

PRIORITIES AND CHALLENGES IN POLISH AND EUROPEAN DRUG POLICY

Niezaspokojone potrzeby pacjentów onkologicznych

Polscy pacjenci coraz częściej mają dostęp do nowoczesnego leczenia onkologicznego, terapie prowadzimy według zaleceń międzynarodowych i polskich towarzystw naukowych, a onkologia jest dla Ministerstwa Zdrowia priorytetem. Mimo to pacjentki z rakiem endometrium oraz pacjenci z rakiem prostaty wciąż czekają na pełną refundację diagnostyki molekularnej i kilku programów lekowych.

Mateusz Oczkowski, zastępca dyrektora Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji Ministerstwa Zdrowia, zapewnił, że onkologia jest priorytetem resortu.

– Pokazujemy to rok do roku w zakresie nowo obejmowanych terapii. Podmioty odpowiedzialne chętniej składają wnioski dotyczące wskazań onkologicznych, i to z korzyścią 500 dni. Ostatnie lata pokazały, że nie baliśmy się inwestycji, szczególnie jeśli chodzi o populację z niezaspokojonymi potrzebami, jak również terapie pierwszej linii w postaci zaawansowanej oraz leczenie okołoperacyjne. Ze wszystkich wniosków, które obecnie procedujemy, 74 dotyczą nowych technologii, w tym 34 onkologii – poinformował.

Rak endometrium – zwiększa się śmiertelność kobiet

W Polsce rośnie zachorowalność na raka endometrium (raka trzonu macicy). Co roku diagnozuje się 8 tys. nowych zachorowań, a 1800 kobiet umiera. O tym, jak zmienić tę sytuację oraz co jest największym wyzwaniem dla lekarzy, mówił prof. dr hab. n. med. Lubomir Bodnar z Siedleckiego Centrum Onkologii. Przyczyną dramatycznego wzrostu śmiertelności ekspert upatruje przede wszystkim w braku dostępu do nowoczesnej diagnostyki, co rzutuje później na wybór leczenia, a także w braku dostępu do niektórych leków w pierwszej linii leczenia.

Specjalista podkreślił wagę diagnostyki molekularnej w leczeniu raka endometrium.

– W ostatnich latach sporo się dowiedzieliśmy na temat raka trzonu macicy. Przez wiele lat leczyliśmy pacjentki na podstawie oceny histologicznej. Teraz dzięki diagnostyce molekularnej wnioskujemy w biologię nowotworu i poznajemy jego nowe uwarunkowania. Już wiemy, że tylko pozornie są to nowotwory o podobnych cechach rokowniczych – po wnikięciu głębiej okazuje się, że są zupełnie inne. Jedne są bardzo agresywne, w przypadku innych pacjentki mogą nawet pozostać bez leczenia i rokowania mają świetne. Dzisiaj pracujemy nad tym, żeby pacjentka jak najszybciej po biopsji mogła mieć oznaczony profil molekularny, dzięki czemu będziemy mogli właściwie zaplanować leczenie, tzn. operacja w zależności



W DEBACIE UCZESTNICZYLI:

- prof. dr hab. n. med. Lubomir Bodnar, Siedleckie Centrum Onkologii
- Anna Kupiecka, prezeska Fundacji OnkoCafe – Razem Lepiej
- Mateusz Oczkowski, zastępca dyrektora Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji Ministerstwa Zdrowia
- dr hab. n. med. Paweł Wiechno, Centrum Onkologii – Instytut im. Marii Skłodowskiej-Curie w Warszawie
- dr hab. n. med. Jakub Żołnierek, Europejskie Centrum Zdrowia Otwock

ści od podtypu biologicznego nowotworu, a później pacjentka będzie poddana właściwemu leczeniu uzupełniającemu: radioterapii lub radiochemioterapii – tłumaczył prof. Lubomir Bodnar.

Ekspert podkreślił, że decydujący jest wynik badania molekularnego.

