieje od maja 2022 r. Jest 10 ośrodków, które mogą prowadzić terapię, w tym dwa pediatryczne, ale kilka kolejnych jest na tzw. ścieżce akredytacyjnej – mówiła prof. dr hab. n. med. Lidia Gil z Katedry i Kliniki Hematologii i Transplantacji Szpiku Uniwersytetu Medycznego w Poznaniu. – Za pomocą terapii CAR-T można całkowicie wyleczyć pacjenta z agresywnym chłoniakiem z komórek B – podkreśliła.

Terapia CAR-T powinna być stosowana jak najwcześniej w procesie leczenia. Dużym postępem byłaby możliwość jej refundacji w drugiej linii leczenia.

– Refundacja w drugiej linii u pacjentów, którzy mają chorobę oporną na pierwszej linii albo wczesny nawrót, w ciągu 12 miesięcy, a to chorzy naprawdę źle rokujący, zmieniła całkowicie rokowanie w stosunku do obecnego standardu, jakim było przeszczepienie autologicznych komórek krwiotwórczych. To druzgoczące różnice: 40 proc. vs 16 proc. przeżycia 2-letniego. Wydaje się, że jest to kierunek, który poprawi skuteczność leczenia chłoniaków agresywnych z komórek B. Będziemy obserwować mniej

”

prof. Lidia Gil: Za pomocą terapii CAR-T można całkowicie wyleczyć pacjenta z chłoniakiem agresywnym z komórek B

powikłań. Mniej pacjentów będzie też kwalifikowanych do terapii CAR-T w trzeciej i kolejnych liniach leczenia. To jedna z największych potrzeb, jeśli chodzi o chłoniaki agresywne – przekonywała prof. Lidia Gil.

### Dla niektórych chorych nie ma terapii

Kolejny nowotwór krwi, szpiczak plazmocytowy, to choroba, w której nadal nie możemy mówić o wyleczeniu, a jej przebieg jest nawrotowy. Populacja chorych na szpiczaka była jedną z najbardziej dotkniętych przez pandemię COVID-19.

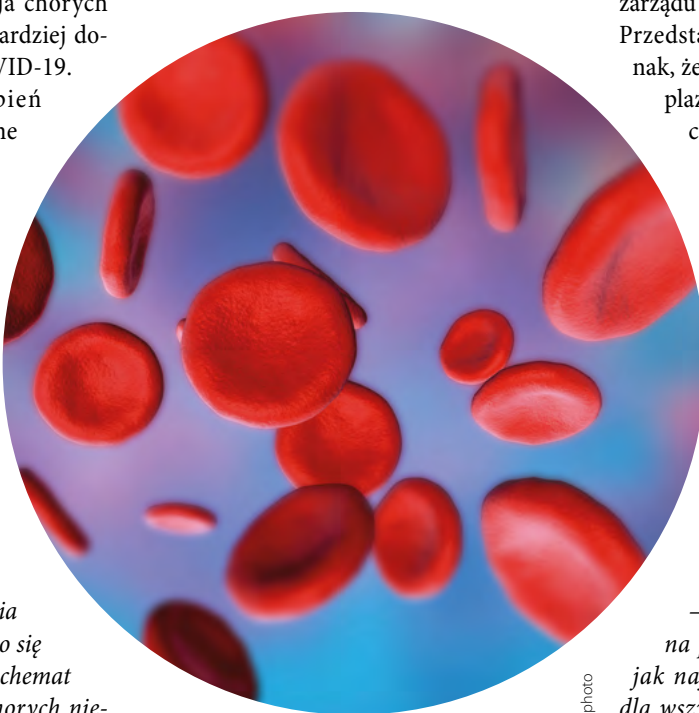
Przed rozpoczęciem szczepień niedobory odporności związane przede wszystkim z chorobą były w ogromnym stopniu zabójcze. Śmiertelność sięgała 30–50 proc.

– Jeśli chodzi o leczenie, na decyzje refundacyjne czeka schemat daratumumab z karfilzomibem i deksametazonem. Jest on bardzo ważny, szczególnie dla chorych leczonych wcześniej lenalidomidem, który jest lekiem generycznym, szeroko dostępnym, kluczowym w pierwszej linii leczenia dla wszystkich pacjentów. Bardzo się cieszymy, że najskuteczniejszy schemat terapii w pierwszej linii dla chorych niekwalifikujących się do przeszczepienia został zrefundowany od 1 stycznia 2024 r. To krok milowy dla pacjentów, u których teraz choroba jest rozpoznawana – ocenił prof. dr hab. n. med. Krzysztof Giannopoulos, prezes Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów.

”

prof. Krzysztof Giannopoulos: Cieszę się, że od 1 stycznia został zrefundowany najskuteczniejszy schemat terapii w pierwszej linii

W praktyce oznacza to objęcie całej populacji bardzo nowoczesnym leczeniem, zgodnym ze standardami europejskimi. Ekspert zwrócił jednak uwagę, że po wzmocnieniu terapii pierwszych linii są teraz pacjenci, dla których nie ma nowoczesnych i skutecznych opcji terapeutycznych. Dodał, że cały świat leczy metodą CAR-T i/lub przeciwciałami dwuswoistymi, a w Polsce pa-



Fot. iStockphoto

cjenci ze szpiczakiem plazmocytowym nie mają dostępu do tej terapii. W przypadku CAR-T nawet nie został złożony wniosek refundacyjny, ale pierwsze z trzech zarejestrowanych przeciwciał dwuswoistych jest

”

Łukasz Rokicki: Trzymam kciuki, żeby była kompleksowość leczenia pacjenta hematologicznego

na zaawansowanym etapie procesu objęcia refundacją.

– Czekamy na decyzje, bo to trudna i smutna sytuacja dla nas i naszych pacjentów – podsumował prof. Krzysztof Giannopoulos.

O tym, że nie można zapominać o pacjentach, którzy zaczęli leczenie przed laty, którzy mają nawroty i którym nie ma co podać, przypomniał Łukasz Rokicki, prezes zarządu Fundacji Carita.

Przedstawiciel pacjentów zaznaczył jednak, że cieszy się, że choćby w szpiczaku plazmocytowym jest tak dużo linii leczenia i tak dużo się dzieje.

– W siedzibie naszej fundacji zjawił się 35-letni pacjent, u którego został zdiagnozowany szpiczak plazmocytowy. Był bardzo załamany. Powiedziałem mu, że wybrał najlepszy czas na leczenie – jeśli można w tej sytuacji znaleźć jakiś pozytyw. Między tym, co mamy teraz, a tym, co mieliśmy przed kilku laty, jest przepaść. Trzymamy kciuki, żeby była kompleksowość leczenia pacjenta hematologicznego – dodał.

– Priorytetem jest nasza wspólna praca nad tym, żeby udostępnić jak najszerszy wachlarz terapeutyczny dla wszystkich pacjentów. Nie można zatrzymać się w miejscu i przestać rozwijać, również we wskazaniach refundacyjnych. W naszym interesie jest, by pracować nad tym wspólnie, bo nie znamy dnia ani godziny, gdy może nas dopaść nowotwór złośliwy – podsumował Mateusz Oczkowski.

Anna Lipińska