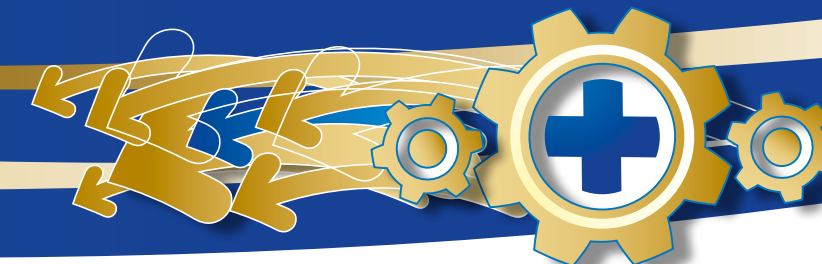




## PRIORYTETY W OCHRONIE ZDROWIA 2024



# Gdy człowieka atakuje własny system odporności – dostępność leczenia chorób autoimmunologicznych

Podczas konferencji Priorytety w Ochronie Zdrowia 2024 dyskutowano na temat konieczności zapewnienia opieki personalizowanej pacjentom z chorobami autoimmunologicznymi. Ekspersi opisywali dolegliwości, z jakimi muszą się borykać chorzy na osteoporozę, przewlekłe zapalenie zatok z polipami nosa (PZZPN) czy nefropatię toczniową. Mówili także o lekach, które mogą złagodzić ich cierpienie. W debacie o niezaspokojonych potrzebach pacjentów uczestniczyli także przedstawiciele Ministerstwa Zdrowia.

Choroby autoimmunologiczne dotyczą przede wszystkim ludzi młodych, którzy często dopiero wkraczają w dorosłe życie. Ważne jest zapewnienie im odpowiedniej opieki medycznej, wczesnej diagnozy i dostępu do skutecznego leczenia, aby mogli normalnie funkcjonować w społeczeństwie, zakładać rodziny, studiować, pracować i realizować swoje plany życiowe.

### Zapalenie nosa i zatok – nie ma leczenia przyczynowego

Priorytety w Ochronie Zdrowia 2024 i poszczególne panele dyskusyjne zgromadziły najznamienitszych ekspertów w Polsce. W trakcie sesji poświęconej konieczności leczenia personalizowanego w chorobach autoimmunologicznych prof. dr hab. n. med. Dariusz Jurkiewicz, prezes Polskiego Towarzystwa Otorinolaryngologów, Chirurgów Głowy i Szyi, kierownik Kliniki Otolaryngologii i Onkologii Laryngologicznej z Klinicznym Oddziałem Chirurgii Czaszkowo-Szczękowo-Twarzowej Wojskowego Instytutu Medycznego w Warszawie, podjął wątek niezaspokojonych potrzeb medycznych i priorytetów w zakresie terapii przewlekłego zapalenia nosa i zatok przynosowych z polipami nosa u osób dorosłych.

Polipy nosa powstają w zatokach i początkowo przebieg choroby jest skąpowymowy. Kiedy natomiast przechodzą z zatok do jam nosowych, pacjenci zgłaszają objawy ogólne: niedrożność nosa, wycieki z nosa, zaburzenie węchu i bóle, w tym rozpieranie głowy.

– To choroba dość częsta. Jej przyczyna nie jest do końca znana i na pewno na jej wystąpienie wpływa wiele czynników – genetycznych, środowiskowych, immunologicznych i autoimmunologicznych. Cały czas poszukujemy rozwiązań, które pozwoliłyby leczyć naszych pacjentów



### W DEBACIE PT. „CHOROBY AUTOIMMUNOLOGICZNE – DLACZEGO POTRZEBUJEMY OPIEKI PERSONALIZOWANEJ?” UCZESTNICZYLI:

- **Hubert Godziątkowski** – prezes Polskiego Towarzystwa Chorób Atopowych
- **prof. dr hab. n. med. Dariusz Jurkiewicz** – prezes Polskiego Towarzystwa Otorinolaryngologów, Chirurgów Głowy i Szyi, kierownik Kliniki Otolaryngologii i Onkologii Laryngologicznej z Klinicznym Oddziałem Chirurgii Czaszkowo-Szczękowo-Twarzowej, Wojskowy Instytut Medyczny w Warszawie
- **prof. dr hab. n. med. Brygida Kwiatkowska** – konsultant krajowa w dziedzinie reumatologii, kierownik Kliniki Wczesnego Zapalenia Stawów w Narodowym Instytucie Geriatrii, Reumatologii i Rehabilitacji w Warszawie
- **Mateusz Oczkowski** – Ministerstwo Zdrowia
- **prof. dr hab. n. med. Tomasz Stompór** – kierownik Kliniki Nefrologii, Hipertensjologii i Chorób Wewnętrznych, Uniwersytet Warmińsko-Mazurski w Olsztynie