– Nawet jeżeli pacjentka zostanie zdiagnozowana na najwcześniejszym możliwym etapie rozwoju nowotworu 1a, ale ma niekorzystne cechy biologiczne, to automatycznie jest przesuwana do stopnia 2c. To fenomen, którego jesteśmy świadkami. Biologia w zakresie diagnostyki i planowania leczenia jest najważniejszym narzędziem. Dla nas, lekarzy praktyków, największym wyzwaniem jest teraz właściwe ułożenie ścieżki diagnostycznej, tak żeby pacjentka, która ma już rozpoznanie i pierwszą histopatologię, w ciągu 3 tygodni otrzymała informacje o tym, jakie są faktycznie zaawansowanie i profil molekularny nowotworu – wskazał.

Jak dalej mówił profesor, ośrodki referencyjne, kliniczne, które kompleksowo podchodzą do leczenia nowotworów, mają

prawidłowo ułożoną ścieżkę diagnostyczną. Niestety, w mniejszych szpitalach, np. powiatowych, działania są często podejmowane po omacku, informacje z diagnostyki nie docierają na czas. Zachorowań na raka trzonu macicy jest tak dużo, że nie ma szans, aby wszystkie chore trafiły do wyspospecjalizowanych placówek, ale też nie ma takiej potrzeby. Jeśli pacjentki mają małe lub średnie ryzyko rokownicze, mogą być skutecznie i bezpiecznie zoperowane w szpitalu powiatowym na oddziale ginekologicznym. Kobiety o niekorzystnych rokowaniach powinny natomiast trafiać do ośrodków specjalistycznych, w których można wykonać operację o szerszym zakresie z pobraniem węzłów chłonnych, co wymaga większej wprawy i doświadczenia chirurgicznego.

– Tyle że wiele kobiet trafia do szpitali powiatowych, gdzie są operowane bez wiedzy, jaki jest ich profil molekularny... Owszem, diagnostyka molekularna dla ośrodków, które są w systemie, jest objęta refundacją, ale nie do końca pełną, niektóre z oznaczeń częściowo muszą finansować placówki. Po-

trebujemy pełnej refundacji tej diagnostyki także na poziomie ambulatoryjnym, dzięki temu będziemy leczyć chore lepiej i skutecznie – podkreślił prof. Lubomir Bodnar.

Potrzebujemy dostępu do immunoterapii w pierwszej linii leczenia

Kolejnym milowym krokiem, dzięki któremu możemy zwiększyć szanse pacjentek z rakiem endometrium, jest dostęp do immunoterapii już w pierwszej linii leczenia. W ubiegłym roku opublikowano cztery badania udowadniające skuteczność immunoterapii na tym etapie. Tymczasem terapia tego typu jest refundowana, ale tylko dla pacjentek w drugiej linii leczenia, czyli już ze wznową nowotworu.

– Bardzo czekamy na refundację w pierwszej linii leczenia, bo wiemy, że jeżeli do klasycznej chemii dodamy lek immunologiczny, ryzyko progresji nowotworu spadnie o 70 proc. i znacznie zmniejszy się ryzyko zgonu. Ubolewam nad tym, że muszą leczyć pacjentki zwykłą chemią i czekać, że być

może w drugim rzucie, gdy nastąpi progresja, będzie możliwość zastosowania tego leku. Jest to tym trudniejsze, że wiem, że takie leczenie znacznie poprawiłoby wyniki tych pacjentek, wydłużyłoby 2–3-krotnie średni czas przeżycia – tłumaczył specjalista.

– Pamiętajmy także, że zastosowanie immunoterapii jest możliwe tylko wtedy, jeśli pacjentka będzie dobrze zdiagnozowana. Bez wiedzy, czy niektóre mechanizmy są zaburzone, nie możemy włączyć tego leczenia – dodał prof. Lubomir Bodnar.

