



Leczenie szpiczaka plazmocytozewego (mnogiego) w Polsce

choroba, pacjent, system

Autorzy:
Milena Kruszewska
Krzysztof Łanda

Wydawca:
Fundacja Watch Health Care

Sponsor:
Janssen-Cilag Polska Sp. z o.o.



Niniejszy raport jest objęty prawami autorskimi. Cytowanie fragmentów lub danych zawartych w raporcie powinno zawierać adnotację o źródle.

Treści zawarte w niniejszym raporcie nie mają na celu promowania produktów leczniczych. Zostały zawarte jedynie w celach informacyjno-edukacyjnych.

Leczenie szpiczaka plazmocytowego (mnogiego) w Polsce

choroba, pacjent, system



Fundacja Watch Health Care, 2022



Patronat:
Polskie Towarzystwo Hematologów i Transfuzjologów

Spis treści

Wstęp	9
--------------------	----------

Część pierwsza: CHOROBA

Szpiczak mnogi czy plazmocytowy?	14
Hematologia czy hematoonkologia?	15
🗣️ Komentarz prof. Krzysztofa Jamroziaka	
🗣️ Komentarz Krystyny Wechmann	
Raport Narodowego Funduszu Zdrowia	16
Dane Krajowego Rejestru Nowotworów	17
• Zachorowania	
• Zgony	
🗣️ Komentarz dra hab. Dominika Dytfelda	
🗣️ Komentarz prof. Artura Jurczyszyna	
Minimalna (mierzalna) choroba resztkowa	21
🗣️ Komentarz prof. Ewy Lech-Marańdy	

Część druga: PACJENT

Co czuje chory?	26
🗣️ Komentarz prof. Krzysztofa Jamroziaka	
🗣️ Komentarz Anny Kupieckiej	
🗣️ Komentarz dra hab. Dominika Dytfelda	
🗣️ Komentarz prof. Lidii Usnarskiej-Zubkiewicz	

Historie pacjentów	30
 Piotr Nikiel	
 Grzegorz Rakowiecki	
 Jakub Bartkowiak	
 Melissa Smith	
 Morion Povey	
 Komentarz Łukasza Rokickiego	
 Komentarz Barbary Leonardi	
Leczenie	36
 Komentarz prof. Lidii Usnarskiej-Zubkiewicz	
 Komentarz dra hab. Dominika Dytfelda	
 Komentarz prof. Iwony Hus	
• Postępy refundacyjne w hematologii	
• Czym są programy lekowe?	
• Refundowane leczenie szpiczaka	
 Komentarz prof. Iwony Hus	
 Komentarz prof. Ewy Lech-Marańdy	
 Komentarz prof. Lidii Usnarskiej-Zubkiewicz	
• Przeszczep	
Nadzieje	45
• Technologie w procesie refundacji	
 Komentarz prof. Krzysztofa Jamroziaka	
• Metoda CAR-T	
 Komentarz dra hab. Dominika Dytfelda	
 Komentarz prof. Iwony Hus	
 Komentarz prof. Artura Jurczyszyna	
• Przeciwciała bispecyficzne	

Część trzecia: SYSTEM 51

Kadry 52

- Specjalizacje onkologiczne
- Lekarze onkologiczni w systemie
- 📖 Komentarz prof. Krzysztofa Giannopoulosa
- Kolejki

Przełom: Polski Rejestr Onko-hematologiczny (PROH) 62

- 📖 Komentarz prof. Krzysztofa Giannopoulosa

Szpiczak na świecie 64

- 📖 Komentarz Łukasza Rokickiego
- Europejska Agencja Leków a refundacja w Polsce
- Amerykańska Agencja Żywności i Leków a refundacja w Polsce
- 📖 Komentarz Barbary Leonardi

Choroby rzadkie i leki sieroce 69

- Czy leki sieroce mogą być tanie?

Dane Narodowego Funduszu Zdrowia 72

Podsumowanie 79

Wstęp

Szpiczak plazmocytowy po raz pierwszy został dobrze udokumentowany w 1844 roku w Anglii; chorą była 39-letnia Sarah Newbury. Leczone ją rabarbarem i skórkami pomarańczy. Całkiem dobrze opisany z tamtych czasów jest także przypadek Thomasa Alexandra McBeana, „bardzo szanowanego handlowca”. Lekarze próbowali łagodzić jego bóle „wzmacniającym plastrem na klatkę piersiową” i stosowali pijawki do „terapii podtrzymującej”. Kiedy bańki i flebotomia (upusty krwi) nie były pomocne, a jedynie osłabiły pacjenta, podjęto jeszcze próbę pomocy żelazem i chininą. Bez efektu. Podczas autopsji znaleziono miękkie, kruche, łatwo łamiące się żebra i „żelatynową substancję o krwistoczerwonym kolorze” w kościach¹.

178 lat później wiemy dużo więcej. Wiemy, że szpiczak nadal jest chorobą nieuleczalną, ale można go zaleczyć i doprowadzić do remisji, dzięki czemu chorzy mogą przeżyć wiele lat w dobrej kondycji. Wiemy, że w ostatnich latach w Polsce dużo się zmieniło - wiele nowych leków weszło do refundacji, kolejne na nią czekają, a dzięki coraz większej świadomości choroby i potrzeb chorych, co zawdzięczamy ogromnemu zaangażowaniu i współpracy ekspertów medycznych i reprezentantów pacjentów, można zakładać, że Ministerstwo Zdrowia nie będzie zwlekało z pozytywnymi decyzjami refundacyjnymi i systemowymi.

Powstawanie raportu przypadło na miesiąc, w którym zainaugurowano pierwszy w historii Europejski Dzień Świadomości Szpiczaka. Od 2022 r. Europejczycy będą mieli okazję każdego 27 dnia września dowiedzieć się więcej o tej chorobie. Podczas tegorocznej edycji wydarzenia skupiono się na diagnostyce i konsekwencji opóźnień w terminowym wykrywaniu szpiczaka - są to też zagadnienia, których w naszym raporcie nie mogło zabraknąć. Skupiamy się na chorobie, na pacjencie i

¹ <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC2265446/>

na systemie - na tym, co się udało i na tym, co wymaga zmian. **Choroba, pacjent i system to trzy zależne od siebie elementy, które nie mogą tworzyć pełnego niejasności „Trójkąta Bermudzkiego”, tylko mają domykać dobrze sprecyzowane linie działania.**

Chciałabym, żeby pacjenci ze szpiczakiem nie tracili nadziei po usłyszeniu diagnozy. Żeby ich lekarze mogli dobrać im najlepszą możliwą terapię, nie oglądając się na wąskie kryteria refundacji i ograniczenia związane z dostępnością do części badań diagnostycznych. I żeby mogli przy tym wspólnie przekąsić na spokojnie ciastko z rabarbarem i skórką pomarańczy.

Dziękuję ekspertom, którzy poświęcili swój czas, by podzielić się z nami swoją wiedzą, doświadczeniem i refleksjami dotyczącymi choroby, pacjenta i systemu w kontekście szpiczaka:

 **Prof. Iwona Hus**, Prezes Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów, Kierownik Kliniki Hematologii, Centralny Szpital Kliniczny MSWiA w Warszawie;

 **Prof. Ewa Lech-Marańda**, Konsultant Krajowy w dziedzinie hematologii, Dyrektor Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie;

 **Prof. Lidia Usnarska-Zubkiewicz**, hematolog i specjalista transplantolog z Kliniki Hematologii, Nowotworów Krwi i Transplantacji Szpiku Uniwersytetu Medycznego we Wrocławiu;

 **Dr hab. Dominik Dytfeld**, Klinika Hematologii i Transplantacji Szpiku w Poznaniu, Prezes Polskiego Konsorcjum Szpiczakowego, członek Prezydium Polskiej Grupy Szpiczakowej;

 **Prof. Krzysztof Giannopoulos**, Lekarz Kierujący Oddziałem Hematologicznym Centrum Onkologii Ziemi Lubelskiej, Kierownik Zakładu Hematoonkologii Doświadczalnej Uniwersytetu Medycznego w Lublinie;

 **Prof. Krzysztof Jamroziak**, Zastępca Kierownika Kliniki Hematologii, Transplantologii i Chorób Wewnętrznych Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego, członek Prezydium Polskiej Grupy Szpiczakowej i Wiceprezes Polskiego Konsorcjum Szpiczakowego;

 **Prof. Artur Jurczyszyn**, Kierownik Ośrodka Leczenia Dyskrazji Plazmocytowych, Katedra i Klinika Hematologii UJ CM w Krakowie, członek Prezydium Polskiej Grupy Szpiczakowej.

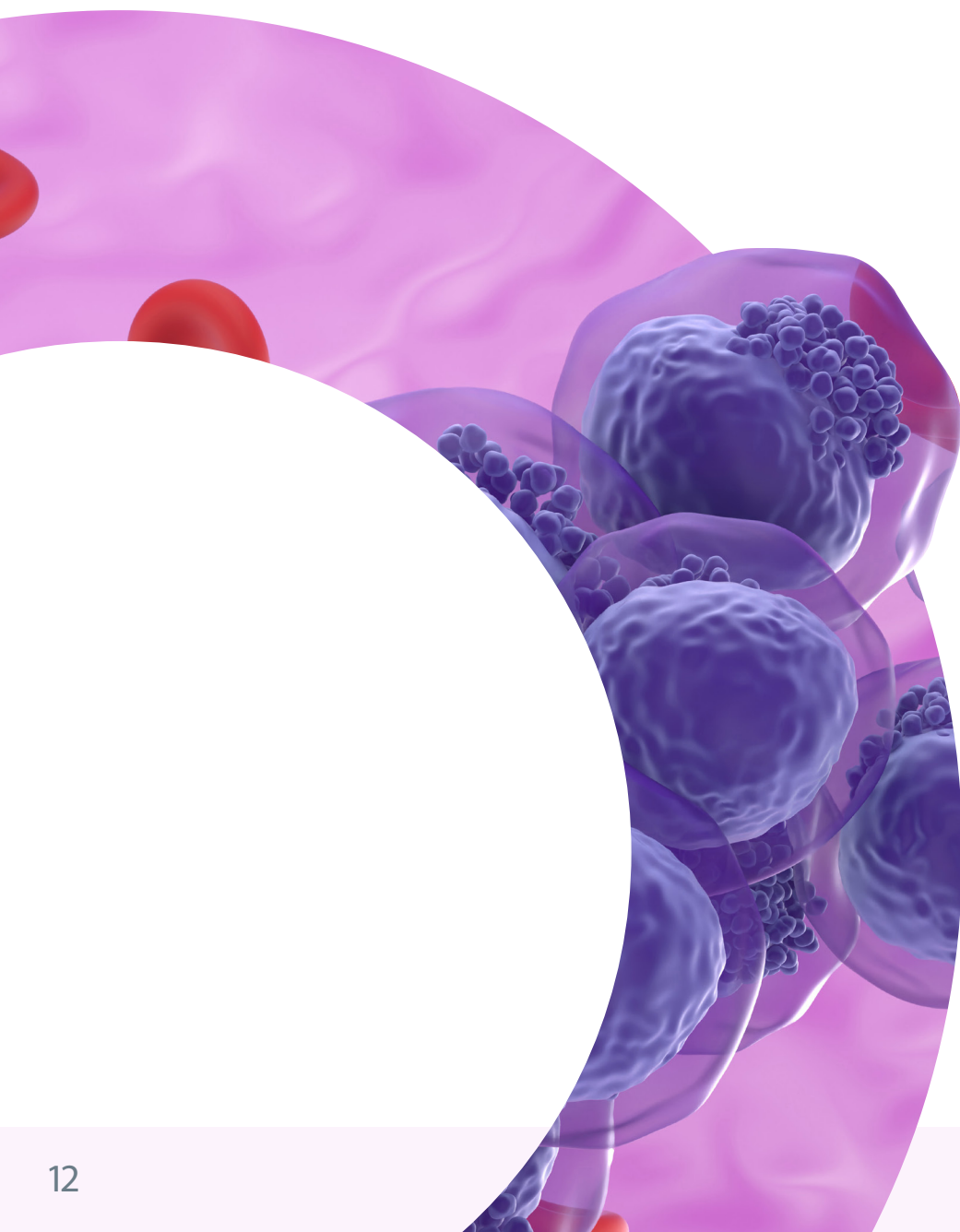
 **Anna Kupiecka**, Prezes Fundacji OnkoCafe - Razem Lepiej, która zainicjowała powstanie HematoKoalicji (konsorcjum czterech organizacji pacjenckich, mające na celu wspieranie chorych na nowotwory krwi na różnym etapie ich diagnozy i leczenia - należą do niego także Fundacja Onkologiczna Alivia, Fundacja Carita im. Wiesławy Adamiec, PARS - Polskie Amazonki Ruch Społeczny);

 **Barbara Leonardi**, członkini Zarządu Myeloma Patients Europe, współpracuje z Fundacją Carita;

 **Krystyna Wechmann**, Prezes Federacji Stowarzyszeń Amazonki, założycielka i Prezes Poznańskiego Towarzystwa Amazonki, inicjatorka, założycielka oraz Prezes Polskiej Koalicji Pacjentów Onkologicznych;

 **Łukasz Rokicki**, Prezes Fundacji Carita im. Wiesławy Adamiec, Lider ds. Badań Klinicznych.

Milena Kruszewska
Prezes Fundacji Watch Health Care





Część pierwsza: **CHOROBA**

Szpiczak mnogi czy plazmocytowy?

Zacznijmy od tego, czym jest **szpik kostny**: to gąbczasta substancja wypełniająca niektóre kości i wytwarzająca komórki macierzyste – czyli takie, bez których ludzki organizm nie mógłby powstać i funkcjonować.

Komórki macierzyste rozwijają się w trzy inne rodzaje komórek krwi:

- **krwinki czerwone**, które dostarczają tlen do wszystkich komórek organizmu,
- **krwinki białe**, które odgrywają zasadniczą rolę w zwalczaniu zakażeń,
- **płytki krwi**, które uczestniczą w procesie krzepnięcia krwi.

I tak przechodzimy do **komórek plazmatycznych (plazmocytów)**, które są rodzajem białych krwinek. Jako część układu odpornościowego pomagają chronić organizm przed zakażeniem. Wytwarzają białka, które nazywamy przeciwciałami lub immunoglobulinami – to właśnie one krążą we krwi w gotowości do walki z wirusami i bakteriami wewnątrz naszego organizmu. Gdy dochodzi do zakażenia, organizm wytwarza większą liczbę komórek plazmatycznych i tym samym rośnie liczba przeciwciał.

Szpiczak jest nowotworem wywodzącym się właśnie z komórek plazmatycznych, stąd mówimy o szpiczaku plazmocytowym.

Szpiczak mnogi jest „starą” nazwą, od której odchodzi się w aktualnej nomenklaturze medycznej, nadal jednak spotykamy się z tym sformułowaniem, które również nawiązuje do procesów związanych z samą chorobą.

Nowe komórki plazmatyczne wytwarzane są w celu zastąpienia starych, zużytych komórek. Gdy jesteśmy zdrowi, proces ten przebiega w sposób uporządkowany i kontrolowany. Zdarza się jednak, że dochodzi do nadmiernego, **nieprawidłowego mnożenia się** nieprawidłowych plazmocytów. Komórki te wypełniają szpik kostny i zakłócają proces wytwarzania prawidłowych komórek krwi (czyli wymienionych wcześniej krwinek czerwonych, białych i płytek krwi).

Plazmocyty zazwyczaj wytwarzają znaczne ilości jednego typu nieprawidłowych przeciwciał. Są one znane pod nazwą paraprotein lub protein M. Przeciwciała te nie mogą skutecznie zwalczać infekcji i często hamują wytwarzanie przeciwciał prawidłowych¹. Rozprzestrzeniają się w szpiku kostnym i w kościach, powodując bardzo nieprzyjemne dla człowieka dolegliwości.

¹ <http://bip.ihit.waw.pl/Co-to-jest-szpiczak-plazmocytowy.html>

Hematologia czy hematoonkologia?

Hematologia to dziedzina medycyny, która zajmuje się układem krwiotwórczym i chorobami krwi. Krew jest niezbędna dla funkcjonowania organizmu; nie ma dla niej zamiennika. Choroby krwi czasem mają łagodny przebieg, a czasem szybko prowadzą do poważnych powikłań i śmierci.

Dlatego jeśli pacjent odczuwa niepokojące objawy, takie jak często pojawiające się siniaki i krwawki, blady odcień skóry, warg lub błon śluzowych, skłonność do krwawień, uporczywe nadżerki w jamie ustnej, utrzymująca się gorączka i stany podgorączkowe czy powiększone węzły chłonne – nie należy zwlekać z konsultacją lekarską. Gdy w wynikach badań krwi pojawią się nieprawidłowości, lekarz rodzinny może skierować pacjenta właśnie do hematologa (więcej o specjalistach i kolejkach do nich w rozdziale SYSTEM/Kadry/Kolejki).

Hematolodzy zajmują się niedokrwistością, małopłytkowością, niedoborami odporności, zaburzeniami krzepnięcia, ale także chorobami nowotworowymi związanymi z układem krwiotwórczym, czyli np. białaczkami, chłoniakami, w tym także szpiczakiem. Na tych chorobach nowotworowych koncentruje się właśnie **hematoonkologia**, która nie jest jednak oddzielną specjalnością medyczną.

Prof. Krzysztof Jamroziak

Myślę, że należy spojrzeć troszeczkę w przyszłość. Trwa takie badanie skandynawskie, gdzie duża część populacji Islandii po 40 r.ż. jest badana w kierunku obecności białka monoklonalnego, a zatem szpiczaka i stadiów poprzedzających ten nowotwór. I się okazuje, że to jest choroba dużo częstsza niż myśleliśmy. Po drugie, czas przeżycia pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym w ciągu 20 lat wydłużył się dwu- lub nawet trzykrotnie i ta populacja się starzeje.

Musimy się więc przygotować, że tych chorych w najbliższych latach będzie więcej. Czyli mówimy o niewydolności nerek, o problemach kostnych, problemach infekcyjnych, neurologicznych, o potrzebie skoordynowanej opieki. O publicznym programie ochrony zdrowia dla chorych na szpiczaka, gdzie dostęp do tej opieki byłby łatwiejszy. **Bo to jest taki nowotwór przyszłości, gdyż dotyczy głównie ludzi starszych, a populacja Polski się starzeje.** A u nas i brakuje dostępu do wielu nowych terapii, i systemowo brakuje kompleksowego podejścia do szpiczaka. Wiem, że są ośrodki, gdzie współpraca jest dobra, mamy wielu konsultantów ortopedów, natomiast organizacyjnie to nie jest wypracowane. Uważam, że ta strona powikłań kostnych, w sensie zabiegowym, nie jest dobrze zaopatrzona w większości ośrodków.

Krystyna Wechmann

Przez wszystkie lata mojej działalności najważniejsza była dla mnie kwestia profilaktyki. Październik jest miesiącem świadomości raka piersi i taki październik w kwestii świadomości profilaktyki w chorobach onkologicznych powinien według mnie trwać cały rok. Onkologia musi być w systemie priorytetem nie tylko w leczeniu, ale i w budowaniu świadomości, jak ważna jest profilaktyka. Hematologia jest dosyć trudnym zagadnieniem, dlatego w 2018 r. powstała kampania edukacyjna „Odpowiedź masz we krwi”, poświęcona chorobom krwi i szpiku, w tym nowotworom hematologicznym, której celem było upowszechnienie wiedzy nt. chorób krwi i szpiku kostnego, ich niespecyficznych objawów, przebiegu i metod leczenia.

Chcieliśmy w kampanii pokazać, jak ważne jest choćby wykonanie morfologii krwi obwodowej – to badanie dostępne, nie trzeba stać w kolejkach, a można dostać sygnał, że coś się dzieje niepokojącego. **Szybka diagnoza może uratować życie.**

Bardzo często lekarz rodzinny nie ma jasności w rozmowie z pacjentem, bo objawy takie jak zmęczenie, utrata masy ciała czy nocne poty mogą dotyczyć wielu innych schorzeń. Choć choroby krwi i szpiku kostnego mają różne przyczyny i objawy, w większości przypadków łączy je jeden wspólny mianownik – nieprawidłowości wykrywane w morfologii krwi obwodowej.

Raport Narodowego Funduszu Zdrowia

Nad zagadnieniem szpiczaka pochylił się także Narodowy Fundusz Zdrowia (NFZ). W grudniu 2019 r. płatnik opublikował raport „Szpiczak plazmocytowy (mnogi). Ocena jakości informacyjnej rejestru kontraktowego”.

Zgodnie z przedstawionymi wynikami, w 2016 r. w systemie płatnika publicznego odnotowano blisko 2,6 tys. nowych zachorowań na szpiczaka plazmocyтового. Była to wartość nieznacznie wyższa niż w latach 2014-2015.

Najczęstszymi pacjentami były kobiety powyżej 65. roku życia, jednak w odniesieniu do wielkości populacji najwyższe odsetki osób chorych występowały w przypadku mężczyzn powyżej 75. roku życia.

Spośród nowo rozpoznanych pacjentów blisko 60 proc. było leczonych chemioterapią specyficzną dla szpiczaka. Prawie 75 proc. pacjentów było leczonych jednym schematem leczenia. Dominował

schemat VTD (bortezomib, talidomid i deksametazon) i był on stosowany u 32 proc. pacjentów leczonych chemioterapią dedykowaną szpiczakowi.