skutecznie. Od kilku lat podkreśla się, że olbrzymi udział w powstawaniu polipów nosa ma zapalenie typu drugiego, czyli związane z limfocytami Th2, które wydzielają odpowiednie cytokiny i inicjują, a także podtrzymują proces zapalny – wyjaśniał

prof. Dariusz Jurkiewicz. Odnosząc się do opcji terapeutycznych, wskazał, że od kiedy zaczęto stwierdzać polipy, stosowane jest leczenie chirurgiczne – operacyjne usuwanie polipów nosa i zmian zapalnych zatok przynosowych.

– Nie ma leczenia przyczynowego. Pacjent jest narażony na kolejne zabiegi, które pomagają doraźnie i często są powtarzane. Każdy kolejny zabieg to ryzyko pojawienia się powikłań. Ponadto przy usuwaniu zmian polipowatych z nosa i zatok przy-

nosowych za każdym razem usuwamy też prawidłowe struktury, aby się dostać do tych zmian. Mimo że zabiegi są wykonywane endoskopowo, każdy, nawet najlepszy ośrodek odnotowuje powikłania. Mogą to być zaburzenia widzenia aż do utraty wzroku, uszkodzenie przedniego dołu czaszki, płynotok, zapalenie opon mózgowych, ropień mózgu – dodał ekspert.

Profesor Dariusz Jurkiewicz podkreślił, że zabiegi, nawet wykonywane wielokrotnie i przy wykorzystaniu różnych zdobyczy nowoczesnej techniki medycznej, niestety nie pozwalają kontrolować choroby. Dlatego w procesie terapii dużą uwagę zwraca się na leczenie farmakologiczne i zawsze zaczyna się od jego maksymalnej formy. – Chcielibyśmy maksymalnie wydłużyć okres remisji lub stworzyć taką sytuację, że pacjent nie będzie narażony na kolejne zabiegi. Od 7–8 lat jest możliwość zastosowania leków biologicznych, które wpływają na mechanizmy przewlekłego zapalenia typu Th2. W większości krajów europejskich i w Stanach Zjednoczonych takie leczenie jest stosowane, szczególnie w przypadkach trudnych, z powtarzającymi się zapaleniami. Są wyniki badań, które pokazują, że jego wdrożenie po leczeniu chirurgicznym stwarza bardzo duże szanse na długie okresy remisji między zabiegami i zapewnia komfort pacjentowi oraz zadowolenie lekarzowi – zaznaczył ekspert.

Jak się okazuje, w tym roku jest szansa na taki program lekowy w Polsce. Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) w 2023 r. wyraziła pozytywną opinię w kwestii zastosowania leczenia biologicznego.

– Można mówić, że polipy nosa czy zapalenie zatok to choroba błaha. Nie zagraża ona życiu, ale na pewno znacznie zmniejsza jego komfort. Jest powodem dużej absencji w pracy i pogorszenia jakości pracy. Możliwość zastosowania leczenia biologicznego to szansa na skuteczne leczenie. Mówimy o pewnej innowacyjności, nowoczesnym leczeniu. Chcemy podkreślić stanowisko Polskiego Towarzystwa Otorinolaryngologów, Chirurgów Głowy i Szyi. Chcemy, żeby to był standard leczenia, a nie innowacja. W Polsce są to nowe metody, natomiast w Europie



Fot. Szymon Czerwiński



Fot. Szymon Czerwiński

”

prof. Dariusz Jurkiewicz: Od kilku lat podkreśla się, że olbrzymi udział w powstawaniu polipów nosa ma zapalenie typu drugiego, czyli związane z limfocytami Th2, które wydzielają odpowiednie cytokiny i inicjują, a także podtrzymują proces zapalny

”

Hubert Godziątkowski: Dysponujemy badaniami, które pokazują, że jakość życia pacjentów z przewlekłym zapaleniem zatok przynosowych z polipami nosa jest taka sama, a czasami nawet niższa niż u pacjentów na przykład z chorobą Parkinsona czy chorobą wieńcową

i na świecie to już standardy medyczne – zauważył prof. Dariusz Jurkiewicz.