Pacjentki nie powinny same szukać informacji dotyczących procesu leczenia

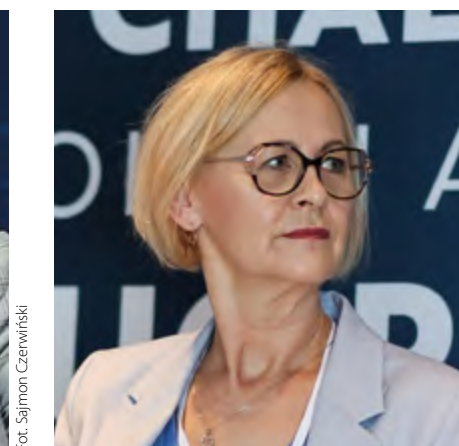
Największe problemy kobiet z rakiem endometrium przedstawiła Anna Kupiecka, prezes Fundacji OnkoCafe – Razem Lepiej, która pomaga pacjentkom, edukując je i wspierając.

– Do niedawna pacjentki z rakiem trzonu macicy opierały się tylko na tej wiedzy, że zostaną zoperowane i... uda się lub nie. Takie operacje w ubiegłym roku wykonywano 300 placówek w Polsce. To zdecydowanie za dużo. Być może rzeczywiście nie jesteśmy w stanie wszystkich chorych przyjąć do ośrodków specjalistycznych, ale pamiętajmy, że w niektórych placówkach diagnostyka molekularna wielokrotnie nie

jest wykonywana. Po operacji pacjentki są odsyłane do domu. Tylko co dalej? Odpowiedzi na to pytanie kobiety na szczęście szukają, ale na własną rękę. Współczesne pacjentki już mają wiedzę, że na operacji może się nie skończyć, że badania mogły być niewystarczające, że choroba może nawrócić. Szukają więc informacji dotyczących dalszego postępowania. Tylko nie tak to powinno wyglądać! Optymalnie byłoby, gdyby stosowano wytyczne i zachowywano standardy. Polskie Towarzystwo Ginekologii Onkologicznej takie wytyczne co prawda przygotowało, zapoznaliśmy z nimi pacjentki, tylko jak one mają to egzekwować? – pytała przedstawicielka pacjentek.

Jak dalej mówiła Anna Kupiecka, pacjenci liczą na to, że w systemie ochrony zdrowia zostaną poprowadzeni. Chcą mieć poczucie, że są w dobrych rękach.

– Kobiety powinny trafić do placówek wyspecjalizowanych, które mają podpisane programy lekowe, mają doświadczenie, wykonują badania immunohistochemiczne. W przypadku wielu nowotworów udało się uporządkować ścieżkę leczenia pacjentów w taki sposób, że są oni zabezpieczeni odpowiednim leczeniem już w pierwszej linii. Przynosi to ogromne korzyści, ponieważ nie dopuszczamy do zaawansowania choroby. I w tym kierunku powinny iść medycyna i decyzje refundacyjne – stwierdziła.



„Mateusz Oczkowski: Weszliśmy w erę leczenia celowanego i bez znajomości receptora nie wiemy, jaką terapię zastosować. Niestety diagnostyka w Polsce jest na bardzo niskim poziomie

„Anna Kupiecka: Współczesne pacjentki już mają wiedzę, że na operacji może się nie skończyć, że badania mogły być niewystarczające, że choroba może nawrócić. Szukają więc informacji dotyczących dalszego postępowania. Tylko nie tak to powinno wyglądać!

– Według organizacji pacjenckich najważniejsze, jeśli chodzi o diagnostykę i leczenie tego nowotworu, jest zdecydowane zwiększenie liczby wykonywanych badań molekularnych, które pozwalają na określenie profilu nowotworu i zabezpieczenie pacjentek leczeniem w pierwszej linii – podsumowała Anna Kupiecka.

Diagnostyka w Polsce jest na bardzo niskim poziomie

Z wypowiedziami poprzodników dotyczącymi wagi diagnostyki zgodził się także Mateusz Oczkowski.

