



RAPORT INSTYTUTU OCHRONY ZDROWIA

# Przyszłość hematoonkologii w Polsce

- PODSUMOWANIE
- REKOMENDACJE
- WNIOSKI



ISBN 978-83-962297-8-6

© Copyright by Instytut Ochrony Zdrowia w Polsce.

Wszelkie prawa zastrzeżone. Autorem niniejszego opracowania jest Instytut Ochrony Zdrowia.

Opracowanie jest chronione prawami autorskimi.

Żadna część opracowania nie może być kopiowana bądź wykorzystywana przez jakąkolwiek osobę trzecią bez uzyskania pisemnej zgody Instytutu Ochrony Zdrowia.

Instytut Ochrony Zdrowia nie ponosi odpowiedzialności za jakiegokolwiek ewentualne decyzje i ich skutki, jakie zostaną podjęte na podstawie niniejszego opracowania.



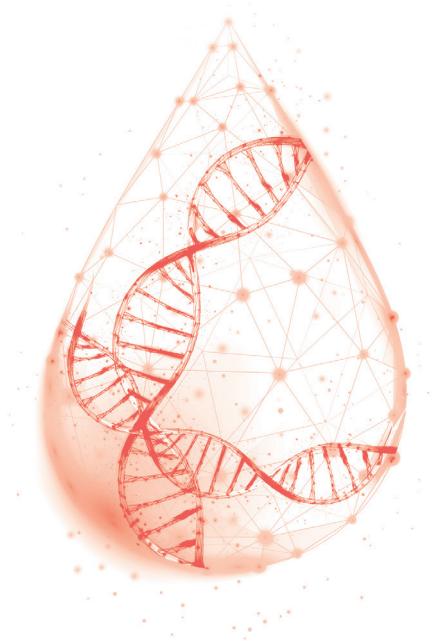
**Instytut Ochrony Zdrowia**

ul. Filtrowa 70 lok. 5  
02-057 Warszawa  
e-mail: [biuro@ioz.org.pl](mailto:biuro@ioz.org.pl)  
[www.ioz.org.pl](http://www.ioz.org.pl)

RAPORT INSTYTUTU OCHRONY ZDROWIA

# Przyszłość hematoonkologii w Polsce

- PODSUMOWANIE
- REKOMENDACJE
- WNIOSKI



Warszawa, sierpień 2024



**W** ramach debat organizowanych przez Instytut Ochrony Zdrowia wypracowano wnioski dotyczące poprawy wyników leczenia szpiczaka plazmacytowego.

Poprawa wyników leczenia szpiczaka plazmacytowego w Polsce wymaga dostępu do nowych terapii opartych na przeciwciałach bispecyficznych, stanowiących ratunek dla pacjentów z chorobą zaawansowaną oraz udostępnienia danych z rejestru programu lekowego w celu oceny i zwiększenia efektywności terapii – wskazują analizy Instytutu Ochrony Zdrowia.

Rozwój nowych terapii poprawił znacząco pierwszą i drugą linię leczenia. Jednak specyfika choroby rodzi wyzwania związane z jej nawroto-

wością oraz z nabywaną przez pacjentów opornością na terapię. Problemem staje się leczenie chorych, którzy wykorzystali już dostępne opcje terapeutyczne i dla których tradycyjna chemioterapia jest zbyt obciążającym i nieskutecznym rozwiązaniem. Odpowiedzią są przeciwciała bispecyficzne, których wyniki wskazują dwukrotne wydłużenie czasu do progresji choroby i przeżycia całkowitego vs. terapia standardowa.

Obok refundacji nowych terapii warunkiem poprawy wyników leczenia szpiczaka plazmacytowego w Polsce jest udostępnianie danych z rejestru programu lekowego (SMPT), co pozwoli na ocenę i zwiększenie efektywności interwencji medycznych.

## **NIEZASPOKOJONA POTRZEBA KLINICZNA**

Profesor Dominik Dytfeld, prezes Polskiego Konsorcjum Szpiczakowego z Kliniki Hematologii i Chorób Rozrostowych Układu Krwiotwórczego w Poznaniu podkreśla, że szpiczak jest chorobą nieuleczalną oraz wieloliniową i dlatego cały czas potrzebne są nowe terapie, mimo zupełnie szerokiego spektrum leków, które są obecnie dostępne w refundacji. Choroba z czasem staje się oporna i dlatego tak ważne jest pojawianie się nowych cząsteczek.