Lekarze mają już doświadczenie z dupilumabem, który został zarejestrowany pod koniec 2019 r. w Unii Europejskiej i oceniony przez AOTMiT. Do leczenia biologicznego tym preparatem ma już dostęp ok. 300 pacjentów z astmą ciężką i ok. 600 z atopowym zapaleniem skóry. Profesor Dariusz Jurkiewicz prowadził badania kliniczne z tym lekiem.

– W przypadku leczenia biologicznego poprawa jest radykalna i pacjenci są zadowoleni. Mało tego, pacjenci już wiedzą, że takie leczenie jest, zgłaszają się do mnie tacy, którzy chcieliby z niego skorzystać – relacjonował.

O znaczeniu dostępu do leczenia dupilumabem z perspektywy pacjentów mówił Hubert Godziątkowski, prezes Polskiego Towarzystwa Chorób Atopowych. Organizacja ta ma kilkuletnie doświadczenie,

jeżeli chodzi o dostępność leczenia biologicznego w programach lekowych w leczeniu astmy oraz atopowego zapalenia skóry, i na tej podstawie potwierdza jego skuteczność i bezpieczeństwo.

– Dysponujemy badaniami, które pokazują, że jakość życia pacjentów z przewlekłym zapaleniem zatok przynosowych z polipami nosa jest taka sama, a czasami nawet niższa niż u pacjentów na przykład z chorobą Parkinsona czy chorobą wieńcową. Populację chorych oszacowano na 16–20 tys. osób. Pacjenci, którzy wymagają najpilniej wsparcia i dostępu do leczenia, to grupa ok. 2000 osób – mówił Hubert Godziątkowski. Zauważył, że choroba generuje dosyć duże koszty społeczno-ekonomiczne, co potwierdzają dane ZUS.

– Zaczęliśmy mówić o polipach nosa już dosyć dawno. Pacjenci najbardziej potrzebujący wsparcia zaczęli się do nas zgłaszać, ale w tej chwili nie mamy możliwości, by

im pomóc, nawet w komunikacji – stwierdził.

Na pytanie o możliwość refundacji nowych terapii dla pacjentów z polipami nosa Mateusz Oczkowski, zastępca dyrektora Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji w Ministerstwie Zdrowia, odpowiedział, że najpierw musi być złożony wniosek.

– Do tej pory nie było żadnych możliwości, jeśli chodzi o nowe rozwiązania dla tych pacjentów. Pojawiły się one wraz ze złożeniem wniosku refundacyjnego dla dupilumabu w zakresie leczenia zatok z polipami nosa – wyjaśnił.

Przedstawiciel resortu przyznał, że terapia dupilumabem dla płatnika publicznego jest droższa od zabiegu usunięcia polipów – koszt zabiegu to ok. 5 tys. zł, a leczenie dupilumabem to wydatek kilkudziesięciu tysięcy złotych rocznie.

– Lek jest już na etapie podejmowania decyzji refundacyjnej. Zastanawiamy się, czy nie poczekać na drugie przeciwcało monoklonalne – mepolizumab. Kiedy wprowadzamy nowe technologie, nowe programy lekowe, to robimy to za jednym razem, aby była większa konkurencja cenowa, a nie tylko terapeutyczna dla specjalistów i pacjentów – wyjaśnił Mateusz Oczkowski.

### Nefropatia toczniowa i nowe terapie

Profesor dr hab. n. med. Tomasz Stompór, kierownik Kliniki Nefrologii, Hipertensjologii i Chorób Wewnętrznych Uniwersytetu Warmińsko-Mazurskiego w Olsztynie, specjalista m.in. w zakresie nefropatii w przebiegu tocznia rumieniowatego układu, przedstawił sytuację chorych w Polsce i możliwości leczenia.

– Te choroby dotyczą ludzi młodych. W toczniowym zapaleniu nerek – wolę używać takiej nazwy – czy w toczniu w ogóle dotyczy to szczególnej grupy młodych ludzi – kobiet w okresie rozrodczym. Tocznie to choroba, która nie spełnia kryterium choroby rzadkiej. Występuje u 30–40 osób na 100 tys. Stosunek liczby kobiet do mężczyzn wynosi 9 : 1. Jest chorobą dewastującą cały organizm, uszkadza wiele narządów. Atakuje układ hematologiczny, płuca, serce, stawy, skórę. Nerki są obciążone najbardziej. Zajęcie nerek, zwłaszcza tzw. po-





# PRIORYTETY W OCHRONIE ZDROWIA 2024



Fot. Szymon Czerwiński



Fot. Archiwum



Fot. Szymon Czerwiński

”