– Jeśli pacjent trafia na ścieżkę onkologiczną, to powinien mieć wykonany cały pakiet badań diagnostycznych. Weszliśmy w erę leczenia celowanego i bez znajomości receptora nie wiemy, jaką terapię zastosować. Niestety diagnostyka w Polsce jest na bardzo niskim poziomie. Bardzo nad tym ubolewamy, ponieważ lepsza diagnostyka oznaczałaby przede wszystkim oczywiście lepsze leczenie dla pacjentów, ale też duże oszczędności dla systemu. Najdroższe jest bowiem leczenie choroby w stadium zaawansowanym. Czasami jeden pacjent w onkologii kosztuje nas milion złotych, a choroba wychwycona wcześniej, leczona zwykłą metodą, kosztuje tysiące. A więc dobra diagnostyka to korzyść dla płatnika publicznego, decydenta, pacjenta i lekarza – zmniejsza się bowiem obciążenie prac. Pacjent wyleczony nie wraca też do systemu. To powinno być poprawione w najbliższych latach. Pieniądze zaoszczędzone dzięki szybkiemu wykryciu raka i prostemu leczeniu możemy inwestować w nowe technologie – mówił przedstawiciel Ministerstwa Zdrowia.

W leczeniu raka prostaty potrzebne są nowoczesne leki hormonalne

W dalszej części panelu eksperci dyskutowali o kolejnym nowotworze, w przypadku którego potrzebne są nowoczesne terapie,

czyli o raku prostaty. Obecnie jedną piątą wszystkich przypadków nowotworów u mężczyzn stanowi rak prostaty, co rocznie przekłada się na mniej więcej 22 tys. nowych diagnoz. Dane te sugerują, że problem ten będzie narastał, szczególnie wobec faktu starzejącego się społeczeństwa. Jak podkreślili lekarze, sytuacja w Polsce staje się coraz bardziej niepokojąca. Mamy największą w Unii Europejskiej dynamikę wzrostu śmiertelności z powodu tego nowotworu. Zwiększa się również liczba przypadków raka prostaty diagnozowanych w zaawansowanym stadium, także przerzutowym.

Jeśli chodzi o diagnostykę i leczenie tego nowotworu, dokonało się już wiele pozytywnych zmian. Dużym przełomem w terapii jest nowoczesne leczenie hormonalne. Od 2022 r. w programie lekowym B.56 jest możliwe zastosowanie nowoczesnych leków hormonalnych u chorych z opornym na kastrację rakiem gruczołu krokowego bez ujawnionych w badaniach obrazowych przerzutów. Od około roku jest możliwość stosowania, choć w niepełnym zakresie leku hormonalnego na etapie rozsiewu wrażliwego na kastrację.

Na pytanie, czy mamy wszystkie dostępne na mocy rejestracji narzędzia niezbędne do leczenia chorych na raka gruczołu krokowego zgodnie z trendami światowymi, odpowiedział dr hab. n. med. Jakub Żołnierek z Europejskiego Centrum Zdrowia Otwock. Przyznał, że jeśli chodzi o dostęp do leków hormonalnych nowej generacji, wiele zmieniło się na korzyść. – Zbliżyliśmy się w tym zakresie do Stanów Zjednoczonych i krajów Unii Europejskiej. To ogromna zasługa intensywnych prac Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji oraz wsluchiwanie się w głos środowiska medycznego. Ale jest kilka kwestii, które nie zostały rozwiązane. Po pierwsze – potrzebny jest szerszy dostęp do nowoczesnego leku