– Muszą pojawiać się nowe leki, żeby zabezpieczyć pacjentów, którzy nawet na te nowoczesne, dostępne terapie stają się oporni. Stąd apel środowiska, zarówno lekarzy, hematologów, czy lekarzy zajmujących się leczeniem tej choroby, jak również pacjentów, by dostępność do nowych terapii zwiększać – wyjaśnia.

Ekspert wskazuje na potrzebę refundacji terapii przeciwciałami dwuswoistymi w Polsce.

– Tych cząsteczek bardzo brakuje, bo zabezpieczenie początkowej fazy szpiczaka nie ułatwia problemu leczenia pacjentów z chorobą oporną, nawrotową w tej bardziej zaawansowanej postaci – zaznacza.

Pacjenci ze szpiczakiem od 3–4 linii leczenia to chorzy z zaawansowaną chorobą, mocno przeleczeni, dla których tradycyjna chemioterapia jest zbyt dużym i mało skutecznym obciążeniem. Tymczasem z każdą kolejną linią leczenia zmniejszają się szanse na uzyskanie długich remisji i często rozwija się oporność na różne klasy leków. Obecnie dla tej grupy chorych nie ma w refundacji dobrze tolerowanego i skutecznego leczenia, które mogłoby wydłużyć czas do progresji przy jednoczesnej poprawie jakości życia.

– Potrzeby refundacyjne zawsze będą, bo postęp medycyny jest ogromny, więc żebyśmy leczyli zgodnie ze standardami obowiązującymi na świecie, musimy cały czas na bieżąco starać się o to, aby nowe cząsteczki były refundowane

bez opóźnień po rejestracji europejskiej – podsumowuje prof. Ewa Lech-Marańda, konsultant krajowa w dziedzinie hematologii, dyrektor Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie.

## **REFUNDACJA PRZECIWCIAŁ BISPECYFICZNYCH WŚRÓD PRIORYTETÓW HEMATOLOGII**

Krajowa konsultant w dziedzinie hematologii prof. Ewa Lech-Marańda wśród najpilniejszych potrzeb refundacyjnych dla chorych na szpiczaka wymienia przeciwciała bispecyficzne. Terapie oparte na przeciwciałach bispecyficznych znajdują się liście TOP 10 priorytetów w hematologii wskazanych przez ekspertów Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów.

Terapie przeciwciałami bispecyficznymi już na etapie rejestracji oceniane są w zakresie terapii o wysokim potencjale do spełnienia niezaspokojonych potrzeb medycznych pacjentów.

Są również rekomendowane przez wytyczne leczenia szpiczaka plazmocytomowego Polskiej Grupy Szpiczakowej, NCCN, EHA-ESMO.

– To nie są terapie, które są pojedynczym leczeniem. My widzimy je w ciągu terapeutycznym. Poprawiając pierwszą i drugą linię leczenia, pojawiają się coraz większe wyzwania, co robić w przypadkach nawrotowych albo w przypadkach oporności na terapię. Jest to na pewno niezabezpieczona potrzeba medyczna, a dla tej grupy pacjentów najbardziej skuteczna terapia. Bo ci pacjenci już często są oporni na chemioterapię. To też terapia, która jest lepiej tolerowana – wskazuje prof. Krzysztof Giannopoulos, kierownik Zakładu Hematoonkologii Doświadczalnej UM w Lublinie, kierujący Oddziałem Hematologicznym Centrum Onkologii Ziemi Lubelskiej im. św. Jana z Dukli.

## MECHANIZM DZIAŁANIA PRZECIWCIAŁ BISPECYFICZNYCH

Bispecyficzne przeciwciała angażują limfocyty T pacjenta, wiążąc je z dowolnym antygenem swoistym dla nowotworu i aktywują cytotoksyczne działania limfocytów w celu eliminacji komórek nowotworowych.