Mateusz Oczkowski: *Poprzedni rok był wyjątkowy, bo pojawiła się nowa terapia celowana w toczeniu rumieniowatym układowym w ramach nowego programu lekowego: leczenie anifrolumabem*

staci proliferacyjne, jest zawsze związane z najpoważniejszym rokowaniem. Problem polega na tym, że podstawą terapii są leki, które bardzo często nie mają rejestracji do leczenia toczenia, a tym bardziej toczeniowego zapalenia nerek. W cięższych postaciach stosujemy steroidy z mykofenolanem mofetylu. To lek „pożyczony” z transplantologii, który ma badania, ale nigdy nie przeszedł formalnego procesu rejestracyjnego, jeśli chodzi o zastosowanie w toczeniu. Inaczej jest z cyklofosfamidem – można go stosować, ale to lek niesłychanie toksyczny. Mamy również dwa leki biologiczne, które bardziej są przeznaczone dla pacjentów z toczeniem rumieniowatym układowym, ale mają raczej analizy post hoc odnośnie do toczeniowego zapalenia nerek – mówił. Profesor Tomasz Stompór zauważył, że pojawia się nowy preparat – nowatorski przedstawiciel starej grupy, jaką są inhibitory kalcyneury. Jej klasyczni przedstawiciele to znana od wielu lat cyklosporyna i takrolimus. – Mam na myśli woklosporynę – lek, który ma przeprowadzone badania u pacjentów z tzw. klasą trzecią i czwartą toczeniowego zapalenia nerek. Ewidentnie znacznie częściej wprowadza pacjentów w remisję w porównaniu z terapią, z którą go konfrontowano. Pozwala na dłuższe utrzymanie remisji czy wręcz na uzyskanie stałej odległej remisji, wyrażonej zazwyczaj jako spadek białkomoczu i/lub zahamowanie spadku filtracji kłębuszkowej, a przez to chroni czynność nerek. Badania z woklosporyną pokazują,

”

prof. Tomasz Stompór: *Badania z woklosporyną pokazują, że jesteśmy w stanie wprowadzić pacjentów w remisję i ją utrzymać, znacznie redukując ekspozycję na steroidy*

że jesteśmy w stanie wprowadzić pacjentów w remisję i ją utrzymać, znacznie redukując ekspozycję na steroidy – podkreślił. Ekspert dodał, że steroidoterapia wiąże się z objawami ubocznymi i mnóstwem szkód.

Jak wyliczył prof. Tomasz Stompór, z woklosporyny mogłoby skorzystać 5–6 nowych pacjentów na 100 tys. osób rocznie. A co z refundacją?

– Poprzedni rok był wyjątkowy, bo pojawiła się nowa terapia celowana w toczeniu rumieniowatym układowym w ramach nowego programu lekowego: leczenie anifrolumabem. Wniosek dotyczący woklosporyny został złożony w ramach kategorii dostępności aptecznej. To zlecenie jest u mnie na biurku i teraz trzeba je przekazać do oceny AOTMiT. Będzie miała na to 2 miesiące – poinformował Mateusz Oczkowski. Dodał, że w zakresie chorób nerek w ubiegłym roku pojawiło się kilka pozycji w ramach dostępności aptecznej (flozyny, finerenon, aminokwasy i ketoanalogi) w ramach programu lekowego B.113 – leczenie pacjentów z chorobami nerek (ICD-10: N18). Obecnie w procesie refundacyjnym jest rozszerzenie wskazań w niewydolności nerek dla kolejnych flozyn.

### Osteoporoza dotyka głównie kobiety

Kobiety częściej chorują na choroby autoimmunologiczne. To efekt posiadania dwóch chromosomów X. Na dodatek występuje u nich zjawisko poliautoimmuni-

”

prof. Brygida Kwiatkowska: *Należy zainicjować szeroką akcję wczesnego wykrywania i dobrego leczenia osteoporozy. Jeśli chodzi o prewencję, to zalecenia są proste – ruch, budowanie mięśni, a ponadto dieta bogata w wapń i uzupełnianie witaminy D*

zacji – przy jednej chorobie pojawiają się kolejne.

