

Wyzwania w chorobach neurodegeneracyjnych

Podczas panelu poświęconego chorobom neurodegeneracyjnym eksperci dyskutowali o optymalizacji diagnostyki, terapii oraz modelu opieki w chorobie Parkinsona. Zastanawiali się, do jakiego stopnia system ochrony zdrowia w Polsce jest przygotowany na wyzwania związane z takimi schorzeniami, jak choroba Alzheimera, choroba Parkinsona czy stwardnienie zanikowe boczne.

Z chorobą Alzheimera zmagają się pół miliona ludzi w Polsce. Z kolei na chorobę Parkinsona cierpi 80–100 tys. Polaków, a każdego roku to rozpoznanie słyszy 5–8 tys. pacjentów. Z roku na rok u coraz większej liczby osób diagnozuje się choroby neurodegeneracyjne.

Choroby neurodegeneracyjne to nasza nieodległa przyszłość

Profesor dr hab. n. med. Joanna Siuda ze Śląskiego Uniwersytetu Medycznego w Katowicach podkreśliła, że mimo rozwoju technologii rozpoznanie choroby Parkinsona jest nadal rozpoznaniem klinicznym.

– W literaturze mamy coraz więcej doniesień o różnych biomarkerach, możemy badać tkanki, płyny naszego ciała, oceniać różne białka. Nadal jednak nie mamy takiego wskaźnika, dzięki któremu po wykonaniu jednego badania można by

postawić ostateczną diagnozę. Podobnie w badaniach neuroobrazowych, tomografii czy rezonansie, nie znajdziemy odpowiedzi na pytanie, czy rzeczywiście mamy do czynienia z chorobą Parkinsona. Nadal diagnozujemy chorobę, badając pacjenta, rozmawiając z nim, oceniając jego objawy tu i teraz. Tylko neurolog, specjalista zaburzeń ruchowych, jest właściwą osobą, do której pacjent powinien się zgłosić i która będzie w stanie ustalić prawidłowe rozpoznanie – oceniła.

Ekspertka dodała, że powszechne przekonanie łączące chorobę Parkinsona ze starszym wiekiem nie jest słuszne. Coraz częściej choroba jest rozpoznawana u osób aktywnych zawodowo, 40–50-letnich, a nawet młodszych.

– Nasze społeczeństwo ma coraz większą świadomość, że choroby neurodegeneracyjne możemy dobrze leczyć lub jesteśmy w stanie dobrze kontrolować ich objawy.

Dzięki temu pacjenci zgłaszają się do lekarza wcześniej. A im szybciej, na wczesnym etapie, choroba zostanie rozpoznana, tym efektywniejsze jest leczenie. Wielu młodych chorych pozostaje aktywnych zawodowo i dobrze funkcjonuje w społeczeństwie przez długi czas – stwierdziła prof. Joanna Siuda.

Chorzy oczekują na refundację podskórnej formy lewodopy

W Polsce mamy dostęp do pełnego portfolio leków stosowanych w chorobie Parkinsona. Większość jest refundowana, ale część – mimo że są dostępne na naszym rynku – niestety nie.