PRIORITIES AND CHALLENGES IN POLISH AND EUROPEAN DRUG POLICY

hormonalnego stosowanego w skojarzeniu z kastracją farmakologiczną i chemioterapią na etapie rozsiewu raka gruczołu krokowego wrażliwego na kastrację. Jak wspomniano wcześniej, przedstawiciel tej klasy terapeutycznej jest dostępny jako opcja w leczeniu chorych z rakami stercza wrażliwymi na deprywację androgenową, ale w przypadku małego obciążenia przerzutami. Współcześnie wiemy, że w przypadku znacznego zaawansowania choroby i dużego obciążenia przerzutami istnieje konieczność intensyfikacji leczenia do schematów trójlekowych, w skład których wchodzi nowe leki hormonalne. Po drugie – kwestia refundacji, a przez to realnego dostępu do radiofarmaceutyków w leczeniu chorych z rozsiewem opornym na kastrację. Po trzecie – zawężona refundacja jednego z nowoczesnych leków hormonalnych, który mógłby być wykorzystywany szerzej na etapie rozsiewu wrażliwego na kastrację. Po czwarte – oczekujemy na refundację nowoczesnych leków hormonalnych stosowanych w skojarzeniu z inhibitorami PARP w leczeniu pierwszej linii chorych z opornym na kastrację rozsiałym rakiem prostaty i stwierdzonymi mutacjami genów BRCA1 i/lub BRCA2 – wymieniał.

Eksperti podkreślali, że analiza dostępnych danych, w tym wyników najnowszych badań klinicznych, sugeruje, że wczesna intensyfikacja terapii poprzez zastosowanie kombinacji terapii androgenami nowej generacji (*neoadjuvant hormone therapy* – NHT) z inhibitorem PARP może być kluczowa dla uzyskania dłuższych i głębszych odpowiedzi terapeutycznych u chorych z zaawansowanym, opornym na kastrację rakiem prostaty i wspomnianymi mutacjami. Obserwacje wskazują na istotne ryzyko zaistnienia sytuacji, w których u części chorych nie będziemy mieli możliwości wykorzystania potencjału tej klasy terapeutycznej w leczeniu kolejnych linii, ponieważ nie będą oni w stanie kon-



Fot. www.onkmedica.pl

”
dr hab. Jakub Żołnierek: *Oczekujemy na refundację nowoczesnych leków hormonalnych stosowanych w skojarzeniu z inhibitorami PARP w leczeniu pierwszej linii chorych z opornym na kastrację rozsianym rakiem prostaty i stwierdzonymi mutacjami genów BRCA1 i/lub BRCA2*

tynuować terapii przeciwnowotworowej ze względu na pogorszenie stanu sprawności ogólnej wynikające z postępu nowotworu lub toksyczności uprzednio zastosowanych leków. Fakt ten podnosi wagę wczesnej intensyfikacji leczenia.

Określenie statusu genów BRCA1 i BRCA2 ma kluczowe znaczenie w leczeniu raka prostaty

Doktor hab. Jakub Żołnierek zwrócił także uwagę na deficyty w obszarze procedury refundacyjnej dotyczącej diagnostyki molekularnej w raku prostaty. Jest ona daleka od realnych potrzeb klinicystów i placówek, które mają taką diagnostykę prowadzić.

Jak zaznaczali podczas dyskusji lekarze, badania molekularne, zwłaszcza diagnostyka w zakresie potencjalnych mutacji genów BRCA1 i BRCA2, mają istotne znaczenie w identyfikacji chorych, u których guz ma agresywną biologię pozwalającą mu na szybki wzrost, wczesne tworzenie przerzutów i naciekanie tkanek okolicznych oraz oporność na klasyczne formy leczenia zarejestrowane do stosowania w raku gruczołu krokowego. Zgodnie z opinią ekspertów wczesne przeprowadzenie takiej diagnostyki – na tkance guza, która nie była archiwizowana zbyt długo – jest kluczowe dla skutecznej identyfikacji pacjentów, którzy mogą skorzystać z terapii ukierunkowanej molekularnie z wykorzystaniem inhibitorów PARP. Leki z tej klasy terapeutycznej mają udowodnioną skuteczność w tym wskazaniu.