– Jest pewna ogólna niewiedza – wszyscy wiemy, że kobiety w okresie pomenopauzalnym mają bardzo duże ryzyko rozwoju osteoporozy, ale nie wiemy, że z taką samą częstością choroba ta występuje u mężczyzn powyżej 70. roku życia. Zwiększyła się długość życia, obecnie tacy mężczyźni są aktywni fizycznie, a nawet zawodowo. W Polsce osteoporozę się bagatelizuje – zauważyła prof. dr hab. n. med. Brygida Kwiatkowska, kierownik Kliniki Wczesnego Zapalenia Stawów w Narodowym Instytucie Geriatrii, Reumatologii i Rehabilitacji w Warszawie, konsultant krajowa w dziedzinie reumatologii.

– Statystyka pokazuje, że w Polsce jest ok. 2 mln chorych na osteoporozę, ale tylko 60–80 proc. ma postawioną diagnozę, a zaledwie 5 proc. się leczy. Przeznaczamy wydatki bezpośrednio głównie na konsekwencje osteoporozy, czyli złamania niskoenergetyczne – kiedy chory upada z własnej wysokości i cokolwiek się łamie, to już wiadomo, że ma osteoporozę. Często te złamania są bagatelizowane. Są to powolne złamania kręgosłupa, w wyniku których dochodzi do obniżenia wzrostu – wyjaśniła prof. Brygida Kwiatkowska. Dodała, że lekarze rodzinni powinni mierzyć kobiety po 50. roku życia i mężczyzn po 70. roku życia i w przypadku zmniejszenia wzrostu kierować ich na diagnostykę.

– Drugim problemem jest leczenie endoprotezoplastyką. W związku ze złamania-

mi niskoenergetycznymi na endoprotezy przeznaczają się 70 proc. kosztów bezpośrednich całej osteoporozy. U części chorych poprawia to jakość życia, ale go nie wydłuża. Wykazano, że po 70. roku życia 23 proc. kobiet umiera w pierwszym roku po wykonaniu endoprotezy, natomiast po 50. roku życia 2 proc. – mówiła ekspertka. – Należy zainicjować szeroką akcję wczesnego wykrywania i dobrego leczenia osteoporozy. Jeśli chodzi o prewencję, to zalecenia są proste – ruch, niekoniecznie wyczynowy czy bardzo wysiłkowy, budowanie mięśni (osteoporoza często łączy się z ubytkiem masy mięśniowej, tzw. sarkopenią), a ponadto dieta bogata w wapń i uzupełnianie witaminy D – dodała.

– W przypadku osteoporozy rzeczywistość jest problemem compliance, dlatego że dopóki nie boli, to bardzo dużo kobiet nie kontynuuje leczenia. W pierwszych fazach leczenia jest przewlekłe. Jeżeli dojdzie do złamania, powinniśmy rzeczywiście do maksimum zredukować ryzyko kolejnych złamań. Niestety od lat nie mamy żadnych leków z grupy anabolicznych. Wszystkie badania wykazały, że jeżeli dokonano się jakiegokolwiek złamania, to jedynie leki anaboliczne są w stanie zwiększyć masę kostną i zapobiegać kolejnym złamaniom. Na tym etapie zatrzymanie choroby i odbudowanie masy kostnej przez stosowanie leków anabolicznych jest absolutnie uzasadnione. W tej chwili zgodnie z rekomendacjami leki anaboliczne nie powinny być stosowane do końca życia, tylko przez rok. Ratujemy ludzi i zabezpieczamy ich przed śmiercią – podkreśliła prof. Brygida Kwiatkowska. Dodała, że liczba chorych, którzy wymagają leczenia zabezpieczającego przed kolejnym złamaniem, nie jest duża.

– Lek o nazwie romosozumab, zarejestrowany w 2019 r., jest szansą dla tych pacjentów. Po rocznym leczeniu przechodzi się na leki, które będą kontynuować dobrostan pacjenta w utrzymywaniu masy kostnej. Na szczęście w przypadku niektórych leków ochrona patentowa się skończyła i liczę na to, że będzie możliwość poszerzenia wskazań. Drugą rzeczą dającą nadzieję na przyszłość są bardzo dobre wyniki badania, które potwierdzają skuteczność romosozumabu w osteoporozie posteroidej. Nawet w tej bardzo trudnej grupie chorych romosozumab też będzie skuteczny, na co bardzo liczę – podsumowała ekspertka. Mateusz Oczkowski zapewnił, że Ministerstwo Zdrowia jest w ciągłym kontakcie z prof. Brygidą Kwiatkowską, a proces związany z refundacją romosozumabu trwa. – Jest już pozytywna rekomendacja prezesa AOTMiT z warunkiem dla firmy, która zapozna się z nim, przychodząc na negocjacje, tak aby znalazł się w polskim systemie refundacji – stwierdził.

Joanna Lis