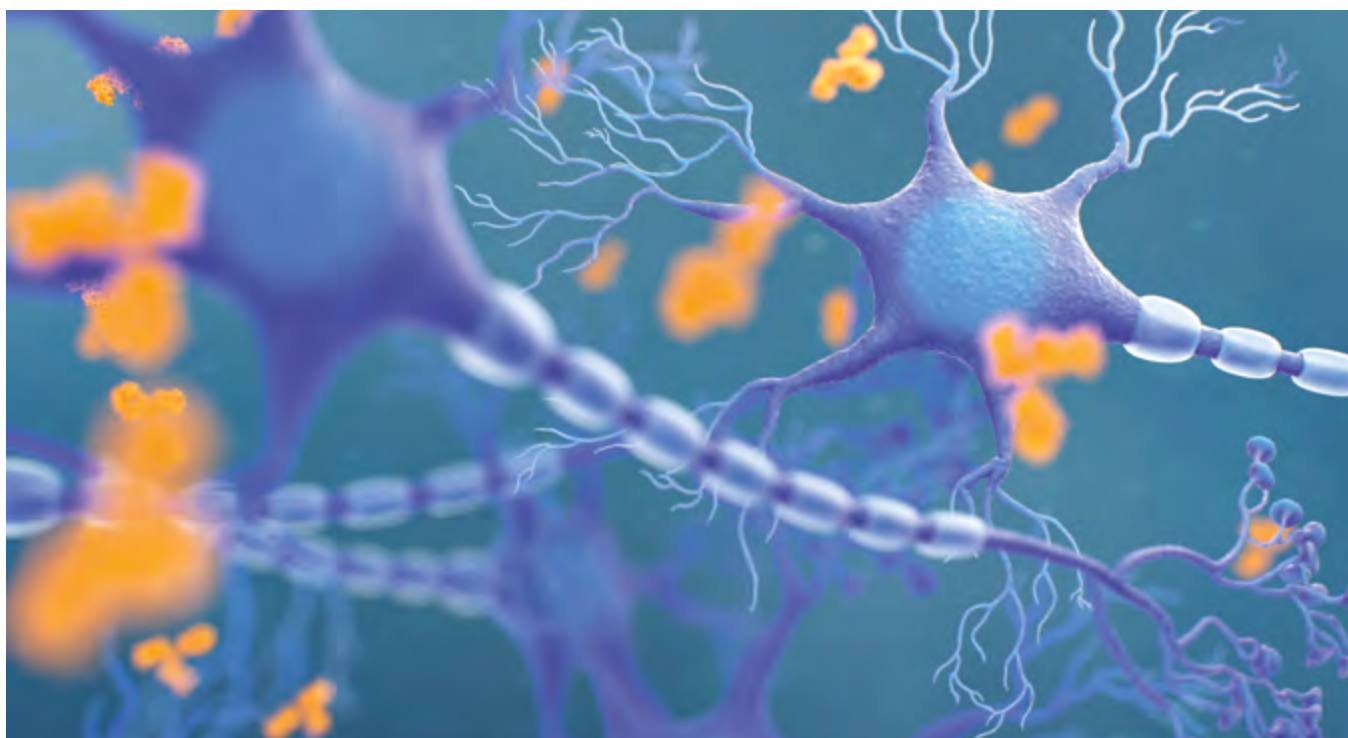
– Pacjent z chorobą Parkinsona musi przyjmować leki nawet kilka razy dziennie, czasami kilka preparatów jednocześnie. Choroba jest postępująca. Po pierwszym okresie, tzw. miodowym miesiącu, kiedy przy dobrze dobranym leczeniu nawet przez kilka lat chory może być wolny od



Fot. archiwum



prof. Joanna Siuda: Im szybciej, na wczesnym etapie, choroba zostanie rozpoznana, tym efektywniejsze jest leczenie. Wielu młodych chorych pozostaje aktywnych zawodowo i dobrze funkcjonuje w społeczeństwie przez długi czas



Fot. iStockphoto

PRIORITIES AND CHALLENGES IN POLISH AND EUROPEAN DRUG POLICY



Fot. Szymon Czerwinski



Fot. Jakub Orzechowski / Agencja Wyborcza.pl



Fot. archiwum



Fot. Szymon Czerwinski

” prof. Konrad Rejdak: *Czekamy, żeby systemy podające podskórną lewodopę uzyskały refundację, bo przedłuży to normalne funkcjonowanie chorych, zapobiegnie powikłaniom i w dłuższej perspektywie będzie opłacalne dla systemu*

objawów lub są one minimalne, nadchodzi okres „raju utraconego” – pojawiają się fluktuacje ruchowe, zmiany stanu sprawności. I wówczas napotykamy na większe ograniczenia w dostępie do leczenia. Jedyną terapią ratunkową dla naszych pacjentów w okresie przejściowym jest dyspersyjna forma lewodopy (rozpuszczalna w wodzie tabletki). Dostępne w Polsce, ale nier refundowane są peny z apomorfina, dzięki którym pacjent może zrobić sobie zastrzyk, gdy jego stan gwałtownie się pogorszy – tłumaczyła ekspertka. Wraz z postępem choroby farmakoterapia doustna jest coraz mniej skuteczna, coraz trudniej jest osiągnąć lekami doustnymi tzw. ciągłą stymulację dopaminergiczną, aby zapewnić chorym optymalne funkcjonowanie. Pacjenci z zaawansowaną chorobą Parkinsona od 7 lat mają dostęp do terapii infuzyjnych, tj. dojelitowej formy lewodopy z karbidopą oraz podskórnego wlewu apomorfiny (program lekowy B.90). – Chorzy korzystający z tej terapii do słownie wstają z wózków inwalidzkich, są w stanie funkcjonować w domu samodzielnie, więc odciążają opiekunów, którzy mogą wrócić do pracy zawodowej. Jesteśmy bardzo wdzięczni Ministerstwu Zdrowia za tę refundację. Dostęp do tej formy terapii jest ograniczony do ośrodków referencyjnych, które mają doświadczenie w prowadzeniu takich pacjentów. Nowa podskórna terapia z prolekiem (foslewodopa/foskarbidopa) daje dodatkowo moż-