Przeszczepienie autoHSCT (autologiczne przeszczepienie krwiotwórczych komórek macierzystych), które sprawozdane było u 18 proc. nowo rozpoznanych pacjentów, wykonywane było średnio po upływie 327 dni od rozpoczęcia leczenia. Prawie 400 rozpoznanych w 2016 r. osób (15 proc.) było w latach 2016-2018 uczestnikami programu lekowego.

Dane Krajowego Rejestru Nowotworów

Obecnie okrojone dane epidemiologiczne (więcej o gromadzeniu danych onkohematologicznych w rozdziale SYSTEM/Polski Rejestr Onko-hematologiczny (PROH)) dotyczące nowotworów układu chłonnego i krwiotwórczego są przetwarzane i gromadzone przez Krajowy Rejestr Nowotworów (KRN). Informacje statystyczne dotyczące szpiczaka znaleźć można w publikacji KRN z 2021 r. zawierającej dane dotyczące nowych zachorowań i zgonów z powodu nowotworów złośliwych zarejestrowanych w Polsce w 2019 r.

(Autorzy zastrzegają, że przedstawione w nim dane dotyczące liczby zachorowań obciążone są „niedorejestrowaniem”, czyli nie wszystkie osoby z omawianym rozpoznaniem medycznym zostały uwzględnione w rejestrze. Stąd termin „zachorowalność” należy rozumieć jako zarejestrowaną zachorowalność).

Zachorowania

W 2019 r. w KRN zgłoszono 85 559 pierwszorazowych nowotworów złośliwych u mężczyzn i 85 659 u kobiet (łącznie 171 218). Na szpiczaka zachorowało 808 mężczyzn i 905 kobiet (łącznie 1 713).

Jeżeli chodzi o zachorowania na najczęstsze nowotwory złośliwe u mężczyzn w Polsce w 2019 r. według częstości występowania, szpiczak znalazł się na 19 miejscu spośród 45.

	ICD-10	Umiejscowienie	Liczba bezwzględna	Odsetek
Najczęstsze zachorowania	C-61	Gruczoł krokowy	17638	20,6
	C-90	Szpiczak mnogi	808	0,9
Najrzadsze zachorowania	C-23	Pęcherzyk żółciowy	177	0,2

Źródło: KRN

Jeżeli chodzi o zachorowania na najczęstsze nowotwory złośliwe u kobiet w Polsce w 2019 r. według częstości występowania, szpiczak znalazł się na 18 miejscu spośród 43.

	ICD-10	Umiejscowienie	Liczba bezwzględna	Odsetek
Najczęstsze zachorowania	C-50	Pierś	19620	22,9
	C-90	Szpiczak mnogi	905	1,1
Najrzadsze zachorowania	C-07	Ślinianka przyuszna	164	0,2

Źródło: KRN

Publikacja pokazuje także liczby zachorowań na nowotwory złośliwe u kobiet i mężczyzn według umiejscowienia i w rozbiciu na 5-letnie grupy wiekowe w Polsce w 2019 r.

Mężczyźni											
ICD-10	Ogółem	0-4	5-9	10-14	15-19	20-24	25-29	30-34	35-39	40-44	45-49
C00-D09	85559	180	118	118	163	313	451	736	1075	1432	2128
C90	808	0	0	0	0	0	3	2	11	14	34
		50-54	55-59	60-64	65-69	70-74	75-79	80-84	85+		
		3419	6830	13586	17905	15863	9659	6966	4617		
		44	56	116	179	139	119	56	35		

Źródło: KRN

Kobiety											
ICD-10	Ogółem	0-4	5-9	10-14	15-19	20-24	25-29	30-34	35-39	40-44	45-49
C00-D09	85659	163	102	97	176	346	837	1483	2401	3411	4167
C90	905	0	1	0	0	0	1	0	7	15	23
		50-54	55-59	60-64	65-69	70-74	75-79	80-84	85+		
		5264	7639	12149	14475	11985	8137	6965	5862		
		42	71	120	160	156	143	102	64		

Źródło: KRN

Według danych z publikacji, w 2019 r. najwięcej zachorowań na szpiczaka odnotowano w woj. śląskim (mężczyźni – 131, kobiety – 150). Najmniej mężczyzn zachorowało w woj. lubuskim (9), a najmniej kobiet w woj. zachodnio-pomorskim (17).

	Mężczyźni		Kobiety	
	C00-D09 (ogółem)	C90 (szpiczak)	C00-D09 (ogółem)	C90 (szpiczak)
	85559	808	85659	905
Województwo				
Dolnośląskie	7253	96	7232	98
Kujawsko-Pomorskie	5358	29	5649	24
Lubelskie	4773	51	4129	48
Lubuskie	1990	9	1881	19
Łódzkie	5439	74	6258	88
Małopolskie	6579	57	6369	51
Mazowieckie	9730	94	10477	100
Opolskie	2455	25	2245	28
Podkarpackie	4641	38	4530	60
Podlaskie	2180	17	2286	23
Pomorskie	6003	26	5586	34
Śląskie	10952	131	10849	150
Świętokrzyskie	3366	23	2883	32
Warmińsko-Mazurskie	2940	29	3145	25
Wielkopolskie	8601	93	8367	108
Zachodnio-Pomorskie	3299	16	3773	17

Źródło: KRN

Zgony

Według publikacji KRN w 2019 r. na szpiczaka zmarło 683 mężczyzn i 727 kobiet. Najwięcej mężczyzn zmarło w woj. śląskim (93), najmniej w woj. opolskim i lubuskim (po 11). Najwięcej kobiet zmarło w woj. mazowieckim (123), a najmniej w lubuskim (13).

	Mężczyźni	Kobiety
	C90 (szpiczak)	C90 (szpiczak)
Ogółem	683	727
Województwo		
Dolnośląskie	70	66
Kujawsko-Pomorskie	39	26

Lubelskie	35	41
Lubuskie	11	13
Łódzkie	42	44
Małopolskie	62	69
Mazowieckie	91	123
Opolskie	11	21
Podkarpackie	29	28
Podlaskie	19	31
Pomorskie	49	46
Śląskie	93	68
Świętokrzyskie	21	18
Warmińsko-Mazurskie	22	35
Wielkopolskie	63	68
Zachodnio-Pomorskie	26	30

Zródło: KRN

Dr hab. Dominik Dytfeld

Kiedy zaczynałem pracę 20 lat temu, pacjent ze szpiczakiem żył 3 lata, a teraz pacjenci z naszego ośrodka żyją nawet 10-12. Oczywiście w ośrodku, który nie ma dostępu do nowoczesnych terapii, do przeszczepów, pacjent żyje krócej niż te 12 lat, to jest około 7 lat.

Oczywiście czas życia pacjenta jest różny – on zależy i od dostępu do leków, i od biologii nowotworu.

Rozmawiałem właśnie z pacjentem – ma 44 lata, jest po trzech liniach leczenia i wrócił ze wznową choroby w centralnym układzie nerwowym, w jądrze. Zostało mu pół roku życia, młody człowiek... Ale to jest taki wyjątek, średnio pacjenci mogą cieszyć się życiem kilka, nawet kilkanaście lat.

Pacjenci, którzy nie mają możliwości efektywnego leczenia, umierają zwykle z powodu infekcji. Z jednej strony sama choroba upośledza układ odpornościowy, z drugiej strony leki, bo one z definicji wpływają na komórki układu odpornościowego, przecież plazmocyty jest komórką układu odpornościowego, więc najczęstszą przyczyną zgonu są infekcje.

Aczkolwiek jest też taka sytuacja, i to jest w hematologii rzecz powszechna, a w onkologii zupełnie nie, i szpiczaka też to dotyczy, że pacjent przechodzi czwartą, piątą linię leczenia

i nagle pojawia się lek, na przykład w badaniu klinicznym, i pacjent – ja używam tego określenia – „wstaje jak Łazarz z grobu”. **Mam takich chorych, że udało się, mimo zaawansowanej choroby, mimo złych prognoz, takim lekiem trafić, że choroba ustępuje.**

Prof. Artur Jurczyszyn

Jako Polska Grupa Szpiczakowa wykonaliśmy badanie na temat wczesnej śmiertelności u pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym. Okazało się, że pierwszą przyczyną są infekcje, drugą przyczyną jest progresja choroby nowotworowej, a trzecią są problemy różne kardiologiczne. I to jest taka wczesna śmiertelność, do roku od rozpoznania.

Inną kwestią jest, jak ci pacjenci umierają po około 8 -10 latach leczenia. Średnie przeżycie w Polsce jest niestety krótsze niż w innych krajach. Wynika to z polskich ograniczeń nałożonych na lekarza związanych z badaniami, z programem lekowym, gdzie jest to pewien „kaganiec”, gdzie lekarz ma precyzyjnie napisane w punktach, jak ma zastosować dany lek – nawet jeśli nie jest to zgodne z charakterystyką produktu leczniczego.

Wśród naszych pacjentów są 30- i 40-latkowie. Młodzi chorują coraz częściej. **Nie mamy precyzyjnych statystyk, ponieważ brak jest rejestru pacjentów chorych na szpiczaka plazmocytowego.** Skoro rocznie na szpiczaka plazmocytowego zapada ok. 3 tys. osób, to wśród nich na pewno jest kilkaset młodych osób.

Niestety wciąż zdarza się, że nie mam żadnych możliwości terapii, nie mam niestety możliwości zastosowania RDTL-u, czyli ratunkowej terapii, i po prostu wysyłam pacjentów pod opiekę hospicjum.

Minimalna (mierzalna) choroba resztkowa

Dzięki temu, że do terapii chorych na szpiczaka plazmocytowego wprowadza się nowe leki, poprawia się głębokość uzyskiwanych odpowiedzi i tym samym wzrasta szansa na wydłużenie okresu remisji i przeżycia chorych. Jednak mimo wyższego obecnie odsetka całkowitych remisji (CR) u większości pacjentów dochodzi do nawrotu choroby. Może to wynikać z pozostawienia po zakończeniu leczenia niewielkich populacji klonalnych plazmocytów w szpiku kostnym, określanych mianem minimalnej choroby resztkowej – MRD (ang. minimal residual disease).

Obecnie większość dużych ośrodków leczenia szpiczaka w Polsce wykonuje ocenę MRD, przy zastosowaniu różnych dostępnych metod. MRD ma znaczenie nie tylko przy określaniu rokowania, ale także coraz częściej wykorzystywane jest w celu monitorowania skuteczności terapii.

Prognostyczne znaczenie występowania MRD u chorych w CR potwierdzono w wielu badaniach klinicznych, a ocena MRD stała się w ostatnim czasie rutynowym narzędziem w ocenie skuteczności najnowszych leków i schematów terapii².

Mamy już nowoczesne leki, takie jak przeciwciało monoklonalne anti-CD38 daratumumab, które charakteryzują się wysoką skutecznością, także jeśli chodzi o negatywizację MRD, co udowodniono w wielu badaniach klinicznych i w różnych schematach terapeutycznych, w leczeniu pierwszej linii i w nawrocie choroby.

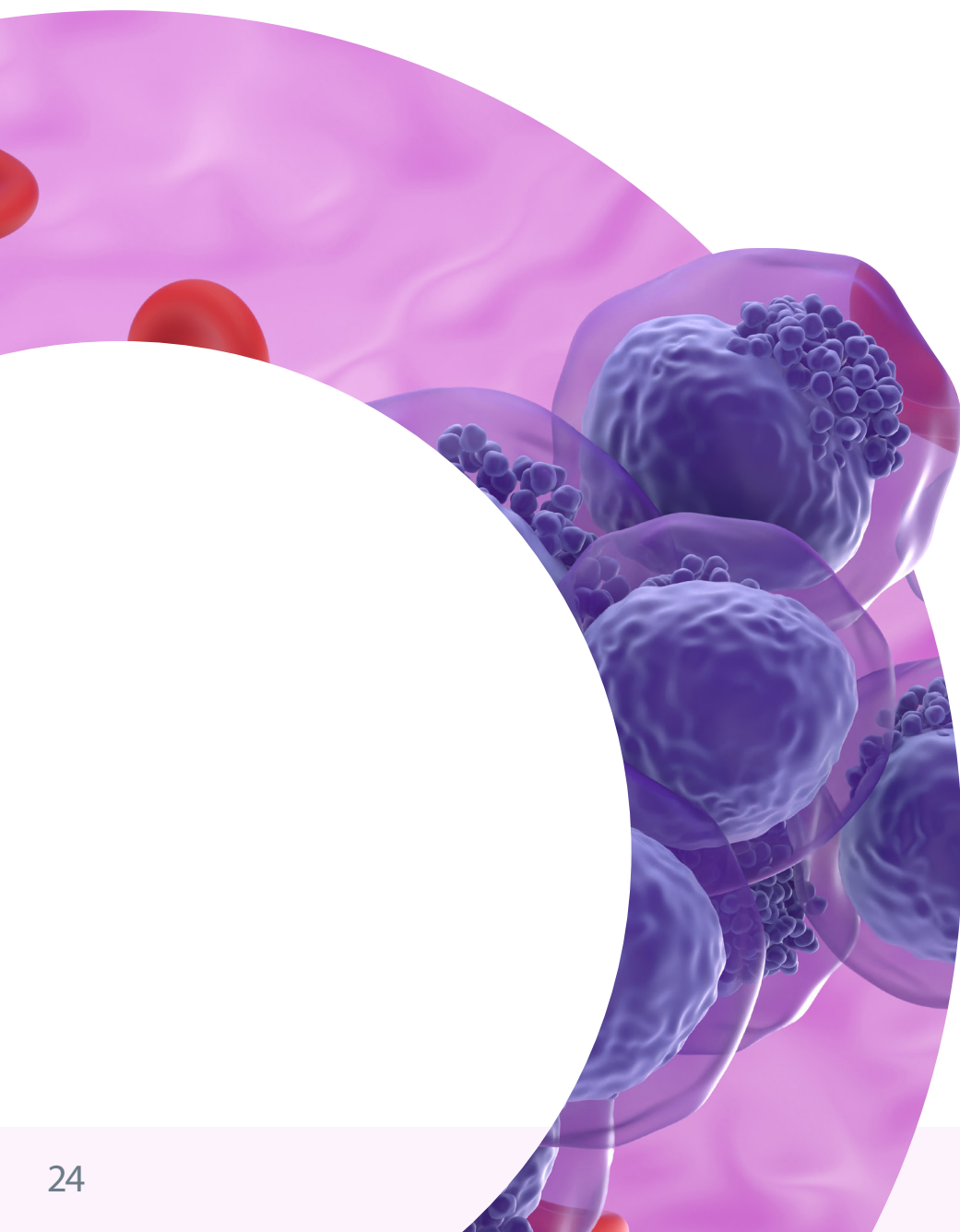
Prof. Ewa Lech-Marańda

Znaczenie mierzalnej choroby resztkowej (MRD) w monitorowaniu efektów leczenia dotyczy nie tylko chorych na szpiczaka plazmocytozy, ale też chorych na przewlekłą białaczkę szpikową, ostrą białaczkę limfoblastyczną, ostrą białaczkę szpikową czy przewlekłą białaczkę limfocytową. MRD można oceniać za pomocą badania immunofenotypowego z zastosowaniem odpowiednich przeciwciał monoklonalnych (np. w ostrych białaczkach czy szpiczaku plazmocytozy) lub za pomocą badań molekularnych (np. w przewlekłej białaczce szpikowej). Badania immunofenotypowe są również podstawowym narzędziem diagnostycznym służącym do rozpoznawania nowotworów krwi. Właściwie każda większa klinika hematologiczna ma w swojej strukturze, bądź w strukturze szpitala, pracownię immunofenotypową, dlatego że bez badań immunofenotypowych nie jest obecnie możliwe postawienie rozpoznania zgodnie z obowiązującymi klasyfikacjami nowotworów hematologicznych. Podobnie przedstawia się sytuacja z badaniami molekularnymi – to kolejne niezbędne badanie zarówno w diagnostyce, jak i w monitorowaniu odpowiedzi na leczenie (MRD) u chorych hematologicznych. **W tym miejscu chciałabym podkreślić, że badania immunofenotypowe to badania kosztochłonne, ale niestety nie są refundowane.** Mam nadzieję, że uda się to zmienić w niedalekiej przyszłości, bo obok biopsji szpiku, jest to drugie podstawowe narzędzie diagnostyczne stosowane w hematologii.

Obecnie skuteczność nowoczesnych terapii jest oceniana w oparciu o poziom MRD, co więcej, na podstawie MRD podejmowane są np. decyzje o kwalifikacji chorych na ostre białaczki

² Znaczenie minimalnej choroby resztkowej w szpiczaku plazmocytozy – Stanowisko Polskiego Konsorcjum Szpiczakowego, Hematologia 2017, tom 8, nr 4, 246–254.

limfoblastyczne do procedury przeszczepienia allogenicznych krwiotwórczych komórek macierzystych. Coraz więcej badań klinicznych, w tym badań prowadzonych przez polskie grupy badawcze takie jak PALG, PLRG, PGSz czy Polskie Konsorcjum Szpiczakowe, zakłada rozpoznawanie bądź odstawianie leczenia właśnie w oparciu o poziom MRD. Przeznaczamy bardzo duże pieniądze na nowoczesne leki, a więc rozsądnym kierunkiem wydaje się być równoległe inwestowanie w nowoczesne techniki diagnostyczne służące do monitorowania efektów leczenia.





Część druga: **PACJENT**

Co czuje chory?

Do głównych objawów szpiczaka plazmocytowego należą:

- Postępujące osłabienie. Aż 70 proc. chorych odczuwa osłabienie, brak siły, trudność w wykonywaniu podstawowych czynności życiowych. W kolejnych stadiach choroby narzekają na bóle głowy, bóle w klatce piersiowej, kołatanie serca oraz brak apetytu. Spadek aktywności fizycznej powoduje u chorych pogorszenie sprawności psychicznej – pojawia się apatia oraz wycofanie społeczne.
- Choroba kostna i hiperkalcemia. Aż 80 proc. pacjentów zgłasza bóle pochodzenia kostnego. U wielu chorych w początkowej fazie występuje nieokreślony ból pleców i/lub kości. Ogniska osteolityczne powodują ból, złamania patologiczne kości, najczęściej w odcinkach: lędźwiowo-krzyżowym kręgosłupa, miednicy, żebrach, kościach długich, czaszce. Z kolei choroba kostna jest przyczyną hiperkalcemii (zbyt duże stężenie wapnia we krwi), której głównymi objawami są anoreksja, nudności, bóle brzucha, zaparcia, senność, nadmierne pragnienie, zaburzenia rytmu serca oraz świadomości. Wśród objawów związanych z chorobami kości, ale nie wchodzących w skład CRAB (C – Calcium/wapń, R – Renal Insufficiency/niewydolność nerek, A – Anemia/niedokrwistość, B – Bones/kości) wymieniane są osłabienie i parestezje kończyn dolnych oraz zespół cieśni nadgarstka.
- Niedokrwistość. Występuje u $\frac{3}{4}$ pacjentów chorujących na szpiczaka z nieswoistymi objawami: zmęczeniem, osłabieniem, spadkiem tolerancji wysiłku fizycznego, tachykardią, niewydolnością serca, objawami wieńcowymi oraz problemami z koncentracją.
- Niewydolność nerek. U 20 proc. chorych występuje objaw niewydolności nerek w chwili rozpoznania, jest jednocześnie czynnikiem wskazującym na złe rokowania i zaawansowanie procesu nowotworowego. Do głównych objawów zaliczamy: białkomocz, obrzęki, podwyższone ciśnienie krwi.
- Pozostałe objawy nie-CRAB. Do najczęstszych objawów występujących jako izolowane (20 proc. przypadków) lub współwystępujących z objawami CRAB (6 proc. przypadków) należą: neuropatia, zespół nadmiernej lepkości krwi, amyloidoza, spadek masy ciała, krioglobulinemia, nawracające infekcje (zakażenia) górnych dróg oddechowych, zakażenia układu moczowego (dna moczanowa), krwawienia oraz objawy neurologiczne³.

³ Wyzwania wczesnej diagnostyki szpiczaka plazmocytowego: algorytm diagnostyczny, Acta Haematologica Polonica 2019, 50(3)

Prof. Krzysztof Jamroziak

Najczęściej są to złamania kompresyjne kręgow, gros pacjentów ma nawet takie nieme złamania, to znaczy, że mogą nie być klinicznie odczuwalne przez pacjenta, natomiast są wykrywane w badaniach tomograficznych czy rentgenowskich.

Ogólnie złamania patologiczne mogą dotyczyć wszystkich kości, bardzo często żeber, kości długich kończyn dolnych, czasami kończyn górnych. One potrafią być bardzo bolesne. Złamania kompresyjne kręgow mogą prowadzić do ucisku rdzenia kręgowego i porażenia kończyn. **Znam wiele takich przypadków, że 40-letni pacjenci żyli długo ze szpiczakiem, ale byli unieruchomieni – właśnie z powodu porażenia kończyn.** A z kolei unieruchomienie pacjenta oznacza np. większe ryzyko powikłań zakrzepowo-zatorowych.

