

# ITP: stanowcze nie dla decyzji Ministerstwa Zdrowia



Fot. Archiwum

O terapii ratującej życie w pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ITP), różniących się standardach światowych i polskich mówi prof. Krystyna Zawilska z Uniwersytetu Medycznego w Poznaniu, przewodnicząca Grupy ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów.

## Na czym polega pierwotna małopłytkowość immunologiczna?

Pierwotna małopłytkowość immunologiczna stanowi najczęściej występującą nabytą szkodę krwotoczną. Choroba polega na tym, że organizm wytwarza przeciwciała przeciwko własnym płytkom krwi albo dochodzi do

nieprawidłowej odpowiedzi immunologicznej, której wynikiem jest zwiększone niszczenie płytek. W związku z tym następuje izolowana małopłytkowość. Pozostałe układy szpikowe funkcjonują całkiem dobrze.

## Jaka jest przyczyna choroby?

Nie znamy dokładnej przyczyny. Jest to choroba wynikająca z zaburzeń odporności, które powodują, że organizm traktuje własne komórki jak obce i niszczy je. W chorobie tej wykazano także zaburzenia wytwarzania płytek krwi w szpiku kostnym, co umożliwiło wprowadzenie nowych, bardzo skutecznych leków.

## Dlaczego jest to groźna choroba?

Obniżenie się liczby płytek krwi w organizmie powoduje problemy z jej krzepnięciem. W ITP dochodzi do powikłań krwotocznych. Jeśli są to powikłania skórne, krwawienia z dziąseł lub z nosa, nie są one groźne. Ale przy małej liczbie płytek krwi, zwłaszcza poniżej 10 tys./ $\mu\text{l}$ , istnieje zagrożenie wystąpienia ciężkich powikłań krwotocznych: krwawień z przewodu pokarmowego, z dróg rodnych i krwotoku wewnątrzczaszkowego, którego boimy się najbardziej, ponieważ najczęściej kończy się śmiercią albo inwalidztwem. U chorych, u których dwa lata po rozpoznaniu ITP liczba płytek krwi utrzymuje się na poziomie poniżej 30 tys./ $\mu\text{l}$ , śmiertelność jest zwiększona czterokrotnie. Ciężka małopłytkowość jest chorobą zagrażającą życiu.

## Czy można przeciwdziałać powikłaniom?

Trzeba leczyć w taki sposób, aby uzyskać wzrost liczby płytek krwi, chociaż powyżej 50 tys./ $\mu\text{l}$ . Tę wartość uważamy za w miarę bezpieczną.

## Jakie terapie mamy do dyspozycji?

W pierwszej linii leczenia stosujemy kortykosteroidy, powszechnie dostępne i refundowane. Niestety część pacjentów wykazuje na nie oporność. I wtedy musimy włączyć tzw. drugą linię leczenia: albo usunąć śledzionę, albo – w Polsce – zastosować leki immunosupresyjne, takie jak azatiopryna, cyklosporyna, mykofenolan mofetylu, rytuksymab. Ten ostatni nie jest w Polsce refundowany, choć to dobry lek. Splenektomię wykonujemy niechętnie, ponieważ usuwamy zdrowy narząd, a chorego narażamy na operację, powikłania zakrzepowe, a także na ryzyko zakażeń. Dlatego w Stanach

Zjednoczonych, krajach Europy Zachodniej, a nawet Europy Środkowo-Wschodniej w drugiej linii leczenia stosuje się nową generację leków, które umożliwiają u większości pacjentów uniknięcie zabiegu usunięcia śledziony, a także przyjmowania toksycznych leków immunosupresyjnych. Te nowe leki to agonści receptora trombopoetyny. Istnieje też grupa chorych, którzy nawet po usunięciu śledziony wykazują oporność na leczenie, i wtedy sytuacja staje się dramatyczna. Takich chorych nie mamy jak leczyć. Są oni narażeni na ciężkie powikłania krwotoczne i bardzo niską jakość życia. Zagraża im śmierć z powodu krwotoku wewnątrzczaszkowego. I u tych chorych, których jest stosunkowo niewiele, bo jest to ok. 150 osób rocznie, zastosowanie agonistów receptora trombopoetyny jest leczeniem ratującym życie.