Fot. iStockphoto



Fot. Sajtmon Czerwiński

”
dr hab. Paweł Wiechno: *Dobra diagnostyka jest podstawą skutecznej terapii. Powinniśmy standaryzować nasze postępowanie, temu służą zalecenia, ale myślę, że płatnik również powinien rozliczać z jakości, oceniać, czy pacjenci są prawidłowo diagnozowani*

Eksperti podkreślali, że obecnie borykamy się ze sporymi problemami związanymi z diagnostyką molekularną w raku prostaty. Finansowanie i ograniczenia logistyczne stanowią bariery dla jej szerokiego stosowania. Koszt przeprowadzenia badań w kierunku mutacji BRCA1 i BRCA2, szczególnie z wykorzystaniem nowoczesnych technologii sekwencjonowania następnej generacji (*next-generation sequencing* – NGS), jest wysoki, a poziom refundacji niewystarczający. Konieczne jest także oddzielenie finansowania diagnostyki molekularnej i jej uniezależnienie od kontraktowania procedur szpitalnych, tak by mogła być prowadzona ambulatoryjnie, co jest w pełni możliwe.

– Diagnostyka w kierunku mutacji BRCA1 i BRCA2, które występują u ok. 10 proc. pacjentów, powinna być wykonywana u chorych z przerzutami z dużym ryzykiem uogólnienia procesu nowotworowego. Choć w tym przypadku rekomendacje amerykańskie różnią się od europejskich – dodał dr hab. n. med. Paweł Wiechno z Centrum Onkologii – Instytutu im. Marii Skłodowskiej-Curie w Warszawie. – *Niewątpliwie jednak dobra diagnostyka jest podstawą skutecznej terapii. Często widzę pacjentów, którzy mają niedostateczną diagnostykę już na samym starcie i w związku z tym nie są prawidłowo prowadzeni na dalszych etapach leczenia. Powinniśmy standaryzować nasze postępowanie, temu służą zalecenia, ale myślę, że płatnik również powinien rozliczać z jakości, oceniać, czy pacjenci są prawidłowo diagnozowani.*



Fot. Sajtmon Czerwiński

”
prof. Lubomir Bodnar: *Bardzo czekamy na refundację w pierwszej linii leczenia, bo wiemy, że jeżeli do klasycznej chemii dodamy lek immunologiczny, ryzyko progresji nowotworu spadnie o 70 proc. i znacznie zmniejszy się ryzyko zgonu*

Mamy także problem z tym, co jest od nas wymagane w diagnostyce, zwłaszcza tak specyficznej jak PET-PSMA. To niezwykle efektywne, czułe badanie. Taka diagnostyka na wstępie, po rozpoznaniu choroby, zdecydowanie skutecznie weryfikuje rzeczywisty stopień zaawansowania, a od tego przecież uzależniamy dobór efektywnego leczenia. Jeśli wykonamy je u pacjentów z nieprzerzutowym, opornym na kastrację rakiem gruczołu krokowego, okazuje się, że u 50 proc. wykrywamy chorobę przerzutową mimo wcześniejszego negatywnego wyniku diagnostyki tradycyjnymi metodami. Warto byłoby poprawić zapisy dotyczące tego, którzy chorzy powinni mieć wykonywane badanie PET-PSMA – zwracał uwagę ekspert.

Pacjenci otrzymają potrzebne terapie lekowe

Na koniec panelu Mateusz Oczkowski obiecał, że od 1 lipca 2024 r. większość problemów pacjentów z rakiem prostaty będzie rozwiązana. – *Nowe obwieszczenie lekowe będzie poświęcone rakowi prostaty* – zapowiedział*.

Dorota Mirska

*Słowa wiceministra się potwierdziły. W nowym wykazie leków refundowanych znalazły się leki onkologiczne stosowane w leczeniu raka gruczołu krokowego: Xtandi, Nubeqa, octan abirateronu, a także Xofigo (leczenie przerzutowego raka gruczołu krokowego opornego na kastrację). W grupie nowych leków onkologicznych są także Opdivo i Kimmtrak.