Profesor Krzysztof Giannopoulos wyjaśnia, że przeciwciała bispecyficzne to przeciwciała monoklonalne, które rozpoznają zarówno komórkę nowotworową, jak i komórkę odpornościową. W ten sposób dochodzi do zaangażowania limfocytów T w walkę z komórkami nowotworu.

– To naśladowanie sposobu działania układu odpornościowego. Limfocyt cytotoksyczny, będąc w pobliżu komórki nowotworowej, rozpoznaje ją jako obcą i wytwarza odpowiedź cytotoksyczną, pozbywając się nieprawidłowych komórek. Jest to więc zarówno terapia celowana na komórki nieprawidłowe i swoista, bo wykorzystuje układ odpornościowy – tłumaczy.

– Przeciwciała bispecyficzne zrewolucjonizowały leczenie hematologiczne. W szpiczaku plazmacytowym jest bardzo duża potrzeba dołączenia ich do całego zestawu leków. To bardzo zmieni sytuację pacjentów z chorobą oporną i nawrotową – dodaje prof. Ewa Lech-Marańda

## REWOLUCJA W TERAPIACH HEMATOONKOLOGICZNYCH

Zdaniem prof. Krzysztofa Giannopoulosa, obserwujemy obecnie zmierzch chemioterapii i przejście w kierunku terapii immunologicznych. – Mamy dwa główne nurty rozwoju tych terapii. Pierwszy to są technologie CAR-T, natomiast drugi obszar, równolegle rozwijający się, a w niektórych wskazaniach wydaje się, że nawet wyprzedzający technologię CAR-T, to przeciwciała dwuswoiste lub bispecyficzne. To są terapie gotowe do użycia,

których nie musimy generować, w odróżnieniu od technologii CAR-T. Mechanizm ich działania przypomina terapie CAR-T, z tą różnicą, że wykorzystują one niezmodyfikowane genetycznie limfocyty chorego. W momencie gdy pacjent wymaga leczenia, terapia jest na półce i można ją od razu podać – zaznacza.

## APEL PACJENTÓW

Łukasz Rokicki, prezes Fundacji Caritas Życze Szpiczakiem im. Wiesławy Adamiec wskazuje, że w innych krajach UE bispecyfikami są już refundowane.

– Jest wielka potrzeba, żeby pacjenci w wyższych liniach leczenia, którzy chorują od lat byli dobrze zabezpieczeni – apeluje. – Znam chorych, którzy mieli możliwość skorzystania z tej terapii, między innymi szef europejskiej organizacji pacjentów ze szpiczakiem Myeloma Patients Europe (MPE) Hans Scheurer, który po dziewięciu liniach leczenia zaczął być leczony bispecyfikami i osiągnął pełną remisję. Znowu czuje się zdrowy i bardzo trzymamy kciuki za to, żeby te terapie też się u nas pojawiły – zaznacza.

Anna Kupiecka, prezeska Fundacji OnkoCafe – Razem Lepiej podkreśla, że udostępnianie nowych terapii pokazało, że możemy dzięki temu wydłużyć życie pacjentów, jednocześnie poprawiając jego jakość. A to, oprócz nadziei na długie życie, jest najważniejsze. Dla chorego – owszem – ważne jest, ile żyje, ale również ważne, w jakiej jakości – czy może normalnie funkcjonować z dziećmi, rodziną, czy może pracować. Nawet kiedy nie mówimy o stuprocentowym wyleczeniu, bo tego jeszcze nie wiemy, to bardzo ważne jest, aby tych pacjentów w kolejnych liniach nie opuszczać. Uzupełniać te linie, jeśli odkrycia medycyny na to pozwalają, iść dalej – apeluje.

## **PARLAMENTARZYŚCI O DECYZJACH REFUNDACYJNYCH W HEMATOONKOLOGII**

– Efektywność leczenia i dobrostan pacjenta są ogromnie ważne i te elementy muszą być wyważone przy decyzjach refundacyjnych – wskazuje dr Beata Małecka-Libera, przewodnicząca senackiej Komisji Zdrowia.