” Wojciech Machajek: *Zbyt mało jest neurologów, którzy parają się ustawianiem DBS, ponieważ jest to czynność długotrwała i wymagająca dużych umiejętności, a bardzo słabo wyceniona*

liwości, jest mniej inwazyjna, nie wymaga zabiegu chirurgicznego w celu umożliwienia podania leku i może być prowadzona w warunkach ambulatoryjnych – mówiła prof. Joanna Siuda. Pacjenci stosują lek 24 godziny na dobę, dzięki czemu uzyskują kontrolę objawów choroby przez cały czas, poprawę jakości snu, a w efekcie poprawę jakości życia. Nie bez znaczenia są możliwości zmiany miejsca wkłucia co 3 dni, indywidualizacja dawek, mniejsza i lżejsza pompa. Pacjenci uzyskują także optymalną kontrolę objawów niemotorycznych zarówno w dzień, jak i w nocy, czego nie zapewnia żadna refundowana do tej pory opcja terapeutyczna. Profesor dr hab. n. med. Konrad Rejdak wyjaśniał, że system do podawania podskórną lewodopę w pompach infuzyjnych jest potrzebny chorym, ponieważ naśladuje fizjologiczny proces uwalniania dopaminy w mózgu, co zapobiega powikłaniom i wydłuża okres dobrego funkcjonowania. Pacjenci mają możliwość samodzielnej obsługi pompy i aplikowania leku w warunkach domowych. – Mamy doświadczenia z badań klinicznych, gdzie widzimy osoby w młodym wieku dotknięte chorobą Parkinsona. Jest to czynnik ryzyka znacznie szybszego postępu choroby. Dzięki pompom infuzyjnym możemy wydłużyć czas dobrego funkcjonowania chorych, co jest bezcenne. Ci ludzie chcą pracować i być niez-

” prof. Agnieszka Słowik: *Organizacje pacjenckie są coraz bardziej widoczne w polskim systemie opieki zdrowotnej: informują o potrzebach chorych i ich rodzin, stanowią mocne wsparcie dla chorych, prowadzą działalność edukacyjną*

leżni od pomocy opiekunów tak długo, jak to możliwe. Systemy podskórne są prawdziwym przełomem, można je obsługiwać w warunkach domowych, co daje samodzielność chorym i odciąża system, także finansowo. Stosując je, nie musimy bowiem angażować całego zespołu specjalistów, chirurga, gastroenterologa, anestezjologa, nie jest potrzebna sala operacyjna – wymieniał ekspert. – Czekamy, żeby systemy podające podskórną lewodopę uzyskały refundację, bo przedłuży to normalne funkcjonowanie chorych, zapobiegnie powikłaniom i w dłuższej perspektywie będzie opłacalne dla systemu – podsumował prof. Konrad Rejdak. W zaawansowanej chorobie Parkinsona stosuje się także terapię neurochirurgiczną polegającą na wszczępieniu do mózgu cienkich elektrod stymulujących jego pracę (deep brain stimulation – DBS). Ale nie każdy pacjent kwalifikuje się do tego typu terapii – jest wiele obostrzeń i kryteriów dyskwalifikujących. W takiej sytuacji pozostaje korzystanie z pomp infuzyjnych z podskórną formą lewodopy. Eksperti podczas panelu podkreślali, że o wyborze optymalnej terapii dla chorego decyduje neurolog, a nie lekarz innej specjalności, na przykład neurochirurg. Zaznaczyli, że odpowiednia diagnostyka i indywidualny dobór najlepszej z możliwych terapii jest warunkiem przedłużenia dobrego funkcjonowania chorych.