Jeśli chodzi o niewydolność nerek, to jeśli pacjent jest dializowany, dramatycznie pogarsza to rokowanie. Chory żyje wtedy krócej i też rzadko ma szansę na przeszczep autologiczny. No i jest to życie o niskiej jakości, uciążliwe – jeżeli pacjent jest dializowany trzy razy w tygodniu i jeszcze w międzyczasie jest prowadzona terapia szpiczaka. Często opiera się ona na lekach podskórnych czy dożylnych, które muszą być podawane w warunkach szpitalnych i dodatkowo w dni bez dializ. Więc taki pacjent właściwie bez przerwy musi pojawiać się w szpitalu.

Anna Kupiecka

Nowotwory o podłożu hematologicznym różnią się znacznie od nowotworów pozostałych narządów czy tkanek, a tym samym wymagają też innych rozwiązań: i tych terapeutycznych, i tych systemowych. Dlatego też zdecydowaliśmy się na połączenie sił czterech organizacji, by tematyka hematoonkologii w Polsce została uporządkowana, a pacjenci poczuli się bezpieczniej.

Jeśli chodzi o nowotwory hematoonkologiczne, to także wewnątrz tej grupy pacjenci bardzo się od siebie różnią. Np. w przypadku guzów litych wiemy, gdzie one są zlokalizowane, możemy je zoperować, możemy naświetlać, możemy zastosować chemioterapię. **Tymczasem pacjenci ze szpiczakiem mają poczucie, że choroba zajmuje całe ich ciało,** to powoduje u nich także uciążliwe problemy emocjonalne. Do tego boją się nawrotów choroby, boją się, czy dostępne na świecie terapie będą dla nich dostępne w Polsce.

Nie da się ukryć, że w obszarze hematologii wydarzyło się wiele dobrego w ostatnich miesiącach, ale nie mogę nie wspomnieć o pacjentach ze szpiczakiem, którzy czekają na przeniesienie icksazomibu do drugiej linii leczenia oraz zapewnienie możliwości stosowania schematu czterolekowego z wykorzystaniem daratumumabu. Dostęp tych pacjentów do nowoczesnych terapii determinuje to, jak długo będą żyli.

Coraz częściej spotykamy młodszych pacjentów chorujących na nowotwory. A warto zaznaczyć, że pacjenci ze szpiczakiem to często osoby nadal aktywne zawodowo oraz społecznie.

Każdy miesiąc, każdy rok życia jest ważny. Czy mając chorego ojca, matkę, nie chcielibyśmy ich mieć jeszcze za rok na kolejnej wigilii, wiedząc, że na świecie są już terapie, które mogłoby to zapewnić? Każdy pacjent bez względu na wiek ma prawo być leczony zgodnie z najnowszą wiedzą medyczną. Stąd też zasadne jest rozszerzenie screeningu raka piersi, aby z bezpłatnej mammografii mogły skorzystać także kobiety powyżej 70. roku życia i tym bardziej powinniśmy zapewniać też takim grupom wiekowym kompleksowe nowoczesne terapie.

Dr hab. Dominik Dytfeld

Terapie szpiczakowe zwykle wymagają częstych wizyt w szpitalach, w poradniach, to jest bardzo uciążliwe, bo często te wizyty są dwa razy w tygodniu, przez wiele miesięcy, nawet wiele lat. Ta uciążliwość dotyczy też przecież członków rodzin. Jest to też problem z logistyką.

Nie można też zapominać o dolegliwościach związanych z samą chorobą i powikłaniami leczenia, i to jest przede wszystkim ból. Pamiętam pacjentkę, która miała złamane dwie kości przedramienia... jak tu pójść do toalety, ubrać się? **Inna pacjentka złamała sobie obojczyk czytając książkę.**

Ból dotyczy kości, to jest kręgosłup, obojczyk, kości ramienne. Ten ból jest dominujący i dotyczy większości pacjentów. Natomiast im większa kontrola choroby, tym ten ból się nasila, a może się nawet cofnąć. Na przykład kyfoplastyka polega na tym, że do kręgosłupa podaje się igłą cement, który stabilizuje uszkodzoną kość i zapobiega złamaniom, to działa również przeciwbólowo. Od jakiegoś czasu ośrodki hematologiczne – na przykład nasz –

współpracują z coraz bardziej doświadczonymi ortopedami, którzy zabezpieczają te złamania, ale również prowadzą terapię zapobiegającą złamaniom i przeciwbólową.

W szpiczaku jest tak, że jak na daną terapię jest odpowiedź, remisja całkowita, MRD ujemna to właśnie trzeba to leczenie kontynuować. Właściwie o zaprzestaniu terapii, przynajmniej według wiedzy, którą mamy teraz, decyduje tylko toksyczność terapii, czyli kiedy pacjent źle toleruje leczenie, źle się czuje, wymaga toczeń krwi, ma ciężkie infekcje albo brak efektu.

Prof. Lidia Usnarskia-Zubkiewicz

Szpiczak jest chorobą o wielu twarzach. Najczęstszy objaw, który prowadzi, czy wręcz wymusza na chorym wizytę u lekarza, to bóle kostne. Są one różnie zlokalizowane, ale najczęściej dotyczą kręgosłupa. Tutaj warto wspomnieć o tzw. „korzonkach”, na które tak często przecież starsze osoby narzekają – „ja już z tymi korzonkami to z rok chodzę”. Z reguły taki pacjent w pierwszej kolejności jest kierowany na rehabilitację, która oczywiście w tym przypadku nie pomoże. W wyniku zmian osteolitycznych, które występują nawet u 80 proc. chorych przy rozpoznaniu, może dochodzić także do samoistnych złamań.

Bardzo często pojawia się niedokrwistość, a wraz z nią osłabienie, zmęczenie, utrata witalności. Występują stany podgorączkowe czy potliwość. U około 20-25 proc., choroba ujawnia się w postaci niewydolności nerek, od 3 proc. do 5 proc. chorych ma rozpoznanie postawione w momencie, w którym wymagają już leczenia nerkozastępczego. Ci pacjenci z powodu swoich dolegliwości trafiają w pierwszej kolejności do specjalistów nefrologów.

Charakterystyczna dla chorych na szpiczaka jest nie tylko utrata masy ciała, ale i utrata wzrostu. Trafiają do nas pacjenci, którzy mówią, że są 5 cm niżsi, niż rok wcześniej.

Warto pamiętać, że szpiczak, który wyłącza produkcję prawidłowych immunoglobulin, sprzyja nawracającym infekcjom. To oznacza, że banalna infekcja np. katar u osoby bez obciążenia nowotworowego, u chorego na szpiczaka może rozwinąć się w poważne zapalenie płuc.

Niestety wciąż zdarza się tak, że pacjent długo zwleka z wizytą u lekarza, a potem zaczyna się wyścig z czasem.

Historie pacjentów

Piotr Nikiel

Piotr Nikiel ma 70 lat. Diagnozę usłyszał 14 lat temu. Choroba nie przerwała jego pasji – od 40 lat zajmuje się pszczołami. Co miesiąc jeździ na kilka godzin do szpitala, by przyjąć daratumumab, jak mówi: „taki duży zastrzyk, co przez pięć minut jest wstrzykiwany”.

- To był kwiecień 2008 roku, dostałem wysokiej gorączki. Miałem ogromnie szczęście, że mój doktor rodzinny nie próbował mnie leczyć na własną rękę. Po czterech dniach powiedział po prostu: chłopie, tylko szpital – wspomina.

Trafił do szpitala pulmonologicznego, w którym spędził miesiąc, nim lekarzom udało się ustalić, co się dzieje. – Miałem pobierany szpik z mostku. Potem, już na Rydygiera w Krakowie, z biodra. Ale teraz to już są lepsze metody! – zaznacza.

Miał do wyboru, szpital w Katowicach albo w Krakowie – wybrał Kraków, bo tam miał rodzinę. Nie żałuje. – Tacy profesorowie, tacy lekarze w tym Krakowie! Naprawdę, czapki z głów – zachwala.

Pan Piotr przyjął 24 cykle chemii i zaproponowano mu przeszczep, do którego się zakwalifikował.

Pacjent po przeszczepie trafia do izolacji, bez kontaktu z bliskimi – jego jedynymi „gośćmi” w specjalnej sali przez kilkanaście dni jest personel medyczny w maskach, rękawiczkach i fartuchach ochronnych. – Nikt nie mógł się do mnie zbliżyć. Ile to szczoteczek do zębów zużyłem, wszystko musiało być sterylnie, nigdy tego nie wiedziałem! Zresztą... nie wiedziałem nawet, że jest taka choroba, jak szpiczak, kto to o tym wiedział... – mówi.

Przyznaje, że **czternaście lat temu „wszystko mu przeleciało przed oczami”**. – Zmieniło mi to życie, ale nie tak, żebym się załamał na amen. W tym roku zdiagnozowano u mnie guz jelita grubego, jestem już po zabiegu. Oprócz tego mam endoprotezę kolan. Miałem też operowaną zaćmę. Ale teraz już dobrze widzę i dobrze chodzę – relacjonuje z uśmiechem. – Powiem pani ciekawostkę. Okazało się, że jad pszczeli w moim przypadku podwyższa mi hemoglobinę. Dlatego na przykład w zimie mam hemoglobinę trochę niższą. Wybudowałem taki domek, w tym domku są cztery pszczele rodziny, które są zabezpieczone i może pani siedzieć w tym domku i oddychać tym jadem pszczelim. Ponoć to dobre na astmę i na płuca – mówi. Podkreśla, że gdyby nie właściwe decyzje lekarza rodzinnego i ordynatora ze szpitala pulmonologicznego sprzed lat, to „nic by nie było”⁴.

⁴ Materiał na podstawie rozmowy z Piotrem Nikiem w dn. 26.10.2022 r.

Grzegorz Rakowiecki

„Rajd po zdrowie” to wydarzenie o charakterze edukacyjnym skierowane do pacjentów ze szpiczakiem, ich bliskich oraz wszystkich, którzy chcą wesprzeć realizację celów **Fundacji Carita**. Rajd w 2022 r. odbył się pod hasłem **#JedziemyPoZdrowie** i można w nim było uczestniczyć stacjonarnie oraz online. Uczestnicy stacjonarni podczas zapisów mieli do wyboru dwie trasy rowerowe. 70 uczestników zadeklarowało do pokonania trasę krótszą (5 km), zaś aż 109 osób wybrało dłuższą (20 km). W rajdzie wystartowało 45 pacjentów, a jednym z nich był Grzegorz Rakowiecki.

- Pogodzić to się można z kolegą albo z żoną, a z chorobą trzeba walczyć – mówił w wywiadzie dla portalu Radioklinika w 2020 r.

W 2016 r., jeszcze przed diagnozą, „coś strzeliło mu w dolnej części kręgosłupa”. Był przekonany, że naderwał ścięgna i z tą świadomością żył ok. pół roku. Następnie zimą przewrócił się na lodzie, połamał sobie cztery kręgi, złamał nogę, złapał przeziębienie. – **Wyglądałem jak nieboszczyk. Wtedy** żona wygoniła mnie do lekarza rodzinnego. Ja chciałem tylko L4, ale pani doktor mnie przekonała, że trzeba iść do szpitala – mówił.

Do szpitala trafił z podejrzeniem raka płuc i raka jelit. Ósmego dnia pobytu w szpitalu, w swoje urodziny, usłyszał diagnozę – szpiczak. Dziś jest niezwykle wdzięczny lekarz rodzinnej, która przekonała go do głębszej diagnozy, pulmonologowi, który ją odkrył i hematologowi w Toruniu, który rozpoczął leczenie. – Zawsze widzę szklankę do połowy pełną. Córnka bała się, że nie dożyję jej ślubu. To było w marcu, a w sierpniu był zaplanowany ślub. Ja jej obiecałem, że jeszcze swoje wnuki będę uczył jeździć na rowerze – mówił⁵.

Rower towarzyszy mu do dziś. W 2018 r. *w dwa dni przejechał 235 km rowerem na chemioterapię*, w 2019 *w jeden dzień – 120 km*. W 2020 r., w 1010 dni po autoprzeszczepie, w cztery doby pokonał dystans 410 km – kolejny raz dotarł do szpitala na podanie chemii⁶.

Jakub Bartkowiak

- Wydaje mi się, że nowotwór w każdej rodzinie, czy też małżeństwie, to jest taki sprawdzian z miłości – mówił Jakub Bartkowiak w reportażu portalu Medexpress w 2019 r.

Nie ma dobrego dnia na zachorowanie. Ale szczególnie złym dniem jest ślub, a to właśnie wtedy

⁵ <https://radioklinika.pl/szpiczak-plazmocytowy-nowe-formy-leczenia/>

⁶ <http://www.fundacjacarita.pl/news/82>

Jakub trafił do szpitala. – Panna młoda na SOR-ze to nie jest codzienny widok. **Następnego dnia po weselu wróciliśmy do domu i cały czas sądziliśmy, że to jest atak korzonków** – wspomina.

Jednak podczas odbierania wyników badań diagnoza była już jasna. Lekarz wytłumaczył młodym małżonkom, co to tak naprawdę oznacza: że jest to choroba nowotworowa, że Jakuba czeka długie leczenie onkologiczne i że nie będzie to łatwa droga.

Jednak Jakub w kwietniu 2016 r. urodził się na nowo. – Obchodzę drugie urodziny, z tego względu, że miałem przeszczep komórek macierzystych. Samo słowo przeszczep brzmi strasznie. Natomiast to była zwykła kroplówka. I śmieszną rzeczą podczas przeszczepu jest to, że w sali zaczyna pachnieć pomidorami – wspomina.

W trakcie rekonwalescencji po zabiegu nagrał filmik, jak mógł na łóżku podnieść nogi. Odzyskiwał siły.

Był pierwszym polskim pacjentem, który podpisał zgodę na badanie kliniczne według schematu KRD (karfilzomib, lenalidomid, deksametazon) prowadzone przez Polskie Konsorcjum Szpiczkowe. Na początku stycznia 2017 r. przyjął pierwszą dawkę. Po ośmiu cyklach okazało się, że wyniki leczenia są naprawdę fantastyczne. Choroba okazała się niewykrywalna nawet na poziomie choroby resztkowej (więcej o chorobie resztkowej w rozdziale CHOROBA/Minimalna (mierzalna) choroba resztkowa).

W reportażu Jakub podkreśla, że chciałby, że jego historia trafiła do pacjentów, którzy zostali świeżo zdiagnozowani. – Żeby dało im nadzieję – mówi. Obecnie jeździ na comiesięczne wizyty kontrolne, podczas których pobierana jest krew i wydawane są leki⁷.

Jakub Bartkowiak to pacjent doktora Dominika Dytfelda. – Jak on świetnie wygląda! Przystojny, młody mężczyzna, który wrócił do pracy, nie ma żadnych objawów choroby dzięki nowoczesnym terapiom. Ja go widuję raz na trzy miesiące. Dostaje tabletki, żyje w świetnej formie – mówi.

Melissa Smith

Melissa Smith dopiero po trwającym rok cierpieniu z powodu rozdzierającego bólu w żebrach usłyszała diagnozę. Lekarze początkowo mylnie uznali, że jej dolegliwości bólowe były wynikiem złamania żebra po tym, jak spadła z dachu podwórkowej szopy podczas prac w ogródku.

⁷ <https://www.youtube.com/watch?v=cjFjJe0wOA>

- W końcu osiągnęłam punkt krytyczny. Siedziałam na izbie przyjęć w moim lokalnym szpitalu i powiedziałam, że nie wyjdę, dopóki lekarz nie zrobi mi tomografii komputerowej. Badanie wykazało nieprawidłowe zmiany w całym kręgosłupie – mówiła w marcu tego roku 47-latka w rozmowie z Global News Canada.

Według Myeloma Canada, organizacji założonej w 2005 roku, szpiczaka diagnozuje się u 11 Kanaadyjczyków dziennie, a 50 proc. Kanadyjczyków żyjących z tą chorobą, którzy mieszkają na obszarach wiejskich, ma trudności z dostępem do wymaganych terapii, badań klinicznych i specjalistów.

Melissa mieszka na farmie w Baltimore na północ od Cobourg, **aby dotrzeć na swoją 16-rundową chemioterapię, początkowo musiała pokonać ponad 60 km samochodem w jedną stronę** do Oshawy, jednak dzięki zaangażowaniu jej hematologa udało się przenieść terapię bliżej jej miejsca zamieszkania. Melissa ma nadzieję, że będzie kwalifikować się do przeszczepu komórek macierzystych, kiedy jej stan się ustabilizuje. Jednak, jeśli zakwalifikuje się do zabiegu, będzie musiała tymczasowo przenieść się do Toronto.

Eksperti z Myeloma Canada wskazują, że pacjenci i ich rodziny muszą radzić sobie zarówno z traumatycznymi skutkami życia ze szpiczakiem, jak i poważnym obciążeniem finansowym i emocjonalnym związanym z podróżą do oddalonego ośrodka leczenia.

Dlatego Melissa wraz z rodziną i przyjaciółmi bierze udział w czwartym dorocznym Marszu Szpiczaka Mnogiego w Cobourg. Zebrane podczas marszy fundusze przeznaczone są na badania nad szpiczakiem i ułatwianie pacjentom dostępu do terapii⁸.

Morion Povey

Brytyjka Marion Povey wspominała we wrześniu w The Sun, że niedługo po 52 urodzinach zaczęła odczuwać silne zmęczenie i uderzenia ciepła, które nie dawały jej zasnąć. Pomyślała, że to początek menopauzy. Jednak u lekarza okazało się, że poziom hormonów był w normie, za to bardzo niski był poziom hemoglobiny. Lekarze dopytywali na przykład, czy nie nadużywa alkoholu.

Konsultacje w klinice hematologicznej w Bristolu przyniosły diagnozę – szpiczak.

Historia miała miejsce w 1997 r., kiedy informacje dotyczące tego nowotworu były bardzo ograniczone, a lekarze prognozowali, że średnia długość życia pacjentów wynosi do dwóch lat.

⁸ Global News Canada, <https://globalnews.ca/news/9111230/cobourg-ont-woman-multiple-myeloma-march-2022/>

Od diagnozy minęło ćwierć wieku.

Marion, która teraz ma 77 lat, postanowiła podzielić się swoimi doświadczeniami z okazji jubileuszu organizacji charytatywnej Myeloma UK, która – również od ćwierćwiecza – wspiera wszystkich chorych, którzy zmagają się z nowotworami krwi.

Kobieta ma za sobą 88 cykli chemioterapii, przeszła też przeszczep komórek macierzystych, terapie nowatorskimi lekami. – Zawsze jest nadzieja – przekonuje. Przyznaje, że choroba nie daje o sobie zapomnieć, ale najważniejsze, że żyje. Wspomina, że kiedy wydawało się, że jest bardzo źle, okazywało się, że pojawiają się nowe opcje leczenia. Początkowo żyła w ciągłym strachu, teraz z nadzieją patrzy w przyszłość. – Jest łatwiej, na początku nie mogłam myśleć o rezerwowaniu wakacji, czy nawet umawianiu się na spotkanie z przyjaciółmi. W miarę upływu czasu zdawałam sobie sprawę, że muszę z niego korzystać. Zarezerwowałam więc wakacje i zaryzykowałam – opowiada⁹.

Łukasz Rokicki

Pacjenci na początku idą drogą wytyczoną przez system, czyli trafiają do lekarza pierwszego kontaktu, potem do hematologa czy onkologa i potem dzwonią do nas w sprawie jakby „drugiej porady” dotyczącej kierunku, który został im wytyczony. Bo czasami nie są zadowoleni z tego, co usłyszeli, czasem nie mają dostępu do swoich wyników badań albo jakieś badania nie zostały zrobione, pytają o badania kliniczne albo, w takich gorszych sytuacjach, o możliwość przeniesienia do innych placówek czy konsultacji z innymi lekarzami, ponieważ słyszeli, że ktoś gdzieś ma większe możliwości kliniczne czy większą wiedzę.

Najczęściej dzieje się tak, że do fundacji nie przychodzi sam pacjent. W 90 proc. przychodzi rodzina – która widzi, że pacjent jest sam ze sobą, walczy i stara się utrzymać jakąś równowagę, żeby przejść proces terapeutyczny, a rodzina szuka innych rozwiązań i możliwości. **Co ciekawe, o ile w przypadku pacjentów dzwoni rodzina, o tyle w przypadku mężczyzn dzwonią żony** i to tak naprawdę żony są koordynatorami tego leczenia. Kiedy czasem pytamy pacjenta-mężczyznę, czym się leczy, odpowiada, żeby pytać żonę.

⁹ The Sun, <https://www.thesun.co.uk/health/19680635/thought-night-sweats-down-menopause-truth-shocking/>

Barbara Leonardi

Pamiętajmy, że dla pacjentów aspekt medyczny to tylko wycinek nowej rzeczywistości. Po diagnozie muszą sobie poukładać życie na nowo. I to nie na czas leczenia, ale na zawsze. Osoby chorujące na szpiczaka od momentu diagnozy żyją ze świadomością obecności w ich ciele nowotworu. Nawet kiedy leczenie jest skuteczne i zakończone remisją, lekarz będzie ostrzegał, że trzeba przygotować się też na nawrót choroby. To poważne obciążenie psychologiczne.

W tym kontekście pacjenci i ich bliscy szukają odpowiedzi na wiele pytań związanych z codziennością. Jak pogodzić leczenie, często związane z długimi wizytami w szpitalu, z pracą zawodową? Z obowiązkami domowymi i opieką nad młodszymi lub starszymi członkami rodziny? Jak funkcjonować na co dzień z uciążliwymi objawami choroby i skutkami ubocznymi leczenia? Jak cieszyć się życiem, uprawiać hobby w cieniu ciągłego zagrożenia nawrotem? Czy uda się odzyskać sprawność i wrócić do ulubionych zajęć? Jak zabezpieczyć finansowo swoją przyszłość? Czy dam radę zarabiać na życie? Jak utrzymam się z renty? Jak udźwignę koszty leczenia (w tym dojazdu do szpitala) przy kolejnym nawrocie?