– Bardzo ważne jest wprowadzanie na listę refundacyjną nowych leków, bo postęp w hematologii jest ogromny, a w Polsce wciąż zbyt długo czekamy na wykorzystanie zdobyczy medycyny. Polscy chorzy zasługują na skuteczne leczenie. A przyszłość należy do terapii celowanych i spersonalizowanych – mówi posłanka prof. Alicja Chybicka.

– Mamy w Polsce coraz lepszą dostępność nowoczesnych terapii, jednak polscy chorzy wciąż mają dostęp jedynie do 1/3 innowacyjnych leków. Tymczasem w hematologii farmakoterapia jest jedyną bronią przeciw chorobie – dodaje poseł Marek Hok.

– Bardzo ważne jest szybkie wchodzenie nowych leków do refundacji, aby leczyć choroby, z którymi do tej pory sobie nie radziliśmy – rekomenduje posłanka Marcelina Zawisza.

Marek Augustyn, zastępca prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia przyznał, że NFZ wydaje coraz więcej środków na nowe technologie w hematologii. – I dlatego należy skupić się, aby środki były wydatkowane na najbardziej skuteczne terapie – zaznaczył.

## **WYKORZYSTANIE DANYCH DO POPRAWY WYNIKÓW LECZENIA**

Polska na tle innych krajów UE wypada bardzo słabo pod względem zarządzania danymi medycznymi w ochronie zdrowia. Szczególną bolączką pozostaje brak rozwiązań legislacyjnych

w zakresie dostępu do danych w naszym kraju. Tymczasem brak dostępu do danych ilościowych NFZ pochodzących z elektronicznego systemu monitorowania programów lekowych SMPT uwzględniających aktualnie leczonych, nowo włączonych i kończących terapię pacjentów utrudnia monitorowanie skuteczności terapii w czasie oraz podejmowanie decyzji strategicznych związanych z polityką lekową kraju oraz z planowaniem i zarządzaniem produkcją oraz inwestycjami przez wytwórców leków.

– Bez danych nie będziemy wiedzieć, jak leczymy. System Monitorowania Programów Terapeutycznych jest narzędziem, które nie w pełni wykorzystujemy – uważa prof. Ewa Lech-Marańda.

– My, jako towarzystwo naukowe i eksperci, powinniśmy mieć dostęp do tych danych SMPT, by widzieć, jak wygląda optymalne wykorzystanie i efektywność leków, czy rzeczywiście pacjenci sekwencyjnie przechodzą między danymi liniami leczenia. Chcemy uczestniczyć w optymalnym systemowym wykorzystaniu zasobów – apeluje prof. Krzysztof Giannopoulos.

– Potrzebujemy rejestru, który rzetelnie i na bieżąco, nie jednorazowo, ale w sposób ciągły monitorowałby, w jaki sposób leczony jest szpiczak plazmacytowy. Określałby też wielkość populacji chorych, jaka jest konieczność zapewnienia terapii pacjentom po linii trzeciej, czwartej. My tego nie wiemy, a to w sposób bardzo efektywny pomogłoby planować koszty leczenia, odpowiednio określać potrzeby, dopasowywać finansowanie nowych terapii – wylicza prof. Dominik Dytfeld.

Konsekwencją braku dostępu do danych są nie tylko trudności w ocenie efektywności programów lekowych i w planowaniu działań zdrowotnych na poziomie narodowym oraz w wykonywaniu analiz i podejmowaniu decyzji dotyczących rozbudowy lub modyfikacji istniejących programów lekowych. Uniemożliwia też to dokładną ocenę zapotrzebowania na konkretne leki.



## DYREKTYWA UE ZOBOWIĄDUJE DO UDOSTĘPNIANIA DANYCH

Eksperti uczestniczący w debatach Instytutu Ochrony Zdrowia podkreślali, że na przykładzie programu leczenia szpiczaka, można stworzyć pilotaż będący prekursorem wdrażania dyrektywy UE EHDS (European Health Data Space) w Polsce. Dyrektywa unijna zobowiązuje od 2029 r. każdy kraj UE do udostępniania danych dotyczących zdrowia w Unii. Ma wspierać ich wykorzystywanie do poprawy jakości opieki zdrowotnej, badań naukowych, innowacji i kształtowania polityki zdrowotnej.