**Jakie leki z tej grupy są zarejestrowane w Europie, a w Polsce jeszcze nierefundowane?**

Są to romiplostym i eltrombopag. Leki te przynoszą poprawę u 80 proc. chorych. Są bardzo dobrze tolerowane, mają mało działań ubocznych i naprawdę bardzo trudno zrozumieć, dlaczego nie zostały wpisane na listę refundacyjną. Są to przecież leki ratujące życie.

**Jak działają te leki, w czym przejawia się ich skuteczność?**

Stymulują one szpik kostny do wytwarzania płytek krwi. Działają na receptor trombopoetynowy, a trombopoetyna to substancja stymulująca wytwarzanie płytek krwi. Zwiększa się liczba wytwarzanych płytek i w ten sposób korygowany jest defekt towarzyszący ITP. Leki te rzeczywiście działają bardzo dobrze. Miałam możliwość uczestniczenia w badaniu klinicznym, w którym stosowano te preparaty. Pracowaliśmy ze stosunkowo dużą grupą chorych. Leki te zmieniają życie chorych. Liczba płytek krwi wzrasta powyżej 50 tys./ $\mu$ l, chorzy czują się bardzo dobrze, mogą prowadzić normalny tryb życia.

**Czyli standard leczenia drugiej linii w krajach Europy Zachodniej, a także Środkowo-Wschodniej jest niedostępny w Polsce.**

Tak, a leki te zostały zarejestrowane już w 2008 r., więc nie są najnowsze. Mamy duże doświadczenia w ich stosowaniu i jest wiele badań klinicznych nad nimi. Są skuteczne, bezpieczne, dobrze tolerowane, wielu pacjentów może wrócić do pracy. Grupa ds. Hemostazy wielokrotnie zwracała się do Ministerstwa, aby zostały objęte refundacją choć w trzeciej linii leczenia – dla chorych, u których splenektomia była nieskuteczna i w wypadku których nie ma innej możliwości leczenia. Leki immunosupresyjne są bardzo mało skuteczne, a przy tym toksyczne.

**„Mamy leki na małopłytkowość. Dają poprawę u 80 proc. chorych. Są bardzo dobrze tolerowane, mają mało działań ubocznych. Naprawdę bardzo trudno zrozumieć, dlaczego nie zostały wpisane na listę refundacyjną. To są przecież leki ratujące życie”**

**Jaka była odpowiedź Ministerstwa na państwa prośby?**

AOTMiT wydała pozytywną rekomendację, bo trudno nie docenić skuteczności tych leków ze względu na największe badania kliniczne nad ITP. Skuteczność tych leków wynosi 80 proc.! W dodatku okazało się, że u części pacjentów po 5 latach przyjmowania można je w ogóle odstawić, jeśli uzyskano remisję choroby. Płytki krwi utrzymują się powyżej 50 tys./ $\mu$ l. AOTMiT oceniła więc preparaty pozytywnie, wszystko rozbiło się o decyzję refundacyjną w resorcie zdrowia.

**Czy leki są drogie?**

Nie, miesięczna kuracja nie przekracza 9 tys. zł. Nie jest to dużo w porównaniu z innymi terapiami ratującymi życie. Komisja Ekonomiczna mimo pozytywnej analizy kosztowej refundację zaopiniowała negatywnie. Nie rozumiem, jaki jest powód braku refundacji tych leków. W krajach bogatych podaje się je w drugiej linii leczenia jako alternatywę dla splenektomii, którą tam wykonuje się rzadko. My już nawet tego się nie domagamy. Nam chodzi o tę nieliczną grupę chorych, u których splenektomia była nieskuteczna.

**Co mówią polskie wytyczne na temat agonistów receptora trombopoetyny?**

Na świecie leki te stanowią drugą linię leczenia, ale nie wiem, czy polski system ochrony zdrowia udźwignąłby ich finansowanie dla wszystkich potrzebujących, bo wtedy grupa ta byłaby kilkakrotnie większa niż grupa pacjentów z opornością po splenektomii. W Polsce jest zatem alternatywa – albo preparaty immunosupresyjne, albo splenektomia. Leczenie agonistami trombopoetyny osób opornych na kortykosteroidy po splenektomii stanowi natomiast terapię ratującą życie i to leczenie powinno być w Polsce dostępne.

*Rozmawiała Marta Koblańska*