Natomiast z punktu widzenia organizacji reprezentującej pacjentów mierzymy się z jeszcze innymi pytaniami. **Czy pacjenci znają swoje prawa? Czy wiedzą, że mają prawo do drugiej opinii medycznej?** Że przysługuje im opieka psychologiczna? Czy taka opieka faktycznie jest dostępna w każdym ośrodku? Czy pacjent hematoonkologiczny powinien mieć kartę DiLO? Czy pacjenci otrzymują pełną informację o chorobie i możliwościach leczenia, włącznie z badaniami klinicznymi? Czy wiedzą, gdzie szukać pomocy – np. poprzez organizacje pacjenckie? Czy osoby niekorzystające z internetu mają możliwość dowiedzieć się więcej o szpiczaku, o swoich prawach, o przysługujących im świadczeniach (ZUS, MOPS, NFZ)? Z rozmów z pacjentami wiemy, że w Polsce na tym polu jest dużo do zrobienia. Brakuje zrozumienia, że osoby ze świeżą diagnozą nie wiedzą, jak poruszać się w tej nowej rzeczywistości i – przynajmniej na początku – potrzebują bardzo praktycznego wsparcia i zastrzyku informacji. To się dzieje w innych krajach, u nas nadal oczekuje się od pacjentów bardzo dużej samodzielności. Ten obszar to zdecydowanie pole do współpracy między placówkami leczniczymi a organizacjami pacjenckimi.

Leczenie

Prof. Lidia Usnarska-Zubkiewicz

Jak było kiedyś? Jednym słowem mogę powiedzieć – siermiężnie. Mieliśmy niewiele leków, a samo leczenie było wyjątkowo nieprzyjemne. To były wielogodzinne kroplówki. Był taki schemat, w którym przez cztery doby pacjenci otrzymywali we wlewach kroplówkowych, dożylnie, cytostatyki. Było to uciążliwe dla pacjentów, dla ich rodzin, dla personelu. Na dodatek było to leczenie mało skuteczne.

Dopiero w ostatnim ćwierćwieczu istotnie zmieniły się możliwości leczenia. Wprowadzono nowe leki o nowych mechanizmach działania, które nie są stricte lekami cytostatycznymi.

Zaczęło się to od wprowadzenia talidomidu, który wcześniej był już stosowany, ale w innym wskazaniu i w złej sławie został w tym wskazaniu wycofany. W leczeniu chorych na szpiczaka okazał się jednak bardzo skuteczny. Od leczenia talidomidem rozpoczęła się era leczenia lekami immunomodulacyjnymi. Lenalidomid jest takim lekiem drugiej generacji i nadal jest bardzo powszechnie stosowany. Ma znacznie silniejsze działanie przeciwnowotworowe i znacznie słabsze działania niepożądane, jeśli chodzi o układ nerwowy. Lekiem trzeciej generacji jest pomalidomid, który ma jeszcze lepsze parametry. W opracowaniach są kolejne leki z tej grupy, z jeszcze bardziej wyrafinowanymi mechanizmami działania.

Druga grupa leków to leki określane jako inhibitory proteasomów. Krokiem milowym jest bortezomib. Kolejnym lekiem w tej grupie jest karfilizomib. Oba te leki podaje się pozajelitowo.

Jest też iksazomib, który już jest w postaci doustnej.

Kolejna grupa, która zrewolucjonizowała leczenie szpiczaka, to przeciwciała monoklonalne. Do tej grupy leków zalicza się np. daratumumab, który już jest w postaci podskórnej i niezwykle ułatwia nam pracę, a pacjentom terapię – bardzo podoba im się to, że zamiast leżeć kilka godzin pod kroplówką, dostają podskórnie zastrzyk. Do tej grupy zaliczają się także elotuzumab czy izatuksymab.

Poprawę wyników leczenia i wydłużenie czasu przeżycia osiągnięto dzięki wprowadzeniu mega chemioterapii wspomaganej przeszczepieniem autologicznych komórek macierzystych. Autoprzeszczepienia nie prowadzą do wyleczenia, ale powodują wydłużenie okresu wolnego od progresji.

Zupełnie nowa technologia, czyli stosowanie tzw. limfocytów CAR-T – to jest technologia przyszłości, z której już możemy korzystać.

Dr hab. Dominik Dytfeld

Zajmuję się szpiczakiem od 20 lat i bardzo cieszę się, że są nowe leki. Jakość życia pacjenta ze szpiczakiem bardzo się zmieniła i chciałbym, żeby percepcja chorego ze szpiczakiem też się zmieniła. Chciałbym, żeby nie było takiego wyobrażenia, że chory ze szpiczakiem to jest starszy człowiek, który jest przykuty do łóżka albo do wózka inwalidzkiego, tylko który może normalnie funkcjonować i pełnić swoje dotychczasowe role i zawodowe i społeczne.

Daratumumab powinien być według mnie dostępny w każdej linii. Jest bezpieczny i naprawdę poprawia wyniki i nie pogarsza toksyczności.

Jest refundowana terapia DARA-VD z medianą czasu wolnego w progresji kilkanaście miesięcy. Z kolei najlepsza chemioterapia, która jest w szpiczaku, to jest według mnie DARA-RD, ale jest niestety nierefundowana w Polsce. Oczywiście są też inne leki, nie mówiąc już o terapiach komórkowych.

Co do formy podawania leku, to chciałbym, żeby ta dożylna odeszła już w przeszłość. To tak jak silnik na gaźnik – po co silnik na gaźnik, skoro możemy go komputerem sterować?

Prof. Iwona Hus

Daratumumab jest bez wątpienia lekiem przełomowym, lekarze hematolodzy o tym wiedzą. Natomiast żebyśmy mogli wykorzystać tę „przełomowość”, czyli to, że ten lek rzeczywiście przynosi tak dobre efekty, powinniśmy mieć do niego większy dostęp. Jest on wprawdzie dostępny w ramach programu lekowego, ale jego złożoność i w wielu przy-

padkach brak możliwości zastosowania leków zgodnie ze wskazaniem rejestracyjnym są niezwykle frustrujące. Czekamy na możliwość szerszego stosowania daratumumabu, np. w połączeniu z lenalidomidem i deksametazonem u chorych na oporną/nawrotową postać szpiczaka oraz w połączeniu ze schematem VTD (bortezomib, talidomid, deksametazon) w leczeniu pierwszej linii u chorych kwalifikujących się do wysokodawkowanej chemioterapii i autologicznej transplantacji komórek krwiotwórczych.

Szpiczak jest rzadką chorobą, jeśli mówimy o nowotworach ogólnie, ale dla nas to jest jeden z najczęstszych nowotworów hematologicznych. Wiadomo, że każda nowa terapia jest droga, każdy nowy lek jest drogi i nie uciekniemy od tego. Natomiast jeżeli popatrzy się na to, jak nowa technologia może pomóc, i to w pierwszej linii, tym pacjentom, którzy się kwalifikują do transplantacji komórek krwiotwórczych i biorąc pod uwagę, że mówimy o chorobie nieuleczalnej, a moglibyśmy zapewnić dłuższy czas do progresji choroby, to sądzę, że to jest z punktu widzenia pacjentów kluczowe. My możemy mówić o cyfrach, wykresach, o leku przełomowym, ale pacjent chce przede wszystkim żyć.

Postępy refundacyjne w hematoonkologii

W roku 2022 (stan na wrzesień) zrefundowano już 84 nowe terapie, a wśród nich 29 leków stosowanych we wskazaniach onkologicznych oraz 32 w chorobach rzadkich. Aż 31 nowych cząsteczko-wskazań – czyli najwięcej w tym roku, znalazło się na listopadowej liście leków refundowanych.

Od początku istnienia ustawy refundacyjnej to właśnie w bieżącym roku zaoferowano polskim pacjentom najwięcej dostępu do innowacyjnych terapii.

Co ciekawe, najwięcej nowych wskazań onkologicznych w 2022 r. obserwujemy właśnie w hematoonkologii – 14 (następnie w nowotworach ginekologicznych – 7, w nowotworach nerki – 5, układu urologicznego – 4, w nowotworach układu pokarmowego – 3, w nowotworach układu pokarmowego – 3, w nowotworach głowy i szyi – 1 oraz nowe wskazanie dla oksaliplatyny w ramach katalogu chemioterapii obejmujące zarówno wskazanie hematologiczne, jak i dotyczące układu pokarmowego.

Od początku istnienia ustawy o refundacji leków umożliwiono refundację leków stosowanych w 59 wskazaniach hematologicznych, co czyni tę dziedzinę szczególnie dostrzeganą przez Ministerstwo Zdrowia¹⁰.

Obecnie w leczeniu chorych na choroby hematologiczne refundowane są terapie w ramach 18 programów lekowych.

Czym są programy lekowe?

Programy lekowe dotyczą wskazań rzadkich lub ultra rzadkich (więcej o chorobach rzadkich w rozdziale SYSTEM/Choroby rzadkie i leki sieroce) oraz kosztownych leków, których stosowanie powinno być ściśle monitorowane. Leczenie w ramach programów odbywa się z zastosowaniem innowacyjnych, kosztownych substancji czynnych, które nie są finansowane w ramach innych świadczeń gwarantowanych. Leczenie jest prowadzone w wybranych jednostkach chorobowych i obejmuje ściśle zdefiniowaną grupę pacjentów.

Treść każdego programu lekowego jest publikowana jako załącznik do obwieszczenia Ministra Zdrowia w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. Opis programu obejmuje:

- kryteria kwalifikacji pacjenta do leczenia;
- kryteria wyłączenia z programu;
- schemat dawkowania leków;
- sposób podawania leków;
- wykaz badań diagnostycznych wykonywanych przy kwalifikacji pacjenta do programu oraz koniecznych do monitorowania leczenia.

Pacjenci zakwalifikowani do programów lekowych są leczeni bezpłatnie. Decyzję o kwalifikacji podejmuje lekarz placówki posiadającej kontrakt w tym zakresie – w oparciu o szczegółowe kryteria włączenia do programu¹¹.

Programy lekowe są podstawową ścieżką dostępu polskich pacjentów do nowych leków w terapiach przeciwnowotworowych. Na koniec grudnia 2021 r. w Polsce funkcjonowało 105 programów lekowych, w tym 37 onkologicznych.

¹⁰ Informacja Ministra Zdrowia na temat postępów w diagnostyce i leczeniu schorzeń hematologicznych – materiał na posiedzenie 15 września 2022 r. Podkomisji stałej do spraw onkologii Komisji Zdrowia Sejmu RP.

¹¹ <https://www.gov.pl/web/zdrowie/programy-lekowe>

Refundowane leczenie szpiczaka

Szpiczaka plazmocytoowego leczy się chemioterapią, w tym chemioterapią wysokodawkowaną wraz z przeszczepem szpiku, a ostatnio coraz częściej również immunoterapią, w której wykorzystuje się m.in. przeciwciała monoklonalne.

Program lekowy dla chorych na szpiczaka mnogiego wszedł w życie 1 listopada 2013 r. Chorzy zyskali wtedy szansę na leczenie lekiem immunomodulującym lenalidomidem. Obecnie (stan na wrzesień 2022 r.) obejmuje on następujące produkty:

Nazwa i numer programu lekowego	Nazwa produktu	Nazwa substancji czynnej
B.54. „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytoowego (ICD10 C90.0)”	Revlimid, Lenalidomide Accord, Lenalidomide Glenmark, Lenalidomide Krka, Lenalidomide Mylan, Lenalidomide Sandoz, Lenalidomide Teva, Lenalidomide Zentiva, Linorion	lenalidomid
	Kleder, Lenalidomide Aurovitas, Lenalidomide Grindeks, Lenalidomide Medical Valley, Lenalidomide Pharmascience, Polalid*	
	Imnovid	pomalidomid
	Darzalex	daratumumab
	Kyprolis	karfilzomib
	Ninlaro	iksazomib

Źródło: Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 22 sierpnia 2022 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 września 2022 r.

*Od 1 listopada 2022 r.

Warto zaznaczyć, że w różnych schematach terapii szpiczaka mnogiego stosowany jest talidomid. Od wielu lat jest sprowadzany do Polski oraz refundowany przez NFZ w ramach importu docelowego.

Większość naszych ekspertów nie pamięta, by kiedykolwiek pojawiły się jakiekolwiek trudności w dostępie do tego leku. Dwóch specjalistów przypomina sobie jeden kilkutygodniowy epizod, kiedy realizacja wniosków na import docelowy talidomidu była utrudniona, a dostawy opóźniły

się. Było to związane z „wypadnięciem” z rynku jednego z producentów. Jednak produkcja została szybko zwiększona przez inne firmy farmaceutyczne.

Obecnie lek jest produkowany przez kilkanaście firm farmaceutycznych z Azji i Europy. Na rynkach światowych obecnych jest kilkanaście preparatów talidomidu z różnymi nazwami handlowymi. Można ocenić, że nie ma ryzyka braku talidomidu w Polsce.

Ostatnie dwa lata przyniosły istotne zmiany w programie leczenia szpiczaka mnogiego:

B.54. „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytowego (ICD10 C90.0)”	
Zmiany od 1 maja 2021 r.:	Zmiany od 1 marca 2022 r.:
Nowe objęcie – leczenie ikksazomibem w skojarzeniu z lenalidomidem i deksametazonem w III i kolejnych liniach leczenia dorosłych chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytowego.	Rozszerzenie wskazań – leczenie lenalidomidem w skojarzeniu z deksametazonem w I linii leczenia dorosłych pacjentów z nieleczonym uprzednio szpiczakiem plazmocytowym.
Nowa terapia skojarzona – leczenie karfilzomibem w skojarzeniu z deksametazonem w liniach II-IV leczenia dorosłych chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytowego.	Rozszerzenie wskazań – leczenie lenalidomidem w skojarzeniu z bortezomibem i deksametazonem w I linii leczenia dorosłych pacjentów z nieleczonym uprzednio szpiczakiem plazmocytowym.
	Rozszerzenie wskazań – leczenie pomalidomidem w skojarzeniu z bortezomibem i deksametazonem w II-IV linii leczenia dorosłych pacjentów z opornym lub nawrotowym szpiczakiem plazmocytowym.
	Nowe objęcie – leczenie <u>daratumumabem (w formie podskórnej)</u> w skojarzeniu z bortezomibem i deksametazonem w II-IV linii leczenia dorosłych pacjentów z opornym lub nawrotowym szpiczakiem plazmocytowym.

Źródło: Informacja Ministra Zdrowia na temat postępów w diagnostyce i leczeniu schorzeń hematologicznych – materiał na posiedzenie 15 września 2022 r. Podkomisji stałej do spraw onkologii Komisji Zdrowia Sejmu RP

Prof. Iwona Hus

Dla wszystkich leków postaci podskórnej są zdecydowanie lepsze niż dożylnie i rozwój technologii idzie w kierunku podskórnego podawania. To nie dotyczy tylko przeciwciał monoklonalnych, ale też inhibitorów proteasomów. Mamy też w chwili obecnej bortezomib w postaci podskórnej, bardzo lubiliśmy stosować rytuksymab w postaci podskórnej. To rzeczywiście jest zupełnie nowa jakość, jeśli chodzi o podanie leku, to jest kilka minut. W przypadku rytuksymabu pierwszy wlew był dożylny, dopiero drugi robiliśmy podskórnie. Daratumumab ma tę dodatkową korzyść, że możemy

od pierwszego razu podać go w postaci podskórnej. Zatem i dla pacjenta jest to mniej uciążliwe i personel zyskuje czas dla pozostałych chorych – jeśli w oddziale w tym samym czasie jesteśmy w stanie przyjąć trzech chorych, a nie jednego przez niemal cały dzień, jest to korzystniejsze dla wszystkich. Kolejki się skracają, dostępność się zwiększa. Tam, gdzie jest to możliwe, zastosowanie leków podskórnych jest na pewno zdecydowanie korzystniejszą alternatywą do postaci dożylniej.

Postęp w leczeniu szpiczaka sprawia, że obecnie toczy się siedem postępowań refundacyjnych w tym zakresie (stan na wrzesień 2022 r.):

Darzalex (IV i S.C.)	daratumumab	Leczenie daratumumabem w skojarzeniu z lenalidomidem i deksametazonem lub w skojarzeniu z bortezomibem i deksametazonem: II-IV linia leczenia chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytowego.	W pracach KE
Darzalex (IV i S.C.)	daratumumab	Leczenie daratumumabem w skojarzeniu z bortezomibem, talidomidem i deksametazonem: I linia leczenia chorych na nowozdiagnozowanego szpiczaka plazmocytowego.	W oczekiwaniu na rozstrzygnięcie Ministra
Sarclisa	izatuksymab	Leczenie izatuksymabem w skojarzeniu z pomalidomidem i deksametazonem: IV linia leczenia chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytowego.	W pracach KE
Empliciti	elotuzumab	Leczenie elotuzumabem w skojarzeniu z pomalidomidem i deksametazonem: III i kolejne linie leczenia dorosłych chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytowego.	Po analizie weryfikacyjnej AOTMiT
Sarclisa	izatuksymab	Leczenie izatuksymabem w skojarzeniu z pomalidomidem i deksametazonem: III i kolejne linie leczenia chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytowego z niewydolnością nerek.	W akceptacji programu lekowego
Sarclisa	izatuksymab	Leczenie izatuksymabem w skojarzeniu z karfilzomibem i deksametazonem: II-IV linia leczenia chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytowego z niewydolnością nerek.	W akceptacji programu lekowego
Kyprolis	karfilzomib	Leczenie karfilzomibem w skojarzeniu z lenalidomidem i deksametazonem: II-IV linia leczenia chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytowego (rozszerzenie wskazań do kwalifikacji).	W ocenie formalno-prawnej

Źródło: Informacja Ministra Zdrowia na temat postępów w diagnostyce i leczeniu schorzeń hematologicznych – materiał na posiedzenie 15 września 2022 r. Podkomisji stałej do spraw onkologii Komisji Zdrowia Sejmu RP/opracowanie własne.

Ponadto 24 października 2022 r. podczas Posiedzenia Rady Przejrzystości w porządku obrad znalazł się punkt dotyczący przygotowania opinii w sprawie wprowadzenia kompleksowej zmiany w dotychczasowym opisie programu lekowego B.54. „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytowego (ICD-10: C90.0)”.

Prof. Ewa Lech-Marańda

Szpiczak plazmocytowy jest chorobą przewlekłą, dlatego też **duży nacisk powinien być położony na możliwość zastosowania jak najskuteczniejszego leczenia w pierwszej linii**, gdyż daje ono szansę na uzyskanie dłuższej pierwszej remisji choroby. Remisje uzyskiwane po kolejnych nawrotach choroby są już znacznie krótsze.

Konieczne jest więc uzupełnienie programu lekowego B.54. o przeciwciała monoklonalne, daratumumab, rekomendowane w pierwszej linii dla chorych kwalifikujących się do przeszczepienia autologicznych krwiotwórczych komórek macierzystych. Aktualnie w procesie refundacyjnym jest właśnie daratumumab w połączeniu ze schematem VTD (bortezomib, talidomid, deksametazon). Eksperci kliniczni i systemowi nie mają wątpliwości co do skuteczności klinicznej i efektywności kosztowej tego schematu terapii.

Trzeba przyznać, że pierwsza linia leczenia dla chorych na szpiczaka plazmocytowego niekwalifikujących się do przeszczepienia autologicznych krwiotwórczych komórek macierzystych jest już dobrze zabezpieczona w ramach obecnego programu B.54. Pacjenci mają możliwość terapii lenalidomidem w połączeniu z deksametazonem lub w połączeniu z bortezomibem i deksametazonem.

W programie B.54. uzupełnienia wymaga jeszcze druga i kolejne linie leczenia o takie schematy, jak daratumumab w połączeniu z lenalidomidem i deksametazonem, izatuksymab z pomalidomidem i deksametazonem czy elotuzumab w połączeniu z pomalidomidem i deksametazonem. Ważną potrzebą jest również rozszerzenie dotychczasowych wskazań dla lenalidomidu z deksametazonem, tak aby były one tożsame ze wskazaniami zawartymi w charakterystyce produktu leczniczego (ChPL). Podobna sytuacja dotyczy iksazaomibu – wniosek refundacyjny złożony przez podmiot odpowiedzialny dotyczył stosowania iksazomibu z lenalidomidem i deksametazonem od trzeciej linii leczenia. Niezwykle istotne jest, aby ten schemat, który jest skuteczny u chorych z grupy wysokiego ryzyka cytogenetycznego, mógł być stosowany już w drugiej linii leczenia.

Wprowadzenie w programie B.54. wyżej wymienionych zmian, w tym rozszerzenie o wymienione terapie, zabezpieczy leczenie chorych na szpiczaka plazmocytowego od pierwszej do co najmniej piątej linii leczenia. Jeśli uda się wdrożyć program B.54. w takim kształcie – to będzie naprawdę ogromne osiągnięcie i sukces! Mam nadzieję, że to się uda.