” Maciej Miłkowski: *Wszystko wskazuje na to, że uda się zmienić program lekowy, tak aby uwzględniał leczenie za pomocą podskórnej formy lewodopy – ta terapia będzie refundowana już od lipca*

Brakuje kompleksowej i koordynowanej opieki

Choroba Parkinsona jest schorzeniem wieloukładowym. Pacjent, zwłaszcza w zaawansowanym stanie, musi mieć dostęp do rehabilitacji, konsultacji psychologa, logopedy, dietetyka, urologa, kardiologa. – Opieka wielospecjalistyczna w przypadku tej choroby jest po prostu niezbędna, na przykład pacjent z zaburzeniami psychotycznymi w przebiegu choroby Parkinsona nie może czekać w kolejce. Musi otrzymać pomoc tu i teraz. Specjalistą koordynującym od strony medycznej powinien być lekarz neurolog, który wskaże i ułatwi choremu dostęp do diagnostyki i innych specjalistów. Taki model opieki kompleksowej został przygotowany przez środowisko neurologów. Musimy tylko wdrożyć go w życie – podkreśliła prof. Joanna Siuda. O tym, jak wygląda życie z chorobą Parkinsona oraz czego oczekują od systemu ochrony zdrowia pacjenci i opiekunowie, mówił Wojciech Machajek z Fundacji Chorób Mózgu. – Jeśli w zaawansowanej chorobie nie ma koordynacji, opiekunom jest ogromnie trudno zajmować się chorymi i ich prowadzić. Często dochodzi do powikłań, takich jak złamanie kości udowej, pojawiają się problemy urologiczne, kardiologiczne, powstają odleżyny, trudności z oddychaniem. Kompleksowa opieka koordynowana jest w takiej sytuacji niezbędna. Pod koniec

ubiegłego roku złożyliśmy opracowany wspólnie z Agencją Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji program pilotażowy, który miał objąć województwa pomorskie, mazowieckie i dolnośląskie. Na razie nic się w tej sprawie nie dzieje. Czekamy... – wyjaśnił.

Problemy z DBS

Wojciech Machajek podkreślił też, że choć w Polsce mamy dostęp do DBS, to jest zbyt mało ośrodków specjalizujących się w tej terapii. Przyznał, że jedno z najczęstszych pytań, jakie są kierowane do fundacji, dotyczy właśnie tego, gdzie można skorzystać z tej metody leczenia.

– W Polsce jest ok. 15 ośrodków wszczepiających DBS. Problemem jest prawidłowa kwalifikacja i tzw. serwis po wszczępieniu stymulatorów, czyli prowadzenie pacjentów przez neurologów. Chorzy mimo stymulatorów bardzo często muszą jeszcze stosować leczenie farmakologiczne. Zbyt mało jest neurologów, którzy parają się ustawianiem DBS, ponieważ jest to czynność długotrwała i wymagająca dużych umiejętności, a bardzo słabo wyceniona – tłumaczył.

W dalszej części prelekcji Wojciech Machajek zauważył, że pacjenci, a czasami nawet lekarze nie mają wiedzy dotyczącej różnych metod leczenia, które można stosować w zaawansowanej chorobie Parkinsona. – Potrzebne są programy edukacyjne dla chorych, opiekunów i neurologów. Wszyscy powinni się dowiedzieć, że nie każdy może być poddany DBS, ale są inne sposoby leczenia, takie jak zastosowanie pompy infuzyjnej z podskórną formą lewodopy. To bardzo wygodna metoda terapii – zakłada się wkłucie raz na trzy dni, nie trzeba zdejmować pompy na noc, a leczenie przynosi bardzo dobre efekty – tłumaczył Wojciech Machajek.

Potrzebujemy edukacji i opieki koordynowanej

Konsultant krajowa w dziedzinie neurologii prof. dr hab. n. med. Agnieszka Słowik zaznaczyła, że ogromnie ważna dla rozwoju opieki nad pacjentami z rozpoznaniem chorób neurodegeneracyjnych jest współpraca z organizacjami pacjenckimi, które stanowią łącznik pomiędzy lekarzami a pacjentami i ich rodzinami. – Organizacje pacjenckie są coraz bardziej widoczne w polskim systemie opieki zdrowotnej: informują o potrzebach chorych i ich rodzin, stanowią mocne wsparcie dla chorych, prowadzą działalność edukacyjną – przyznała ekspertka. Bardzo ważne zdaniem prof. Agnieszki Słowik jest szkolenie neurologów ukierunkowane na wyspospecjalistyczne podspecjalizacje neurologiczne, na przykład w zakresie chorób neurodegeneracyjnych, chorób mięśni, padaczki,