Prof. Lidia Usnarska-Zubkiewicz

Są już opracowania, gdzie krzywa przeżycia staje się prosta – co oznacza, że przeżywalność w długim okresie czasu jest blisko stuprocentowa, czyli zaczynamy mówić o szpiczaku, jak o chorobie przewlekłej. To byłby największy sukces terapeutyczny, gdyby można było zakwalifikować tę chorobę, podobnie jak cukrzycę, do chorób przewlekłych, czyli gdyby pacjent, niezależnie od tego, że ma ciężką chorobę – taką, jak szpiczak – mógł cieszyć się życiem w wysokiej jakości, dzięki połączeniu właściwego leczenia przyczynowego ze wspomagającym.

Przeszczep

Przeszczep szpiku kostnego to specyficzny rodzaj przeszczepu komórek macierzystych. W przypadku przeszczepu szpiku kostnego komórki macierzyste są pobierane ze szpiku kostnego. W przypadku przeszczepu komórek macierzystych, komórki te są pobierane ze szpiku kostnego dawcy lub z krwiobiegu.

Obecnie, przy dostępie do wszystkich terapii, średni czas życia chorego ze szpiczakiem wynosi ok. 6 lat dla całej populacji pacjentów, ale w grupie poniżej 70 lat u chorych poddanych przeszczepieniu – często dłużej niż 10 lat.

Pacjenci, aby zakwalifikować się do przeszczepu, muszą najpierw uzyskać zmniejszenie liczby komórek szpiczakowych za pomocą innych metod, które oczywiście nie u wszystkich są skuteczne i nie dla wszystkich są dostępne. Ponadto osoby starsze i z chorobami towarzyszącymi nie zawsze są w stanie przeżyć ryzyka związane z przeszczepieniem szpiku. Jest to jednak nadal jedna z najbardziej skutecznych metod zwalczania szpiczaka.

NADZIEJE

Technologie w procesie refundacji

Daratumumab – to przeciwciało monoklonalne (rodzaj białka), które zostało zaprojektowane w taki sposób, aby rozpoznawało białko CD38 występujące w dużych ilościach na komórkach szpiczaka plazmocytoowego i przyłączało się do niego. Przyłączając się do białka CD38 na komórkach szpiczaka, daratumumab aktywuje układ odpornościowy do niszczenia komórek nowotworowych. Lek daje dobre efekty zarówno w chorobie nowo zdiagnozowanej, jak i nawrotowej. Ze względu na wysoką skuteczność i profil bezpieczeństwa lek został zarejestrowany przez Europejską Agencję Leków (EMA) w trybie przyspieszonym, natomiast Amerykańska Agencja ds. Żywności i Leków (FDA) określiła go jako terapię przełomową.

Daratumumab znalazł się na liście refundacyjnej 1 lipca 2019 r., choć w bardzo ograniczonych wskazaniach w stosunku do wskazań z charakterystyki produktu leczniczego EMA (ChPL).

Elotuzumab – to przeciwciało pobudzające układ odpornościowy, skierowane przeciw sygnałowej cząsteczce aktywacji limfocytów w leczeniu szpiczaka plazmocytoowego w terapii łączonej u dorosłych pacjentów, którzy wcześniej otrzymali jedną lub więcej terapii. Elotuzumab w 2016 r. był pierwszą cząsteczką immunokompetentną zatwierdzoną na terenie Unii Europejskiej w terapii szpiczaka plazmocytoowego.

Izatuksymab – to przeciwciało monoklonalne antyCD38 o nieco innej budowie i aktywności biologicznej niż daratumumab. **Izatuksymab w skojarzeniu z pomalidomidem i małą dawką deksametazonu u pacjentów z nawracającym i opornym na leczenie szpiczakiem plazmocytoowym daje lepszą odpowiedź w porównaniu z terapią polegającą tylko na podaniu pomalidomidu z deksametazonem.**

Refundowany jest już w kilku krajach Europy.

Karfilzomib – to inhibitor proteasomu nowej generacji, który w sposób selektywny i nieodwracalny wiąże się ze swoim substratem powodując zahamowanie jego funkcji. Proteasomy odgrywają ważną rolę w funkcjonowaniu i wzroście komórek, dochodzi w nich do degradacji białek, które są uszkodzone lub zbędne. Karfilzomib jest w stanie blokować proteasomy: to prowadzi do nadmiernego odkładania się białka w komórkach i w efekcie może powodować ich śmierć – w tym także tych szpiczakowych.

Karfilzomib w skojarzeniu z lenalidomidem i deksametazonem jest refundowany w programie lekowym od 1 lipca 2019 r.

Prof. Krzysztof Jamrozik

Do daratumumabu mamy dostęp taki, że można, powiedzmy, „odhaczyć”, że go mamy. Jednak lek jest dostępny w najslabszym schemacie i właściwie powszechnie dopiero od trzeciej linii terapii, bo w drugiej linii możemy go zastosować tylko u chorych, którzy mieli przeszczep autologiczny szpiku, czyli najwyżej 1/3 chorych w Polsce. To jest dostęp niesatysfakcjonujący, szczególnie od kilku lat, kiedy badania schematów z daratumumabem w pierwszej linii terapii pokazały ich dużą przewagę. Daratumumab jest lekiem nie tylko bardzo skutecznym i wygodnym do stosowania, bo w postaci podskórnej, ale jest też mało toksyczny. Dzięki temu możemy go dodać właściwie do każdej terapii. **Dla mnie to już nie jest innowacja, to jest obecnie takie abecadło terapii szpiczaka** i właściwie każdy pacjent powinien rozpoczynać leczenie od jakiegoś schematu z daratumumabem w pierwszej linii. Mam nadzieję, że wkrótce w Polsce tak będzie. Należy zdecydowanie podkreślić, że w tym obszarze jest postęp. W ciągu ostatnich kilku lat uzyskaliśmy ograniczony, ale jednak dostęp do takich terapii jak karfilzomib, iksazomib i właśnie daratumumab. Być może, w porównaniu z niektórymi innymi nowotworami, w szpiczaku jest stosunkowo dużo leków refundowanych, ale też szpiczak to nowotwór, gdzie jest najwięcej leków zarejestrowanych, i to nie leków z jednej klasy, tylko wiele kompletnie nowych klas leków i każda z nich przynosi istotną poprawę w rokowaniu.

Metoda CAR-T

Metoda CAR-T polega na genetycznej modyfikacji komórek układu odpornościowego pacjenta w taki sposób, by stały się zdolne do rozpoznawania i eliminacji komórek nowotworowych.

24 marca 2022 r. Europejska Agencja Leków warunkowo zatwierdziła stosowanie terapii CAR-T Carvykti (ciltacabtagene autoleucel) w leczeniu nawrotowego, opornego szpiczaka mnogiego. Terapia może być zastosowana w przypadku niepowodzenia co najmniej trzech linii leczenia. **Została dopuszczona na podstawie pozytywnych wyników badania CARTITUDE-1, w którym 78 proc. pacjentów wykazało całkowitą odpowiedź na terapię CAR-T, co oznacza całkowite ustąpienie zmian nowotworowych.**

28 lutego Carvykti został zatwierdzony również przez amerykańską Agencję ds. Żywności i Leków (FDA), jednak dopiero po wykorzystaniu co najmniej 4 opcji terapeutycznych.

Oprócz Carvykti w krajach Unii Europejskiej dostępna jest obecnie jeszcze jedna terapia CAR-T – Abecma, która została dopuszczona w sierpniu 2021 r. Jej skuteczność została oceniona w badaniu klinicznym II fazy KarMMa. **Spośród 128 pacjentów którzy otrzymali Abecma, całkowitą odpowiedź na leczenie uzyskało 42 pacjentów (33 proc.), a bardzo dobrą odpowiedź częściową 68 pacjentów (53 proc.)¹².**

Po raz pierwszy terapię CAR-T u pacjenta z opornym i nawrotowym szpiczakiem plazmocytowym zastosowano w lipcu 2021 r. w Klinice Hematologii i Chorób Rozrostowych Układu Krwiotwórczego w Poznaniu – w ramach badania klinicznego.

Obecnie jest refundowana od 1 września 2021 roku w leczeniu ostrej białaczki limfoblastycznej z komórek B u pacjentów do 25. roku życia, a od 1 maja 2022 r. w leczeniu dorosłych pacjentów z nawrotowym lub opornym na leczenie chłoniakiem rozlanym z dużych komórek B.

Dr hab. Dominik Dytfeld

Terapia CART-T polega na tym, że pobiera się od pacjenta jego limfocyty, modyfikuje i potem podaje się je z powrotem. W Polsce pięciu pacjentów otrzymało tę terapię w ramach badania klinicznego i ci pacjenci naprawdę wstawali jak Łazarz z grobu.

Zaawansowanie szpiczaka nie ma tu znaczenia, jeśli chodzi o rokowania. **Tu nie chodzi o to, ile tego szpiczaka jest, ale jaki on jest.** Może być zaawansowana choroba, mogą być liczne zmiany w kościach, może być dużo białka, dużo szpiczaka, a zastosowana terapia daje długą remisję. Tego, jaki jest ten szpiczak, jaka to mutacja, możemy się dowiedzieć z badań genetycznych – są refundowane, w lepszych ośrodkach robi się je już coraz częściej.

¹² <https://alivia.org.pl/wiedza-o-raku/terapia-car-t-w-leczeniu-szpiczaka-mnogiego/>

I to ma znaczenie, bo na przykład już wiemy, że chory z wysokim ryzykiem genetycznym powinien mieć na przykład podwójne przeszczepienie, a nie pojedyncze, że powinniśmy unikać revlimidu długotrwale, i że jest iksazomib – refundowany tylko dla chorych z wysokim ryzykiem genetycznym.

Prof. Iwona Hus

Terapia CAR-T jest jedną z najbardziej dynamicznie rozwijających się technologii medycznych przybywa nie tylko wskazań do jej zastosowania, ale opracowywane są nowe, bardziej skuteczne terapie. Jest to niewątpliwie bardzo dobrze działający lek, który może uratować życie chorym w sytuacji, kiedy innych skutecznych opcji nie ma. Wcześniej wiele obaw budziła jej toksyczność, stąd możemy stosować ją jedynie w akredytowanych ośrodkach, gdzie jest stała możliwość monitorowania chorych. **Obecnie coraz większe doświadczenie w stosowaniu tej technologii pozwala w znacznym stopniu uniknąć działań niepożądanych.** Kolejne wskazania czynią z CAR-T alternatywę dla dotychczasowych terapii – są prowadzone badania w kierunku zastosowania tej metody w kolejnych nowotworach hematologicznych oraz guzach litych, ale tu akurat wyniki są na razie gorsze. Dalsze potencjalne cele terapeutyczne wychodzą poza onkologię, dotyczą SM, HIV czy Covid-19.

Prof. Artur Jurczyszyn

Szpiczak jest tak unikalną i ciekawą chorobą, że – ja zawsze to podkreślam i mówię swoim studentom – nie ma takiej drugiej choroby, gdzie w ciągu tak krótkiego czasu, czyli weźmy pod uwagę ostatnie 20 lat, zarejestrowano 15 nowych leków. To absolutnie jest przełom. **Generalnie zmierzamy w tym kierunku, żeby szpiczak stał się z choroby przewlekłej, którą teraz już jest, chorobą uleczalną,** bo liczymy na to, że jakiś zestaw leków – nowoczesny sposób podejścia do tego leczenia, będzie dawał całkowite wyleczenie u części pacjentów.

Mamy dwa produkty CAR-T cell, które są już zarejestrowane. Oczywiście wiem, że to producent musi złożyć wnioszek o refundację, ale pacjenci mają świadomość, że jest coś takiego, że są takie możliwości, i pytają się, kiedy mogą mieć szansę na taką terapię – jeśli u chorego, który ma oporność na dwie czy trzy linie leczenia, wyniki badań z Carvykti są fenomenalne, to oni nie chcą czekać.

Warto też zwrócić uwagę, że zwiększa się już świadomość dotycząca choroby i pacjenci liczą też na rozwiązania systemowe – chodzi o kilka takich ośrodków, centrów, gdzie byłaby zapewniona kompleksowa i interdyscyplinarna opieka. Czyli taka, że pacjent przychodzi, oczywiście jest leczony przez hematologa-onkologa, ale ma też zapewniony dosyć szybki i płynny dostęp do ortopedy, do neurologa, do rehabilitanta, do nefrologa. Nie jest ustawiany w kolejkę do specjalisty na za dwa lata, bo za ten długi czas to może on nie żyć, jeśli nie uda nam się ustawić odpowiedniej terapii.

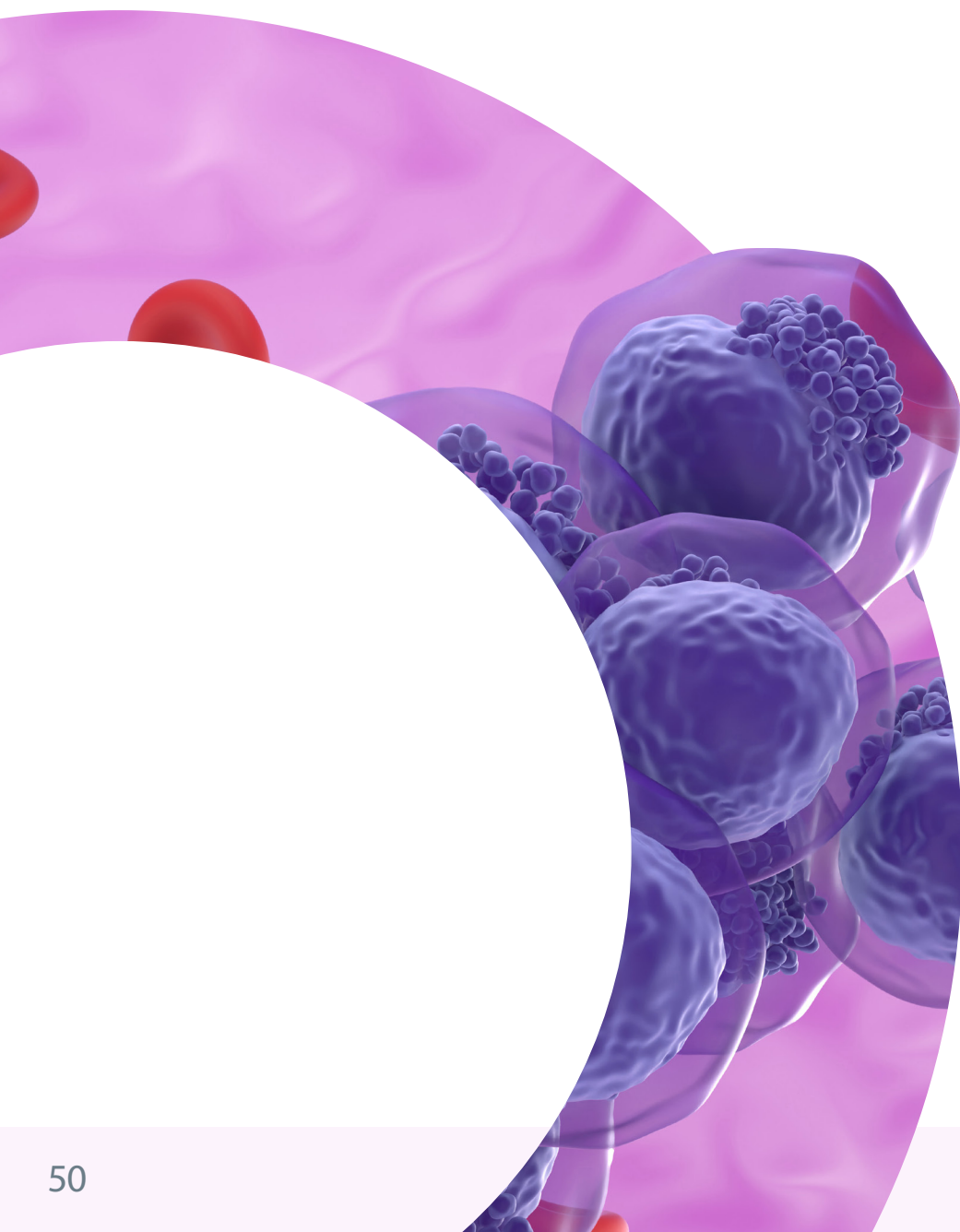
Przeciwciała bispecyficzne

Coraz większą popularnością cieszą się **przeciwciała bispecyficzne** – to nowa kategoria leków biologicznych. Składają się one z dwóch fragmentów immunoglobulin, czyli cząsteczek białkowych mających zdolność wiązania się z określonym antygenem. W tworzonych koniugatach jedno przeciwciało odpowiada za rozpoznanie i związanie z docelowym antygenem, natomiast drugie może przyciągać komórki efektorowe układu immunologicznego.

W lipcu 2022 r. Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi Europejskiej Agencji Leków zarekomendował warunkowe dopuszczenie do obrotu teklistamabu w monoterapii dorosłych pacjentów z nawrotowym i opornym na leczenie szpiczakiem plazmocytowym. Rekomendacja dotyczy tych pacjentów, którzy otrzymali co najmniej trzy wcześniejsze linie terapii, w tym środek immunomodulujący, inhibitor proteasomu i przeciwciało anti-CD38 i wykazali progresję choroby podczas ostatniej terapii. Teklistamab jest w pełni humanizowanym, bispecyficznym przeciwciałem IgG4 przekierowującym limfocyty T. Jest skierowany zarówno przeciwko antygenowi różnicowania komórek B (B-cell maturation antigen, BCMA), który wykazuje wysoki poziom ekspresji na komórkach szpiczakowych, jak i przeciwko antygenowi CD3, obecnemu na limfocytach T. Teklistamab przekierowuje CD3-dodatnie komórki T do komórek szpiczaka wykazujących ekspresję BCMA w celu indukowania procesu niszczenia komórek nowotworowych¹³.

Finansowanie tak nowoczesnych terapii w Polsce umożliwia uchwalona w 2020 r. ustawa o Funduszu Medycznym – która definiuje go jako uzupełnienie systemu refundacyjnego w Polsce, wsparcie dostępu do najnowszych terapii, zwłaszcza w chorobach rzadkich i onkologicznych.

¹³ <https://hematoonkologia.pl/aktualnosci/news/id/5478-tecvayli-teclistamab-otrzymal-pozytywna-opinie-chmp-w-leczeniu-pacjentow-z-nawrotowym-i-opornym-na-leczenie-szpiczakiem-plazmocytowym>





Część trzecia: **SYSTEM**

Kadry

Specjalizacje onkologiczne

Miejsca na specjalizacjach onkologicznych zajęte są średnio w 60 proc. – to pokazuje, że młodzi lekarze nie są specjalnie nimi zainteresowani. Dziedziny onkologiczne są mocno związane z publicznym systemem ochrony zdrowia, co dla wielu lekarzy stanowi problem, na dodatek pracy przybywa – chociażby z powodu starzejącego się społeczeństwa i coraz większej liczby osób zapadających na nowotwory. Trzeba również mieć na uwadze ogromne obciążenie psychiczne, związane z koniecznością przekazywania pacjentom trudnych emocjonalnie wiadomości.

Aby zachęcić studentów i młodych lekarzy do wyboru jednej ze specjalizacji onkologicznych, w ramach Narodowej Strategii Onkologicznej na lata 2020-2030 realizowana jest kampania „Onkologia – włącz medyczną pasję!”, którą finansuje Ministerstwo Zdrowia.

W zakresie hematologii, onkologii i hematologii dziecięcej oraz onkologii klinicznej (te trzy specjalizacje znajdują się na liście 22 specjalizacji deficytowych) faktycznie w porównaniu z rokiem 2021 w roku 2022 mamy kilka osób więcej na tych specjalizacjach, jednak procent zajętości liczb miejsc akredytowanych pozostał właściwie bez zmian.

Dziedzina specjalizacji	Liczba osób w trakcie specjalizacji. TRYB REZYDENCKI		Liczba osób w trakcie specjalizacji. TRYB POZAREZYDENCKI		Liczba osób w trakcie specjalizacji RAZEM	
	2021	2022	2021	2022	2021	2022
Hematologia	110	114	99	102	209	216
Onkologia i hematologia dziecięca	29	36	41	38	70	74
Onkologia kliniczna	347	331	94	94	441	425

Źródło: CMKP, stan na 31.12.2021 r. oraz 19.09.2022 r.

Dziedzina medycyny	Liczba miejsc akredytowanych		Liczba miejsc zajętych		W tym w trybie rezydenc- kim		W tym w trybie pozarezy- denckim		% miejsc zajętych		Liczba miejsc wolnych	
	2021	2022	2021	2022	2021	2022	2021	2022	2021	2022	2021	2022
Hematologia	354	372	209	216	110	114	99	102	59%	58%	145	156
Onkologia i hem. dziecięca	125	128	70	74	29	36	41	38	56%	58%	55	54
Onkologia kli- niczna	737	762	441	425	347	331	94	94	60%	56%	296	337

Źródło: CMKP, stan na 31.12.2021 r. oraz 19.09.2022 r.

Poniżej w tabelach znajdują się informacje o liczbie osób w trakcie specjalizacji z hematologii, onkologii i hematologii dziecięcej w podziale na województwa.

Dziedzina specjalizacji	Województwo	Liczba osób w trakcie specjalizacji. TRYB REZYDENCKI		Liczba osób w trakcie specjalizacji. TRYB POZAREZYDENCKI		Liczba osób w trakcie specjalizacji. RAZEM	
		2021	2022	2021	2022	2021	2022
Hematologia	Dolnośląskie	9	8	3	5	12	13
	Kujawsko-Pomorskie	3	3	6	4	9	7
	Lubelskie	11	12	5	6	16	18
	Lubuskie	1	2	6	5	7	7
	Łódzkie	12	10	6	7	18	17
	Mazowieckie	20	22	21	23	41	45
	Małopolskie	11	11	4	4	15	15
	MON			1		1	
	MSWIA			2		2	
	Opolskie	1	1			1	1
	Podkarpackie	7	7			7	7
	Podlaskie			4		4	5
	Pomorskie	10	10	15	5	25	25
	Śląskie	10	12	16	16	26	28
	Świętokrzyskie	4	4	1	1	5	5
	Warmińsko-Mazurskie	1	2	4	4	5	6
	Wielkopolskie	8	7	2	1	10	8
	Zachodniopomorskie	2	3	6	6	8	9

Źródło: CMKP, stan na 31.12.2021 r. oraz 19.09.2022 r.

Dziedzina specjalizacji	Województwo	Liczba osób w trakcie specjalizacji. TRYB REZYDENCKI		Liczba osób w trakcie specjalizacji. TRYB POZAREZYDENCKI		Liczba osób w trakcie specjalizacji. RAZEM	
		2021	2022	2021	2022	2021	2022
Onkologia i hematologia dziecięca	Dolnośląskie	5	5	3	2	8	7
	Kujawsko-Pomorskie	1	1	3	5	4	6
	Lubelskie	6	9			6	9
	Łódzkie	1	1	5	4	6	5
	Mazowieckie	6	5	8	7	14	12
	Małopolskie	2	2	2	2	4	4
	Podkarpackie	1	1	2	2	3	3
	Podlaskie			2	1	2	1
	Pomorskie	2	2	3	3	5	5
	Śląskie	2	6	4	5	6	11
	Warmińsko-Mazurskie	1	1	1	1	2	2
	Wielkopolskie	2	2	6	4	8	6
	Zachodniopomorskie		1	2	2	2	3

Źródło: CMKP, stan na 31.12.2021 r. oraz 19.09.2022 r.

Dziedzina specjalizacji	Województwo	Liczba osób w trakcie specjalizacji. TRYB REZYDENCKI		Liczba osób w trakcie specjalizacji. TRYB POZAREZYDENCKI		Liczba osób w trakcie specjalizacji. RAZEM	
		2021	2022	2021	2022	2021	2022
Onkologia kliniczna	Dolnośląskie	22	24	13	12	35	36
	Kujawsko-Pomorskie	11	9	1		12	9
	Lubelskie	20	20	10	10	30	30
	Lubuskie	4	1		1	4	2
	Łódzkie	18	17	4	4	22	21
	Mazowieckie	75	70	19	17	94	87
	Małopolskie	26	27	2	3	28	30
	MON			2		2	
	Opolskie	3	3	2	2	5	5
	Podkarpackie	16	16	1	2	17	18
	Podlaskie	7	7	1	1	8	8
	Pomorskie	23	23	6	7	29	30
	Śląskie	64	63	20	20	84	83
	Świętokrzyskie	6	4	2	2	8	6
	Warmińsko-Mazurskie	8	9	6	5	14	14
	Wielkopolskie	24	21	3	4	27	25
	Zachodniopomorskie	20	17	4	4	24	21

Źródło: CMKP, stan na 31.12.2021 r. oraz 19.09.2022 r.

Lekarze onkologiczni w systemie

Według danych Naczelnej Izby Lekarskiej (stan na 3 października 2022 r.), w Polsce mamy

- 597 hematologów, spośród których zawód wykonuje 579;
- 248 specjalistów z zakresu onkologii i hematologii dziecięcej, spośród których zawód wykonuje 245;
- 1137 specjalistów z zakresu onkologii klinicznej, spośród których zawód wykonuje 1125;
- 1038 chirurgów onkologicznych, spośród których zawód wykonuje 1020;
- 907 radioterapeutów onkologicznych, spośród których zawód wykonuje 861.

Jak widać w poniższej tabeli, liczba lekarzy wykonujących zawód w dziedzinach hematologii, onkologii i hematologii dziecięcej oraz onkologii klinicznej, systematycznie się zwiększa.

Dziedzina	Stan na grudzień roku:	Liczba wszystkich lekarzy	Liczba lekarzy wykonujących zawód
Hematologia	2015	439	419
	2016	472	451
	2017	492	472
	2018	498	480
	2019	532	514
	2020	544	526
	2021	574	556
Onkologia i hematologia dziecięca	2015	176	174
	2016	187	185
	2017	202	200
	2018	210	208
	2019	225	223
	2020	230	227
	2021	238	234
Onkologia kliniczna	2015	783	770
	2016	840	827
	2017	893	879
	2018	923	911
	2019	989	976
	2020	1040	1027
	2021	1091	1077

Źródło: NIL

Najwięcej lekarzy w tych trzech specjalizacjach znajdziemy w województwie mazowieckim:

województwo	Hematologia – liczba lekarzy wykonujących zawód w latach:			
	2018	2019	2020	2021
Dolnośląskie	46	46	49	51
Kujawsko-Pomorskie	21	23	23	24
Lubelskie	37	37	39	44
Lubuskie	7	8	8	8
Łódzkie	21	23	24	30
Małopolskie	45	51	54	55
Mazowieckie	92	96	97	106
Opolskie	8	8	8	8
Podkarpackie	17	19	20	21
Podlaskie	16	17	17	17
Pomorskie	25	27	28	27
Śląskie	52	58	59	62
Świętokrzyskie	18	20	20	20
Warmińsko-Mazurskie	9	10	10	10
Wielkopolskie	49	45	44	45
Zachodniopomorskie	23	26	26	28

Źródło: NIL

województwo	Onkologia i hematologia dziecięca – liczba lekarzy wykonujących zawód w latach:			
	2018	2019	2020	2021
Dolnośląskie	20	21	23	24
Kujawsko-Pomorskie	15	16	16	16
Lubelskie	19	19	19	21
Lubuskie	1	2	2	2
Łódzkie	11	11	11	11
Małopolskie	23	25	25	26
Mazowieckie	34	35	37	39
Opolskie	0	0	0	1
Podkarpackie	6	6	6	6
Podlaskie	12	13	13	14
Pomorskie	15	18	20	18
Śląskie	23	24	22	23
Świętokrzyskie	2	2	2	2
Warmińsko-Mazurskie	5	6	6	6
Wielkopolskie	17	19	19	19
Zachodniopomorskie	5	6	6	6

Źródło: NIL

województwo	Onkologia kliniczna – liczba lekarzy wykonujących zawód w latach:			
	2018	2019	2020	2021
Dolnośląskie	66	75	77	83
Kujawsko-Pomorskie	35	37	37	37
Lubelskie	51	53	53	57
Lubuskie	14	16	17	17
Łódzkie	55	62	63	68
Małopolskie	72	28	82	83
Mazowieckie	217	226	243	254
Opolskie	12	11	11	11
Podkarpackie	34	37	39	45
Podlaskie	31	32	33	33
Pomorskie	58	59	62	68
Śląskie	103	113	121	129
Świętokrzyskie	24	24	25	27
Warmińsko-Mazurskie	30	31	35	38
Wielkopolskie	79	89	91	90
Zachodniopomorskie	30	33	37	37

Źródło: NIL

Zarówno hematologia, onkologia i hematologia dziecięca oraz onkologia kliniczna to dziedziny sfeminizowane, w których zawód wykonuje więcej kobiet niż mężczyzn.

Dziedzina	Lekarze wg kategorii wiekowych (stan na 30 września 2022)	Mężczyźni	Kobiety	Razem
Hematologia	w wieku od 0 do 30 lat	0	0	0
	w wieku od 31 do 40 lat	25	36	61
	w wieku od 41 do 50 lat	54	154	208
	w wieku od 51 do 60 lat	56	104	160
	w wieku od 61 do 70 lat	35	72	107
	w wieku powyżej 70 lat	18	25	43
	łącznie	188	391	579

Źródło: NIL

Dziedzina	Lekarze wg kategorii wiekowych (stan na 30 września 2022)	Mężczyźni	Kobiety	Razem
Onkologia i hematologia dziecięca	w wieku od 0 do 30 lat	0	0	0
	w wieku od 31 do 40 lat	4	20	24
	w wieku od 41 do 50 lat	13	60	73
	w wieku od 51 do 60 lat	13	61	74
	w wieku od 61 do 70 lat	15	51	66
	w wieku powyżej 70 lat	1	7	8
	Łącznie	46	199	245

Źródło: NIL

Dziedzina	Lekarze wg kategorii wiekowych (stan na 30 września 2022)	Mężczyźni	Kobiety	Razem
Onkologia kliniczna	w wieku od 0 do 30 lat	0	0	0
	w wieku od 31 do 40 lat	87	198	285
	w wieku od 41 do 50 lat	101	258	359
	w wieku od 51 do 60 lat	95	211	306
	w wieku od 61 do 70 lat	50	77	127
	w wieku powyżej 70 lat	18	30	48
	Łącznie	351	774	1125

Źródło: NIL

Prof. Krzysztof Giannopoulos

Od lat angażuję się w wiele przedsięwzięć na szczeblu ogólnopolskim z lekarzami rodzinnymi. Jednym z owoców takich akcji było badanie dotyczące wczesnej diagnostyki szpiczaka, w którym analizowaliśmy podstawowe objawy szpiczaka tworząc algorytm, a właściwie taki kalkulator, który zwiększa szanse rozpoznania szpiczaka.

Wiadomo, że są kolejki do specjalistów i niestety podejrzenie szpiczaka „na wyrost” taką kolejkę może wydłużyć. Chodzi o sytuację, gdy np. dowiadujemy się, że pacjentkę bolą kości, a ma w rodzinie ciotkę ze szpiczakiem. To jeszcze za mało na diagnozę, dolegliwości bólowe są dosyć powszechne.

Na szczęście udało nam się stworzyć merytoryczne narzędzie. Wiemy, że większość postaci szpiczaka rozwija się z gammapati monoklonalnej o nieustalonym znaczeniu, czyli MGUS. Oczywiście samo wykrycie białka monoklonalnego nie jest tożsame z tym, że pacjent ma szpiczaka, bo ono występuje u ok. 1-2 proc. populacji ogólnej i towarzyszy też innym chorobom. **Po prostu sygnał**

dla lekarza, że ma pacjenta z białkiem monoklonalnym, jest jednoznaczny, że trzeba rozpocząć diagnostykę w kierunku szpiczaka.

Nasz algorytm zwiększa 10-krotnie szanse wykrycia białka monoklonalnego – przechodząc przez proste badania, takie jak morfologia, OB, CRP i wywiad, potrafimy wykryć to białko monoklonalne. Stworzyliśmy też stronę hematologia.edu.pl – lekarze znajdą na niej informacje o aktualnie prowadzonych kampaniach i projektach edukacyjnych, opracowane algorytmy diagnostyczne, a chorzy rzetelne informacje dotyczące chorób, których diagnostyka zaczyna się od zmian konsultowanych przez hematologa, takich jak zaburzenia w morfologii krwi, powiększenie śledziony lub węzłów chłonnych lub zaburzenia krzepnięcia. Niestety nadal często jest tak, że pacjent przychodzi do nas już głęboką niedokrwistością, ze złamaniem patologicznym, z niewydolnością nerek, a wtedy rokowanie jest gorsze. Wszyscy wolelibyśmy tego uniknąć.

Kolejki

W październiku 2021 r. Fundacja Watch Health Care (WHC) opublikowała 20. edycję Barometru WHC dotyczącego kolejek w polskim systemie ochrony zdrowia. Wyniki prezentowały się następująco:

- średni czas oczekiwania pacjentów na świadczenia – 3,4 mies.
- średni czas oczekiwania pacjentów do lekarza specjalisty – 2,9 mies.
- średni czas oczekiwania pacjentów do badań diagnostycznych – 1,9 mies.

W raporcie zwrócono również uwagę na dostęp do nowych technologii lekowych u pacjentów

hematoonkologicznych, które mogą wpłynąć na skrócenie czasu oczekiwania na świadczenia szczególnie w dobie pandemii – wskazano tu na daratumumab w postaci podskórnej w leczeniu szpiczaka plazmocytoowego.

W marcu 2022 r. leczenie daratumumabem w formie podskórnej (w skojarzeniu z bortezomibem i deksametazonem w II-IV linii leczenia dorosłych pacjentów) zostało objęte refundacją w ramach programu lekowego B.54 – Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytoowego.

W listopadzie 2022 r. Fundacja Watch Health Care (WHC) opublikowała 21. edycję Barometru WHC dotyczącego kolejek w polskim systemie ochrony zdrowia. Wyniki prezentowały się następująco:

- średni czas oczekiwania pacjentów na świadczenia – 3,6 mies.
- średni czas oczekiwania pacjentów do lekarza specjalisty – 4,1 mies.
- średni czas oczekiwania pacjentów do badań diagnostycznych – 2,5 mies.

Oznacza to, że kolejki w Polsce wydłużyły się i niestety odczuli to także pacjenci hematatoonkologiczni, szczególnie ci, którzy czekają na wizytę do hematologa, co pokazuje poniższa tabela:

		Średni czas oczekiwania XII/I 2019	Średni czas oczekiwania IX 2021	Średni czas oczekiwania XI 2022
HEMATOLOGIA I HEMATOONKOLOGIA		1,7	1,6	2,2
Świadczenie	Wskazanie			
WIZYTA U HEMATOLOGA	dziecko; 6 lat; przewlekłe powiększone węzły chłonne pachowe i pachwinowe; znacznie podwyższony poziom leukocytów pomimo leczenia antybiotykami o szerokim spektrum; nie ujawniono zakażenia i ognisk zapalnych; posiada skierowanie od lekarza rodzinnego	1,3	1,9	5,4
USG WĘZŁÓW SZYJNYCH	kobieta; 22 lata; ból przy poruszaniu głową; występuje wybrzuszenie na szyi; palpacyjnie stwierdzono powiększenie węzłów chłonnych; skierowanie od internisty	1,5	1,6	3,4
IMMUNOCHEMIO- TERAPIA	kobieta; 44 lata; stany podgorączkowe; nawracające zapalenia płuc; w biopsji zdiagnozowany chłoniak BALT (rzadko występujący rozrost limfocytów typu B, wywodzący się z tkanki chłonnej oskrzeli); posiada skierowanie od onkologa	3,5	2,6	0,5
TREPANOBIOPSJA SZPIKU KOSTNEGO	kobieta; 27 lat; podejrzenie ziarnicy złośliwej; niejednoznaczny wynik biopsji aspiracyjnej szpiku; posiada skierowanie od hematatoonkologa	0,4	0,8	1,0
BADANIE CYTOGENETYCZNE	chłopiec; 15 lat; w morfologii podwyższona liczba limfocytów; podejrzenie ostrej białaczki limfoblastycznej; posiada od pediatry skierowanie na badanie	2,8	1,0	0,6

Źródło: Barometr Fundacji WHC 2021 i 2022

Dane o czasie oczekiwania do specjalistów można także uzyskać z Informatora o Terminach Leczenia Narodowego Funduszu Zdrowia. Powstaje on na podstawie danych przekazywanych do płatnika co tydzień bezpośrednio przez placówki medyczne. Do danych przedstawianych przez NFZ należy mieć pewien dystans z uwagi na wady systemu sprawozdawania kolejek i niechęć świadczeniodawców do przekazywania aktualnych danych¹⁴.

Według Informatora, wizyta w przypadku pilnym w poradni hematologicznej w 2022 r. w wielu województwach jest możliwa niemalże z dnia na dzień. W systemie brakuje danych z woj. świętokrzyskiego, a największą cierpliwością muszą się wykazać pacjenci w następujących województwach:

	Termin sprawozdania danych	Najwcześniejsze wolne terminy	Placówka
Przypadek pilny do poradni hematologicznej -WOJ. MAZOWIECKIE	19 września 2022 r.	29 grudnia 2022 r.	Mazowiecki Szpital Onkologiczny w Wieliszewie
Przypadek pilny do poradni hematologicznej -WOJ. DOLNOŚLĄSKIE	23 września 2022 r.	30 grudnia 2022 r.	Uniwersytecki Szpital Kliniczny im. Jana Mikulicza-Radeckiego we Wrocławiu
Przypadek pilny do poradni hematologicznej -WOJ. OPOLSKIE	22 września 2022 r.	9 stycznia 2023 r. (jedyne wskazany termin)	Szpital Wojewódzki w Opolu
Przypadek pilny do poradni hematologicznej -WOJ. POMORSKIE	23 września 2022 r.	23 stycznia 2023 r. (przypadek stabilny – 23 kwietnia 2023)	Uniwersyteckie Centrum Kliniczne

Źródło: <https://terminyleczenia.nfz.gov.pl/>, dostęp 21.09.2022 r.

¹⁴ <https://www.termedia.pl/Mniemanologia-stosowana,12,23647,1,1.html>

Polski Rejestr Onko-hematologiczny (PROH)

W lipcu 2022 r., do konsultacji publicznych trafił projekt rozporządzenia Ministra Zdrowia w sprawie Polskiego Rejestru Onko-hematologicznego „PROH”, który powstać miał do końca września 2022 r.

W uzasadnieniu projektu przyznano, że w Polsce brakuje kompletnych danych na temat nowotworów układu krwiotwórczego i istnieje konieczność ich rozszerzenia, aby umożliwić szczegółowe populacyjne analizy epidemiologiczne w zakresie chorób onkohematologicznych. – **Postęp wiedzy w diagnostyce i leczeniu nowotworów hematologicznych stwarza konieczność oceny skuteczności metod leczenia na poziomie populacyjnym**, a z powodu braku odpowiednich danych klinicznych o nowotworach układu krwiotwórczego niemożliwa jest ocena skali stosowania poszczególnych metod leczenia – dodano.

Wdrożenie rejestru ma pozwolić m.in. na:

- stworzenie jednolitego systemu rejestracji nowych zachorowań na nowotwory tkanki limfatycznej i krwiotwórczej (według Międzynarodowej Statystycznej Klasyfikacji Chorób i Problemów Medycznych ICD-10: C81–C96, D45-D47);
- przygotowanie podstawy do populacyjnych badań epidemiologicznych umożliwiających dokonywanie wiarygodnych analiz częstości i trendów występowania powyższych nowotworów w czasie rzeczywistym;
- ocenę częstości występowania poszczególnych nowotworów tkanki limfatycznej, układu krwionośnego i tkanek pokrewnych;
- monitorowanie stanu zdrowia pacjentów w zakresie chorób tkanki limfatycznej, układu krwionośnego i tkanek pokrewnych w zależności od zastosowanej terapii;
- monitorowanie skuteczności i jakości leczenia chorób onkohematologicznych w zależności od zastosowanej terapii oraz stanu pacjenta, stopnia zaawansowania nowotworu i zastosowanego leczenia;
- rejestrację odległych wyników i następstw leczenia w zależności od zastosowanej terapii;
- systematyczne publikowanie raportów na podstawie danych zgromadzonych w rejestrze.

Rejestr Onko-Hematologiczny miałby być pierwszym w Polsce populacyjnym rejestrem klinicznym, a prowadzić go miał Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie – Państwowy Instytut Badawczy w Warszawie. Rejestr nie ruszył o czasie.

Projekt rozporządzenia Ministra Zdrowia jest po konsultacjach publicznych, opiniowaniu i uzgodnieniach. **W trakcie konsultacji publicznych środowisko onkohematologiczne podważyło zakres przetwarzanych danych oraz zasadność tworzenia rejestru w proponowanej postaci.** Ministerstwo Zdrowia poinformowało, że wypracowuje nowy, odpowiedni projekt rejestru medycznego¹⁵.

Prof. Krzysztof Giannopoulos

Oczywiście czekamy z niecierpliwością na dobry rejestr. Rejestr KRN jest rejestrem narządowym, wielokrotnie zgłaszaliśmy, że jest on niedopasowany do sytuacji chorych na nowotwory hematologiczne.

Uczestniczyłem w konsultacjach dotyczących PROH już ze strony Centrum Onkologii. W mojej opinii dane, jakie planuje się zbierać, są zbyt szerokie, to są dane bardzo dogłębne, bardzo dobrze charakteryzujące pacjenta, ale jednak zdecydowanie przekraczające zakres rejestru. Dlatego też bardzo obawiałem się o wykonalność tego projektu. Nie byłem też osamotniony w tych obawach, wielu ekspertów zgłaszało takie uwagi. **Według mnie tak duży projekt powinien być poprzedzony pilotażem, bo wiedza analityków musi być połączona z wiedzą merytoryczną ekspertów medycznych.**

Projekt rejestru jest dosyć zbliżony do tego, co robimy jako Polskie Konsorcjum Szpiczakowe – mamy już 1900 chorych wpisanych w ramach badania obserwacyjnego o akronimie POMOST, które ma na celu ocenę praktyki klinicznej dotyczącej diagnozowania i leczenia chorych na szpiczaka. W tym badaniu rekrutacja jest duża i kiedyś zakładaliśmy, że gdy nasze badanie określi przepływy pacjentów, to chętnie podzielimy się silnikiem z działającym już rejestrem, który, jak wiadomo, musi być powołany z inicjatywy Ministra Zdrowia.