Fot. Szymon Czerwinski

W DEBACIE UCZESTNICZYLI:

- Wojciech Machajek, Fundacja Chorób Mózgu
- Maciej Miłkowski, wiceminister zdrowia w latach 2018–2024
- prof. dr hab. n. med. Konrad Rejdak, Uniwersytet Medyczny w Lublinie
- prof. dr hab. n. med. Joanna Siuda, Śląski Uniwersytet Medyczny w Katowicach
- prof. dr hab. n. med. Agnieszka Słowik, konsultant krajowa w dziedzinie neurologii

stwardnienia rozsianego, które poprawi dostęp do opieki na najwyższym możliwym poziomie. Konieczne jest też wdrożenie opieki koordynowanej dla chorych z przewlekłymi chorobami neurologicznymi, w tym z chorobami neurodegeneracyjnymi, oraz wypracowanie prostych ścieżek pacjenta w systemie ochrony zdrowia w Polsce.

Refundacja leczenia podskórnego już w wakacje

Uczestniczący w dyskusji eksperci podziękowali wiceministrowi zdrowia Maciejowi Miłkowskiemu za ogromne zaangażowanie i uzyskany dostęp do wielu nowoczesnych, będących na europejskim poziomie i ogromnie potrzebnych terapii, w tym wszystkich programów lekowych stosowanych w stwardnieniu rozsianym, padaczce, migrenie i rzdzeniowym zaniku mięśni. – Wiele się działo w neurologii przez ostatnie lata. Uwzględniliśmy praktycznie wszystkie uwagi lekarzy i konsultanta krajowego. Jeśli tylko była taka możliwość, terapie stosowane w chorobach neurodegeneracyjnych otrzymywały refundację lub rozszerzaliśmy kwalifikację pacjentów, by jak najwięcej chorych zyskiwało dostęp do

leczenia. Wszystko wskazuje na to, że uda się także zmienić program lekowy, tak aby uwzględniał leczenie za pomocą podskórnej formy lewodopy – ta terapia będzie refundowana już od lipca – stwierdził Maciej Miłkowski.

Wskazał także inne problemy, z którymi mierzy się neurologia, takie jak brak odrębnych wycen porad kwalifikacyjnej. Chorzy podczas jednodniowej hospitalizacji mają wykonywany pakiet badań, który jest niezbędny do zakwalifikowania do określonego programu lekowego ze względu na medycznych. Często się okazuje, że z jakichś względów pacjent nie przechodzi kwalifikacji. Pojawia się wówczas problem z kosztami takich badań, ponieważ refundacja przysługującej tylko tym chorym, którzy zakwalifikowali się do leczenia. Dodatkowo w takiej sytuacji pacjent „wypada” z systemu, choć – jak podkreślił Maciej Miłkowski – należy mu się taka sama troska i opieka jak chorym zakwalifikowanym. Mógłby na przykład trafić do grupy kontrolnej badań danego programu lekowego. Brakuje również elektronicznego systemu kwalifikacji, który jest istotny dla monitorowania efektywności leczenia.

Zatrzymać postęp choroby – nasze marzenie

Profesor Konrad Rejdak stwierdził, że choroby neurodegeneracyjne są jednymi z najtrudniejszych do leczenia, ponieważ w ich przebiegu stale postępuje degeneracja komórek nerwowych i na razie jesteśmy wobec tego bezradni. – Chcemy zatrzymać postęp choroby, to nasze marzenie. W Polsce nadal stosujemy tylko terapie objawowe, które poprawiają funkcjonowanie chorych i przywracają im godność. Na świecie jednak trwają już próby terapeutyczne z lekami, które mogłyby powstrzymać proces degeneracji komórek, na przykład z zastosowaniem przeciwciał monoklonalnych i terapii genowych. Dają one ogromną nadzieję i chorym, i lekarzom – mówił. Jak podsumowali eksperci, w neurologii i leczeniu chorób neurodegeneracyjnych dokonała się prawdziwa rewolucja. Jeszcze 20 lat temu diagnoza takiej choroby oznaczała wyrok. Dzisiaj dysponujemy coraz większą liczbą terapii hamujących ich postęp, a na horyzoncie są leki, które potencjalnie będą mogły je zatrzymać.

Dorota Mirska