Trzeba pamiętać, że przy tak dużych problemach kadrowych – w zasadzie dotyczących każdego ośrodka hematologicznego – za chwilę pojawiają się pytania, kto miałby taki rejestr uzupełniać czy weryfikować. Przekazywanie tych czynności sekretariatom medycznym bez

¹⁵ <https://cowzdrowiu.pl/aktualnosci/post/rejestru-onkohematologicznego-proh-chwilowo-nie-bedzie>

wiedzy merytorycznej może się wiązać z tym, że dużo informacji, które byłyby tam zamieszczane, nie byłoby dobrej jakości.

Pewnym rozwiązaniem byłoby też „zaciąganie” danych z elektronicznej dokumentacji medycznej, która przecież teraz obowiązuje.

Każdy rejestr powinien być prowadzony w oparciu o publicznie dostępny protokół – podobny, choć nie tak rozbudowany, jak protokoły eksperymentalnych badań klinicznych. Każdy rejestr powinien też wypełniać zasady GRP (Good Registry Practice). W wyniku prac specjalistów badań klinicznych, EBM, HTA, bioetyki i przedstawicieli urzędów centralnych w Ministerstwie Zdrowia w roku 2016 przygotowano projekt zmian ustawowych, którego celem było ustawowe wprowadzenie wymagań jakościowych wobec rejestrów tworzonych w Polsce. Projekt zakładał też odblokowanie zakazu tworzenia rejestrów bez zgody Ministra Zdrowia w rozporządzeniu, ale jednocześnie stopniową centralizację i harmonizację funkcjonujących i nowo tworzonych rejestrów w oparciu o jasne reguły i jeden protokół akceptowany przez Ministra Zdrowia. Niestety projekt na początku roku 2017 został zawieszony i zmiany nie zostały wprowadzone do dziś.

Szpiczak na świecie

Łukasz Rokicki

Największym bólem jest mierzenie się z dostępem do terapii. Wynika to z tego, że leki, które są zarejestrowane w Europie, według wskazań rejestracyjnych są dedykowane określonej populacji. Niestety przez te nasze programy lekowe dostępność do tych leków jest mocno ograniczana czy co do linii leczenia.

Jeżeli nasi lekarze – a to są dobrzy lekarze – nie będą mieli narzędzi w postaci dostępnych terapii, to po prostu nie będą mieli jak leczyć.

Obecnie w Europie poza dostępnymi terapiami są w badaniach klinicznych 23 nowe leki. Siedem jest już w trzeciej fazie tych badań, co daje nadzieję, że w niedługim czasie przejdą do fazy rejestracyjnej. Ten stan rzeczy pokazuje, że ten pociąg nam odjeżdża. U nas póki co jest 8 cząsteczek, i to z okrojonymi możliwościami stosowania. To nasze opóźnienie w stosunku do Europy wynosi tak 4-5 lat. Tymczasem na przykład w Czechach są to tylko 2 lata, a w Słowenii 0.

Jako Fundacja chcemy pokazywać: OK, Mercedes przed nami stoi, ale bez kluczyków nie pojedziemy. Pokazanie takich przypadków, jak pan Grzegorz Rakowiecki (więcej o Grzegorzu Rakowieckim w rozdziale PACJENT/Grzegorz Rakowiecki), który miał to szczęście i dostał te kluczyki, był w badaniu klinicznym przez kilka lat, i widać, że ma się świetnie, jest aktywnym dziadkiem i emerytem.

I dzięki takim możliwościom młodzi ludzie, których jest coraz więcej, mają szansę na długie życie w dobrej formie (przykładem jest historia opisana w rozdziale PACJENT/Jakub Bartkowiak), a nie na rencie, bez pracy, z niepełnosprawnością. **Niestety polski pacjent musi walczyć z samą chorobą i z całym systemem.**

To, czego brakuje polskim pacjentom, a czego zazdrościmy Europie, to także takie holistyczne podejście do choroby. Polski pacjent jest niestety – nie ze swojej winy – jak dziecko we mgle.

Co prawda projekt Krajowej Sieci Onkologicznej zawiera już pewne zmiany dotyczące koordynatora czy referencyjności szpitali, ale mamy takie wrażenie, że cały czas coś jest mówione, coś jest projektowane, a dalej stoimy w miejscu albo robimy krok w tył.

Europejska Agencja Leków a refundacja w Polsce

Agencja rozpoczęła działalność w 1995 roku wraz z wprowadzeniem europejskiego systemu wydawania licencji dla produktów leczniczych, obejmującego procedurę scentralizowaną i wzajemnego uznawania. Firmy składają do EMA pojedynczy wniosek o licencję handlową, a Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi dokonuje oceny wniosku. Jeśli stwierdzi, że jakość, bezpieczeństwo i skuteczność danego produktu leczniczego zostały dostatecznie potwierdzone, wydaje pozytywną opinię. Opinia przekazywana jest do agencji w celu przyznania licencji handlowej ważnej na całym terytorium Unii Europejskiej.

EMA w latach 2015-2021 zarejestrowała 77 nowych leków onkologicznych (8 w szpiczaku). Najwięcej nowych leków miało wskazania w terapii nowotworów płuc i piersi, a także białaczki i szpiczaka plazmocytowego.

Nowotwór	Liczba nowych substancji w latach 2015-2017
Nowotwór płuca	13
Białaczki	11
Nowotwór piersi	9
Szpiczak	8
Chłoniaki	7
Czerniak	6
Nowotwór skóry	3
Nowotwór prostaty	3
Nowotwór podścieliskowy przewodu pokarmowego	3
Pozostałe	14

Źródło: EMA

W latach 2017-2021 decyzje o refundacji leków onkologicznych zapadały w Polsce średnio w ciągu 1278 dni od momentu rejestracji przez EMA. Mediana tego czasu wyniosła 3,4 roku. Dla leków nieonkologicznych ten czas był dłuższy – mediana wyniosła 3,9 roku.

	Nowe leki onkologiczne	Nowe leki nieonkologiczne	Wszystkie nowe leki
2017	4,1	3,6	3,7
2018	3,6	3,5	3,4
2019	2,8	2,5	2,7
2020	3,3	4,8	4,4
2021	3	4,9	3

Źródło: „Nowe terapie w leczeniu chorych na nowotwory”, Modern Healthcare Institute

Czas od rejestracji EMA leków w terapii szpiczaka do objęcia refundacją (często w zawężonych wskazaniach w stosunku do tych zarejestrowanych) w latach 2017-2021:

Wskazanie	Lek	Substancja czynna	Data rejestracji EMA	Data refundacji w Polsce	Czas (dni) od rejestracji do refundacji
Leczenie chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytowego	Imnovid	Pomalidomid	05.08.2013	01.11.2018	1914
	Darzalex	Daratumumab	20.05.2016	01.07.2019	1137
	Kyprolis	Karfilzomib	19.11.2015	01.07.2019	1320
	Ninlaro	Iksazomib	21.11.2016	01.05.2021	1622

Źródło: „Nowe terapie w leczeniu chorych na nowotwory”, Modern Healthcare Institute

Amerykańska Agencja Żywności i Leków (FDA)

Amerykańska Agencja powstała już w 1906. Zajmuje się kontrolą żywności i paszy, suplementów diety, leków (dla ludzi i zwierząt), kosmetyków, urządzeń medycznych, urządzeń emitujących promieniowanie, materiałów biologicznych i preparatów krwiopochodnych.

Pozytywna opinia wydana przez Agencję Żywności i Leków dla danego produktu spożywczego lub leku jest uznawana także poza Stanami Zjednoczonymi za wyznacznik jakości i potwierdzenie braku negatywnego wpływu na zdrowie.

FDA w latach 2015-2021 zarejestrowała 95 nowych leków onkologicznych. Spośród nich 65 miało wskazania do leczenia guzów litych a 30 produktów miało wskazania do leczenia nowotworów krwi.

Nowotwór	Liczba nowych substancji w latach 2015-2017
Nowotwór płuc	16
Nowotwór piersi	11
Szpiczak	8
Nowotwór prostaty	6
Chłoniak nieziarniczy	5
Ostra białaczka szpikowa	5
Nowotwory neuroendokryne	4
Nowotwory neuroendokryne	4
Nowotwór pęcherza moczowego	4
Chłoniak z komórek B	3
Czerniak	3
Mięsak tkanek miękkich	3
Ostra białaczka limfoblastyczna	3
Nowotwór jajnika	3
Pozostałe	26

Źródło: FDA

FDA a refundacja w Polsce

Nowe terapie onkologiczne, które FDA uznaje za przełomowe, są w większości obejmowane refundacją w Polsce, ale oczywiście z opóźnieniem i zwykle we wskazaniach znacznie węższych niż te, w których są dopuszczone do obrotu.

Spośród 63 rejestracji nowych leków onkologicznych przez FDA od 2013 roku określanych jako przełomowe i pierwsze w swojej klasie, cztery dotyczyły szpiczaka.

Wskazanie	Lek	Substancja czynna	Status	Rejestracja EMA	Refundacja w Polsce na 30.09.2022
Szpiczak plazmocytowy	Darzalex	daratumumab	breakthrough, first-in-class	2016	TAK (w ograniczonych wskazaniach)
	Empliciti	elotuzumab	breakthrough, first-in-class	2016	NIE
	Blenrep	belantamab mafodotin	breakthrough, first-in-class	2020	NIE
	Xpovio (Nexpovio)	selinexor	first-in-class 2021	2021	NIE

Źródło: FDA, EMA

Barbara Leonardi

Różnice między krajami europejskimi wynikają z wielu czynników i rozwiązań w zakresie opieki zdrowotnej, a także prawa pracy czy regulacji dotyczących zabezpieczenia społecznego. W niektórych krajach funkcjonuje np. opieka pielęgnarska dla pacjentów szpiczakowych. Pacjenci mogą otrzymać wsparcie „pierwszego kontaktu” od personelu znającego doskonale aspekty tej choroby w sytuacji, która nie wymaga angażowania lekarza. Jeśli chodzi o finanse, to **polskim pacjentom daleko do komfortu finansowego, jaki mają pacjenci w krajach Europy Zachodniej** i tego szybko nie zmienimy, ale możemy korzystać z dobrych wzorców choćby w zakresie utrzymania aktywności zawodowej pacjentów szpiczakowych.

Są oczywiście obszary wspólne dla całej Europy, które wymagają dopracowania.

Jest to po pierwsze diagnostyka. Wciąż często bagatelizuje się objawy, zamiast zlecić, niedrogie przecież, badania. Wciąż zdarza się, że pacjent słyszy, że jest za młody na szpiczaka i musi diagnozować się sam, prywatnie. Problemy występują także z dostępem do specjalistycznych badań szpiczakowych – np. określenie ryzyka cytogenetycznego.

Po drugie nie można zapominać o zróżnicowanej sytuacji i potrzebach pacjentów, także w zależności od wieku. Przyjęło się, że szpiczak to choroba osób starszych, że sukcesem jest jej zalecenie i trzeba pogodzić się z tym, że pacjent i tak nie odzyska pełni sił (z uwagi na wiek i inne schorzenia). Jak dotąd pomijano młodszą grupę pacjentów, którzy często są w dobrej kondycji i w dobrym ogólnym stanie zdrowia. Przy dobrym leczeniu mogą aktywnie funkcjonować, pracować i cieszyć się

życiem, co widać w Europie Zachodniej. Ta grupa została już zauważona – organizacje pacjenckie i prozdrowotne, które coraz częściej zwracają uwagę na ich potrzeby.

Po trzecie, niezbędne są kompleksowe centra leczenia szpiczaka. Ośrodki interdyscyplinarne, w których pacjent ze szpiczakiem otrzyma nie tylko opiekę hematoonkologiczną, ale także ortopedyczną czy neurologiczną. Dzięki temu pacjent uniknie krążeń po poradniach i w jednym miejscu będzie nie tylko opieka, ale także pełna dokumentacja i wiedza na temat pacjenta.

Po czwarte – potrzebny jest szerszy dostęp do wiedzy w zakresie choroby, praw pacjenta, przysługujących świadczeń i dostępnego wsparcia. Na tym polu aktywnie działają organizacje pacjenckie takie jak Carita i Myeloma Patients Europe. Dzięki internetowi można na bieżąco korzystać z materiałów publikowanych na ich stronach, a dzięki spopularyzowaniu transmisji online powstają webinaria tematyczne. Zawsze jednak jest pytanie – co z osobami, które są wykluczone cyfrowo albo zwyczajnie nie wiedzą o istnieniu takich organizacji? Jak zbudować most między nimi a organizacją pacjencką i czy pracownicy ośrodków medycznych mogą w tym pomóc?

Choroby rzadkie i leki sieroce

Szpiczak jest chorobą rzadką – tymczasem, mimo że o chorobach rzadkich mówi się coraz częściej, rzadko wśród nich wymienia się szpiczaka. Na prośbę ekspertów, z którymi przeprowadzaliśmy wywiady pogłębione w celu stworzenia tego raportu, przypominamy więc, czym są choroby rzadkie i jaki wpływ na refundację ma fakt, że choroba jest rzadka.

Określenie „sierocy” odnosi się do interwencji medycznej. Określenia: „rzadki” i „ultra rzadki” odnoszą się do choroby lub schorzenia.

Nie istnieje jedna, wspólna, ogólnościowa definicja chorób rzadkich. W USA The Orphan Drug Act (1983) definiuje, że choroba rzadka dotyczy mniej niż 200 000 mieszkańców USA (czyli nie więcej niż 7 przypadków na 10 000 pacjentów), w Japonii 2,5 na 10 000. Kryterium stosowane w UE przyjmuje, że choroba rzadka występuje nie częściej niż u 5 osób na 10 000, co odpowiada 246 000 mieszkańców UE. Jeśli więc w UE jakaś choroba dotyka 246 000 osób lub mniej to należy jej przypisać status choroby rzadkiej. W ślad za definicją chorób rzadkich zalecaną w Unii Europejskiej schorzenie uznaje się w Polsce za chorobę rzadką, jeśli dotyka ona nie więcej niż 5 na 10.000 osób. To oznacza, że na choroby rzadkie w Polsce cierpi od 2,3-3 mln osób.

Obecnie znanych jest od 5 000 do 8 000 odrębnych chorób rzadkich, które dotyczą 6-8 proc. populacji ogólnej – innymi słowy, od 27 do 36 milionów ludzi w Unii Europejskiej i blisko 25 milionów mieszkańców USA cierpi na choroby rzadkie. Co tydzień w literaturze medycznej opisywanych jest pięć nowych chorób rzadkich¹⁶.

Nie ma powszechnie przyjętych międzynarodowych, czy unijnych definicji chorób ultra rzadkich. W Wielkiej Brytanii termin ten oznacza schorzenie, którego występowanie nie przekracza 1 przypadku na 50 000 osób¹⁷. W Polsce przyjęto, że choroba ultra rzadka dotyka nie więcej niż 750 osób w polskiej populacji.

„Orphan drugs” lub „orphan medicinal products”, czyli inaczej „leki sieroce” to zwyczajowa nazwa produktów leczniczych stosowanych w leczeniu rzadkich, przewlekłych i zagrażających życiu chorób. Leki te zostały nazwane „sierocymi”, gdyż bardzo mała liczba pacjentów nie stanowiła dla firm farmaceutycznych atrakcyjnego inwestycyjnie obszaru. Niska stopa zwrotu z inwestycji w przypadku niewielkiej potencjalnej grupy odbiorców leku nie zachęcała do prowadzenia badań w tym obszarze. Wiele chorób i wielu obywateli cierpiących na choroby rzadkie i ultrarządki było więc „zaniedbywanych” w działalności badawczo-rozwojowej przemysłu, a medycyna nie miała tym chorym wiele do zaoferowania w jawnym kontraście do osób z chorobami powszechnie występującymi.

Pierwsze regulacje dotyczące chorób rzadkich i leków sierocych zostały wprowadzone w USA w 1983 r. (Orphan Drugs Act). Miały one ułatwić wprowadzanie na rynek nowych leków związanych z leczeniem rzadkich schorzeń oraz zachęcić do prowadzenia badań nad skutecznymi technologiami w tym zakresie. Zgodnie z ustawą, producenci leków ubiegających się o status „orphan”, mogą odliczyć od podatku 50 proc. kosztów poniesionych na badania kliniczne. Zwolnieni są również z opłat rejestracyjnych i u zyskują gwarancje 7 letniej wyłączności na rynku, o ile sponsor przestrzega określonych wymagań FDA. Inne zachęty to na przykład pomoc przy opracowywaniu protokołów badań klinicznych oraz możliwość ubiegania się o wsparcie badań naukowych i rozwoju. Pomoc przy opracowywaniu protokołów badań obejmuje pomoc prawną oraz porady dotyczące prowadzenia badań klinicznych. Ponadto firmy mogą ubiegać się o granty i kontrakty na badania kliniczne, zasilane ze stworzonych na ten cel funduszy rządowych.

¹⁶ <http://www.emea.europa.eu/pdfs/human/comp/29007207en.pdf>

¹⁷ Drugs for exceptionally rare diseases: do they deserve special status for funding? D.A. Hughes, B. Tunnage and S.T. Yeo QJM Advance Access originally published online on October 3, 2005 QJM 2005 98(11):829-836; doi:10.1093/qjmed/hci128

W Europie uznanie produktu leczniczego za sierocy wiąże się z wpisaniem go do odpowiedniego rejestru (Rejestru określonych Sierocych Produktów Leczniczych¹⁸) tworzonego przez Komitet ds. Sierocych Produktów Leczniczych (COMP – Committee for Orphan Medicinal Products) przy EMA. COMP doradza też Komisji Europejskiej w zakresie ustanawiania i rozwoju polityki dotyczącej sierocych produktów leczniczych w UE oraz wspomaga Komisję w opracowywaniu szczegółowych wytycznych i wymiany informacji dotyczących sierocych produktów leczniczych na forum międzynarodowym¹⁹.

Produkt leczniczy uzyskuje status sierocego, jeśli:

1. jest przeznaczony do diagnostyki, profilaktyki lub leczenia zagrażającego życiu lub przewlekłe upośledzającego schorzenia, dotyczącego w chwili składania wniosku o przyznanie statusu nie więcej niż pięciu na 10 000 osób w Unii Europejskiej (kryterium częstości występowania) lub jest przeznaczony do diagnostyki, profilaktyki lub leczenia zagrażającego życiu, znacznie upośledzającego lub poważnego i przewlekłego schorzenia, a bez dodatkowej zachęty finansowej jest mało prawdopodobne, aby oczekiwana sprzedaż produktu leczniczego pokryła koszty związane z jego opracowaniem oraz gdy
2. nie została dotąd zarejestrowana satysfakcjonująca metoda diagnostyki, profilaktyki lub leczenia tego schorzenia, albo – *jeżeli taka metoda istnieje* – produkt leczniczy przyniesie istotną korzyść pacjentom dotkniętym tym schorzeniem²⁰.

Regulacje unijne podkreślają, że pacjenci cierpiący na rzadkie schorzenia mają prawo do otrzymania takiej samej jakości opieki, jak wszystkie osoby cierpiące na choroby powszechne (Regulation No 141/2000), co nie oznacza jednak automatycznej refundacji leczenia. Zarówno na terenie UE, jak również na obszarze pojedynczych państw (np. na terenie UK) dostęp do leków sierocych nie jest równy, co wynika z autonomicznych decyzji poszczególnych płatników. Cena leku sierocego odgrywa dużą rolę przy podejmowaniu decyzji refundacyjnych.

Generalnie stopa zwrotu z inwestycji (ROI, return on investment) jest funkcją liczby chorych i ceny leku. Cena rynkowa zapewniająca producentowi godziwe zyski powinna korespondować z liczbą leczonych pacjentów (przy czym istotne jest, żeby zyski producenta korespondowały z innowacyjnością terapeutyczną produktu). Już tu warto podkreślić, że nie chodzi tylko o pacjentów z jednym schorzeniem, ale o łączną liczbę chorych ze wszystkimi wskazaniami, w których lek jest stosowany.

¹⁸ <http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/register/orphreg.htm>

¹⁹ <http://www.emea.europa.eu/htms/general/contacts/COMP/COMP.html>

²⁰ Doc. Ref. EMEA/290072/2007; <http://www.emea.europa.eu/pdfs/human/comp/29007207en.pdf>

Czy leki sieroce mogą być tanie?

Wiele produktów leczniczych posiadających status leku sierocego jest sprzedawana w przystępnych cenach – zwykle są to leki o ugruntowanej pozycji w leczeniu, dla których znaleziono nowe zastosowania lub kiedy choroba przestała być powszechna (np. gruźlica w Europie). Ceny innowacyjnych leków stosowanych w chorobach rzadkich i ultraradkich *są zwykle stosunkowo wysokie. Ich wysoka cena wynika głównie ze zwrotu z inwestycji, który dokonuje się z niewielkiej liczebnie populacji chorych.*

Żałujmy, że inwestycja w wynalezienie nowego leku kosztuje miliard euro. Jeśli wynaleziony lek jest stosowany w chorobie powszechnej, to zwrot z inwestycji dokonuje się ze sprzedaży leku dziesiątkom milionów ludzi w Europie i setkom milionów chorych na całym świecie – taki lek może kosztować kilka euro miesięcznie. Natomiast jeśli wynaleziony lek stosowany jest w chorobie ultraradkiej np. w mukopolisacharydozie, na którą cierpi 20 dzieci w Polsce, 30 w Niemczech, 40 we Francji itd., to zwrot z inwestycji dokonuje się z bardzo małej populacji łącznej i w takim przypadku lek nie może kosztować kilku euro, jego cena będzie wielokrotnie wyższa – cena leku sierocego może sięgnąć nawet 2 mln Euro za leczenie (vide: Zolgensma w SMA).

Nawet jeśli te dwa hipotetyczne leki przynosiłyby średnio taką samą korzyść zdrowotną przeciętnemu pacjentowi, np. 1,5 QALY (quality adjusted life years, lata życia skorygowane jakością), to ich ceny będą się zasadniczo różnić. Jeśli chcemy mieć postęp w medycynie i jeśli chcemy żeby przemysł farmaceutyczny opracowywał nowe skuteczne leki stosowane w chorobach rzadkich i ultraradkich, to skłonność rządów do przyznawania refundacji lekom sierocym, których ceny są stosunkowo wysokie, powinna być duża. Tak też się dzieje w praktyce. Coraz więcej kosztownych leków sierocych jest refundowanych w krajach rozwiniętych, dzięki czemu coraz więcej innowacyjnych leków sierocych trafia do leczenia i coraz więcej chorób rzadkich, w tym chorób onkologicznych jest skutecznie leczona. Skłonność regulatora do akceptowania wyższych cen leków sierocych koresponduje z ich skutecznością czy innowacyjnością terapeutyczną, ale także z liczbą chorych, u których lek będzie stosowany – im mniejsza jest ta liczba, tym skłonność do akceptacji wysokiej ceny jest wyższa.

Dane Narodowego Funduszu Zdrowia

W poniższych tabelach znajdują się dane na temat wysokości środków finansowych przeznaczonych przez Narodowy Fundusz Zdrowia na realizację świadczeń w zakresie hematologii, hematatoonkologii oraz leczenia szpiczaka i białaczek oraz informację dot. liczby wystawionych Kart Diagnostyki i Leczenia Onkologicznego w zakresie ww. nowotworów.

Liczba i wartości sfinansowanych świadczeń w zakresie hematologii i hematoonkologii:

kod rodzaju świadczeń	2018			2019			2020			2021			2022		
	Liczba świadczeń	Wartość świadczeń	Nazwa zakresu świadczeń	Liczba świadczeń	Wartość świadczeń	Liczba świadczeń	Wartość świadczeń	Liczba świadczeń	Wartość świadczeń	Liczba świadczeń	Wartość świadczeń	Liczba świadczeń	Wartość świadczeń	Liczba świadczeń	Wartość świadczeń
AOS	323 102	26 173 415	Świadczenia w zakresie hematologii	317 522	26 538 635	282 569	24 261 332	315 947	32 378 271	160 050	18 440 601				
	5 834	1 276 718	Świadczenia w zakresie hematologii-diagnostyka onkologiczna	6 161	1 319 820	5 905	1 674 019	7 904	2 264 026	4 490	1 186 609				
			Świadczenia w zakresie hematologii-diagnostyka onkologiczna - poza pakietem onkologicznym	151 633	12 974 598	154 086	12 847 498	156 593	15 956 394	82 468	9 158 292				
	50 227	3 209 251	Świadczenia w zakresie hematologii-swiadczenia pierwszorzadowe	55 666	3 719 885	38 791	2 854 409	46 417	4 127 074	24 869	2 392 749				
			Świadczenia w zakresie hematologii-swiadczenia udzielane osobom do ukończenia 18-go r.ż. (Świadczenia finansowane odrębnie w psz)					614	69 212	310	22 911				
	64 239	4 951 204	Świadczenia w zakresie onkologii i hematologii dziecięcej	59 227	5 485 874	51 406	5 246 604	57 791	7 268 999	30 561	4 047 757				
	7	1 949	Świadczenia w zakresie onkologii i hematologii dziecięcej-diagnosticska onkologiczna	14	10 486	66	52 065	291	202 425	225	157 824				
			Świadczenia w zakresie onkologii i hematologii dziecięcej-diagnosticska onkologiczna - poza pakietem onkologicznym	8 190	856 332	11 235	1 213 347	11 699	1 437 670	6 174	803 102				
	20 094	1 528 644	Świadczenia w zakresie onkologii i hematologii dziecięcej-swiadczenia pierwszorzadowe	20 966	1 918 980	14 401	1 575 837	16 665	2 377 297	9 080	1 365 049				
	141 629	12 048 572	Świadczenia w zakresie hematologii-diagnostyka poza pakietem onkologicznym												
	5 819	538 143	Świadczenia w zakresie onkologii i hematologii dziecięcej-diagnostyka poza pakietem onkologicznym												

kod rodzaju świadczeń	2018			2019			2020			2021			2022		
	Liczba świadczeń	Wartość świadczeń	Liczba świadczeń	Wartość świadczeń	Liczba świadczeń	Wartość świadczeń	Liczba świadczeń	Wartość świadczeń	Liczba świadczeń	Wartość świadczeń	Liczba świadczeń	Wartość świadczeń	Liczba świadczeń	Wartość świadczeń	Liczba świadczeń
Nazwa zakresu świadczeń															
Hematologia - hospitalizacja	28 752	97 024 701	24 261	82 039 649	20 369	80 845 839	26 756	110 725 482	14 318	55 370 820					
Hematologia - hospitalizacja - pakiet onkologiczny	15 276	112 780 443	16 566	116 380 523	15 872	121 034 754	16 260	134 377 609	7 728	64 267 962					
Hematologia - hospitalizacja - s11, s12	1	16 636	1	1 136	3	3 407	1	753							
Hematologia - hospitalizacja - s21, s22, s23, pzs01, pzs02, pzs03			547	60 935 494	518	59 055 926	527	67 298 569	269	30 647 614					
Hematologia - hospitalizacja - świadczenia diagnostyki i leczenia onkologicznego - poza pakietem onkologicznym			30 862	138 134 334	25 826	123 339 336	28 899	151 390 030	14 820	65 357 604					
Hematologia - hospitalizacja świadczenia udzielane osobom do ukończenia 18. Roku życia (świadczenia finansowane odrębnie w psz)															
SZP															
Hematologia - rdrl - hospitalizacja					393	5 723 716	121	781 813							
Hematologia - hospitalizacja - s12	3	3 732	1	649											
Hematologia - hospitalizacja - s21, s22, s23	547	58 193 361													
Hematologia - hospitalizacja - świadczenia poza pakietem onkologicznym	27 044	116 849 061													
Onkologia i hematologia dziecięca - hospitalizacja - s21, s22, s23	71	16 414 892													
Onkologia i hematologia dziecięca - hospitalizacja - świadczenia poza pakietem onkologicznym	6 728	35 499 180													

kod rodzaju świadczeń	Nazwa zakresu świadczeń	2018		2019		2020		2021		2022	
		Liczba świadczeń	Wartość świadczeń	Liczba świadczeń	Wartość świadczeń	Liczba świadczeń	Wartość świadczeń	Liczba świadczeń	Wartość świadczeń	Liczba świadczeń	Wartość świadczeń
SZP	Onkologia i hematologia dziecięca - hospitalizacja	20 967	67 357 591	21 328	65 504 826	16 025	54 888 269	21 636	79 510 878	12 833	50 511 711
	Onkologia i hematologia dziecięca - hospitalizacja - pakiet onkologiczny	4 161	24 321 904	5 129	37 201 391	5 133	41 465 621	5 331	44 376 712	2 273	13 565 592
	Onkologia i hematologia dziecięca - hospitalizacja - pzs01,pzs02,pzs03			165	45 059 045	150	42 571 143	140	39 543 204	66	19 022 205
	Onkologia i hematologia dziecięca - hospitalizacja - świadczenia diagnostyki i leczenia onkologicznego - poza pakietem onkologicznym			8 836	48 215 109	8 693	48 017 817	9 134	45 387 074	4 471	18 943 102
	Onkologia i hematologia dziecięca - hospitalizacja -s11,s12			4	10 137	7	113 767	5	57 217	2	30 918
SZP Suma	Onkologia i hematologia dziecięca - rdrl - hospitalizacja					53	694 310	11	35 890		
	Onkologia i hematologia dziecięca - hospitalizacja -s12			1	450						
		103 550	528 461 500	107 701	593 482 743	93 042	577 753 905	108 829	673 492 669	56 792	317 727 522
Suma końcowa		714 501	578 189 396	727 080	646 307 352	651 501	627 479 014	722 750	739 574 037	375 019	355 302 416

Liczba i wartość sfinansowanych świadczeń z rozpoznaniem (głównym lub współlistniejącym) szpiczaka C90 oraz białaczki (C91, C92, C93, C94, C95, C96) w podziale na rodzaje świadczeń:

Rodzaj świadczeń	Rozpoznanie	Rok	Liczba świadczeń	Wartość świadczeń
AOS	Białaczka	2018	86 805	8 209 038
		2019	85 846	8 262 986
		2020	81 982	7 968 853
		2021	89 412	10 391 922
		2022	44 625	5 560 234
	Szpiczak	2018	32 865	3 520 741
		2019	32 619	3 689 543
		2020	33 594	3 758 638
		2021	36 293	4 809 185
		2022	18 548	2 630 648
SZP	Białaczka	2018	85 946	959 883 790
		2019	89 264	1 026 072 614
		2020	86 930	1 027 478 259
		2020	86 930	1 027 478 259
		2021	42 441	479 950 477
	Szpiczak	2018	74 718	402 569 204
		2019	79 421	457 103 630
		2020	78 968	547 409 089
		2021	89 308	582 729 622
		2022	48 491	273 129 405

Źródło: Dane NFZ na dzień 14 października 2022 r.

Liczba i wartość sfinansowanych świadczeń z rozpoznaniem (głównym lub współlistniejącym) szpiczaka C90 oraz białaczki (C91, C92, C93, C94, C95, C96) w podziale na typ umowy (UWAGA: Liczba świadczeń w podziale na typ umowy w stosunku do rodzaju świadczeń jest większa, gdyż część epizodów była rozliczona w kilku typach umowy np. hospitalizacja + radioterapia + leki):

Rok	Typ umowy	Liczba świadczeń	Wartość świadczeń
2018	Szpiczak_Chemioterapia	52 363	69 166 514
	Szpiczak_Oddziały szpitalne	16 349	122 218 157
	Szpiczak_Programy lekowe	11 507	205 691 811
	Szpiczak_Radioterapia	645	5 492 722
	Szpiczak_SOR/IP	104	0
	2018 Suma	80 968	402 569 204

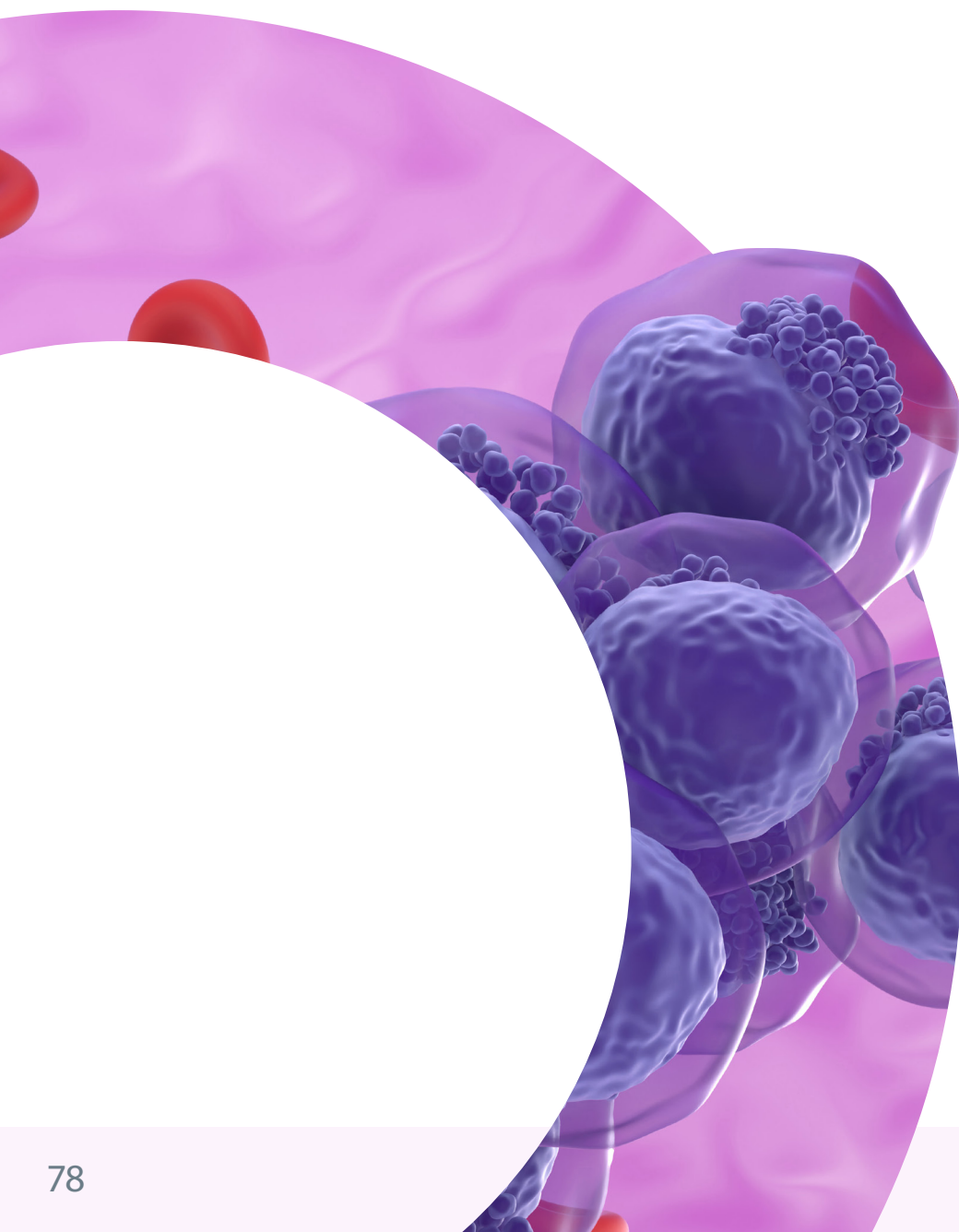
2019	Szpiczak_Chemioterapia	52 856	64 514 093
	Szpiczak_Oddziały szpitalne	16 860	124 423 117
	Szpiczak_Programy lekowe	16 653	263 055 387
	Szpiczak_Radioterapia	611	5 111 033
	Szpiczak_SOR/IP	129	0
2019 Suma		87 109	457 103 630
2020	Szpiczak_Chemioterapia	51 677	57 619 668
	Szpiczak_Oddziały szpitalne	14 829	118 769 127
	Szpiczak_Programy lekowe	20 372	365 935 516
	Szpiczak_Radioterapia	643	5 084 778
	Szpiczak_SOR/IP	1 058	0
2020 Suma		88 579	547 409 089
2021	Szpiczak_Chemioterapia	51 992	55 693 383
	Szpiczak_Oddziały szpitalne	14 997	139 667 636
	Szpiczak_Programy lekowe	21 021	381 344 821
	Szpiczak_Radioterapia	680	6 023 783
	Szpiczak_SOR/IP	618	0
2021 Suma		89 308	582 729 622
2022	Szpiczak_Chemioterapia	27 077	26 369 505
	Szpiczak_Oddziały szpitalne	7 521	71 038 791
	Szpiczak_Programy lekowe	13 481	172 433 971
	Szpiczak_Radioterapia	389	3 287 137
	Szpiczak_SOR/IP	23	0
2022 Suma		48 491	273 129 405
Suma końcowa		394 455	2 262 940 949

Źródło: Dane NFZ na dzień 14 października 2022 r.

Liczba kart DILO wystawionych w ostatnich latach:

Rok	Grupa	
	Białaczka	Szpiczak
2018	2 675	1 256
2019	2 520	1 258
2020	2 264	1 047
2021	2 339	1 102
2022	1 120	599
Suma końcowa	10 918	5 262

Źródło: Dane NFZ na dzień 14 października 2022 r.





PODSUMOWANIE

Szpiczak nie jest chorobą uleczalną – można go zaleczyć, ale jego zmienny charakter powoduje, że życie chorych toczy się według rytmu nawrotów, remisji i kolejnych linii leczenia. Jednak ten rytm – jak pokazują historie pacjentów – rozpoczyna się już na etapie odysei diagnostycznej, czyli zagubienia w skomplikowanym systemie, w którym brakuje kadr i koordynacji. Dolegliwości dotyczą różnych narządów, więc chorzy na szpizaka szukają pomocy u lekarzy rodzinnych, ortopedów czy reumatologów.

Ten rytm dotyczy obecnie ok. 10 tysięcy pacjentów w Polsce, wśród nich są trzydziestolatkowie, a co roku o diagnozie dowiaduje się ok. 3 tysięcy osób. Wiele wskazuje na to, że ta liczba będzie się zwiększać. Ryzyko złamania obojczyka podczas czytania książki brzmi niewiarygodnie, a jednak – z nim mierzą się często chorzy. Do tego z bólem i ze świadomością, że rak obejmuje całe ich ciało. To nie jest guz, którego można wyciąć czy naświetlać – to krew, która płynie w naszych żyłach.

Pomimo istotnych postępów w leczeniu i wydłużenia życia chorych do kilku lub nawet kilkunastu lat od postawienia diagnozy, wciąż wiele jest do zrobienia. Sytuacja chorych w Polsce poprawia się, ale odbiegamy od europejskich standardów.

Program lekowy zawiera szereg przestarzałych zapisów, które ograniczają możliwości leczenia – Ministerstwo Zdrowia powinno zmierzać w kierunku uproszczenia programu i pozostawienia lekarzom specjalistom więcej wolności, co przełożyłoby się na lepsze dobranie schematów leczenia do stanu zdrowia pacjentów, a więc i do uzyskiwania lepszych efektów zdrowotnych. Oczywiście wymaga to wglądu w kwestie finansowe i ekonomiczne, a żaden z producentów z osobna nie przedstawi dowodów naukowych i analiz dotyczących całego kompleksowego leczenia i możliwości poprawy zapisów złożonego programu lekowego w Polsce. Tę pracę powinna wykonać Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w porozumieniu z Ministerstwem Zdrowia – racjonalnych postulatów i pomysłów ze strony lekarzy specjalistów oraz organizacji pacjenckich nie brakuje.

Istotną kwestią jest umożliwienie stosowania droższego, ale najskuteczniejszego leczenia na wcześniejszych liniach leczenia i szerzej, niż to ma miejsce obecnie. Na pewno negocjacje producentów leków i Ministerstwa Zdrowia mogą doprowadzić do poprawy dostępu do nowoczesnych leków. Dzięki zapisom ustawy o refundacji leków można zastosować specjalne narzędzia finansowe, tzw. instrumenty dzielenia ryzyka – przy czym w hematologii szczególnie większe znaczenie należy przypisać porozumieniom opartym na uzyskiwanych efektach zdrowotnych. Minister Zdrowia w Polsce, zgodnie z zapisami obowiązującej ustawy refundacyjnej, powinien rozpatrywać wnioski refundacyjne w kolejności zgodnej z datą ich formalnego zgłoszenia – nadrzędną obowiązującą regułą jest „first in – first out”. I tak np. niezależnie od liczby opcji terapeutycznych w danym programie

lekowym istotne jest, jakie efekty zdrowotne przynosi chorym wnioskowana technologia medyczna względem opcjonalnych sposobów postępowania, jaki jest jej koszt w stosunku do efektu oraz jaki jest wpływ jej refundacji na wydatki płatnika.

Leki opłacalne, które w analizie ekonomicznej uzyskują dobre wyniki poniżej ustawowego progu opłacalności określonego na trzykrotności PKB/os./QALY powinny być – zgodnie z wolą ustawodawcy – refundowane. Na refundację nie powinny czekać technologie lekowe, które są wysoce opłacalne, czyli dla których wyniki ustawowo wymaganej analizy ekonomicznej plasują się poniżej dwukrotności, a tym bardziej jednokrotności progu opłacalności w Polsce.

Chorzy na szpiczaka, po usłyszeniu diagnozy, muszą sobie poukładać życie na nowo. To nie jest łatwe zadanie, a siłę do jego wykonania muszą znaleźć w sobie. Program leczenia szpiczaka nie wymaga ułożenia jego zapisów na nowo – wymaga uaktualnienia, a Minister Zdrowia może liczyć na wsparcie merytoryczne grona specjalistów, którzy oczekują większej wolności terapeutycznej – dla dobra pacjentów.

O Fundacji

Fundacja Watch Health Care (WHC) została założona w marcu 2010 r. Inspiracją do jej powstania była narastająca dysproporcja pomiędzy zawartością koszyka świadczeń gwarantowanych a wysokością środków finansowych ze składki na ubezpieczenie podstawowe, przeznaczanych na świadczenia zdrowotne w Polsce.

Od wielu lat mierzymy kolejki do lekarzy publikując wyniki w Barometrach WHC, wskazujemy palące problemy w systemie ochrony zdrowia i propagujemy Evidence-based Medicine.

Ponadto bezkompromisowo opisujemy najważniejsze wydarzenia w ochronie zdrowia w cyklach #WHCnews oraz #WHCshares na Facebooku. Nasze wpisy śledzą wszyscy, którzy chcą być na bieżąco z tym, co dzieje się w branży. Udało nam się zainspirować i połączyć siły największych stowarzyszeń i najlepszych ekspertów w ogólnopolskiej akcji #StopCelebrytyzacjiPseudonauki.