Program lekowy szpiczaka mnogiego – charakteryzujący się mnogością linii i schematów leczenia, ścieżek terapeutycznych chorych, form podania leków i różnorodnością świadczeń, jak diagnostyka, leczenie, kontynuacja terapii – jest doskonałym kandydatem do pilotażu udostępniania danych, który stanowiłby element wdrażania EHDS w Polsce. Prace nad wdrożeniem dyrektyw w wielu krajach są już zaawansowane, w niektórych, np. we Francji, powstały nawet rządowe agencje jak Health Data Agency.

Profesor Krzysztof Giannopoulos przypomina, że dyrektywa unijna EHDS pozwala lekarzom i towarzystwom naukowym analizować dane kohortowo bez konieczności uzyskiwania zgody pacjenta.

– Ryzyko dla pacjenta żadne, a korzyść ogromna. Dla nas to dostęp do danych rzeczywistych umożliwiający ocenę postępowania terapeutycznego, a dla płatnika wgląd w jakość usług – zaznacza.

## CYFRYZACJA PRIORYTETEM POLSKIEJ PREZYDENCJI W RADZIE UE

Cyfryzacja będzie jednym z priorytetów w obszarze zdrowia i polityki zdrowotnej polskiej prezydencji w Radzie Unii Europejskiej, która rozpocznie się 1 stycznia 2025 r. Polska ma już spore doświadczenia w cyfryzacji, bo e-recepty i e-zwolnienia wprowadziła w dobrym tempie.

Wiceminister zdrowia Katarzyna Kacperczyk podkreślała niejednokrotnie, że Polska może mieć także swój wkład w UE w digitalizację danych zdrowotnych.

– Trzeba wyznaczyć instytucje, które będą regulowały dostęp do danych, zająć się kwestiami technicznymi, finansowaniem. Polska będzie miała w tym obszarze ogromną rolę do odegrania, zyskuje też okazję, aby pokazać, co nam się udało do tej pory zrobić – wskazała. Podkreśliła jednocześnie, że cyfryzacja zdrowia wpisuje się w szerszą agendę zmian wymuszanych przez ekspansję sztucznej inteligencji i wyzwań, jakie niesie ze sobą nowa rzeczywistość.

Udostępnienie danych z SMPT dotyczących szpiczaka wpisuje się w zakres działań w obszarze cyfryzacji ochrony zdrowia w Polsce.

Marek Augustyn, zastępca prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia przyznaje, że SMPT stał się już XIX-wiecznym liczydłem i dlatego NFZ sukcesywnie próbuje zintegrować się z systemem P1. Jego zdaniem, główną barierą wymiany danych jest konieczność ich zabezpieczenia. Eksperti odpowiadają, że aby zapewnić bezpieczeństwo danych, należy stworzyć możliwość korzystania z nich w formie zanonimizowanej.

## PILOTAŻ UDOSTĘPNIENIA DANYCH SMPT Z PROGRAMU LEKOWEGO SZPICZAKA MNOGIEGO

Klinicyści już od dawna apelują o dostęp do danych SMPT, gdzie sami wprowadzają informacje na temat zrealizowanych badań i przebiegu terapii pacjentów leczonych w ramach programów lekowych. Agata Wolnicka, naczelnik Wydziału Programów Lekowych i Chemioterapii w Departamencie Gospodarki Lekami NFZ podczas debat Instytutu Ochrony Zdrowia informowała, że Fundusz podejmuje działania we współpracy z Centrum E-Zdrowia nad przejściem rejestru SMPT na platformę P1. Jest już pilotażowo realizowany jeden program lekowy dla guzów litych.

– Chcemy, aby nowy system, który będzie budowany w P1, był o wiele bardziej przyjazny, jeżeli chodzi o wprowadzanie danych, zakres tych gromadzonych i zbieranych. Ale też, by pokazywał klinicystom, jak ich pacjenci są leczeni, czyli żeby dawał możliwość generowania różnego rodzaju zestawień i raportów, między innymi na temat oceny skuteczności leczenia – zapewniała.

– Liczymy na zmiany legislacyjne, które zgłaszamy do Ministerstwa Zdrowia, umożliwiające docelowe uruchomienie całej tej platformy z wszystkimi programami lekowymi – poinformowała.

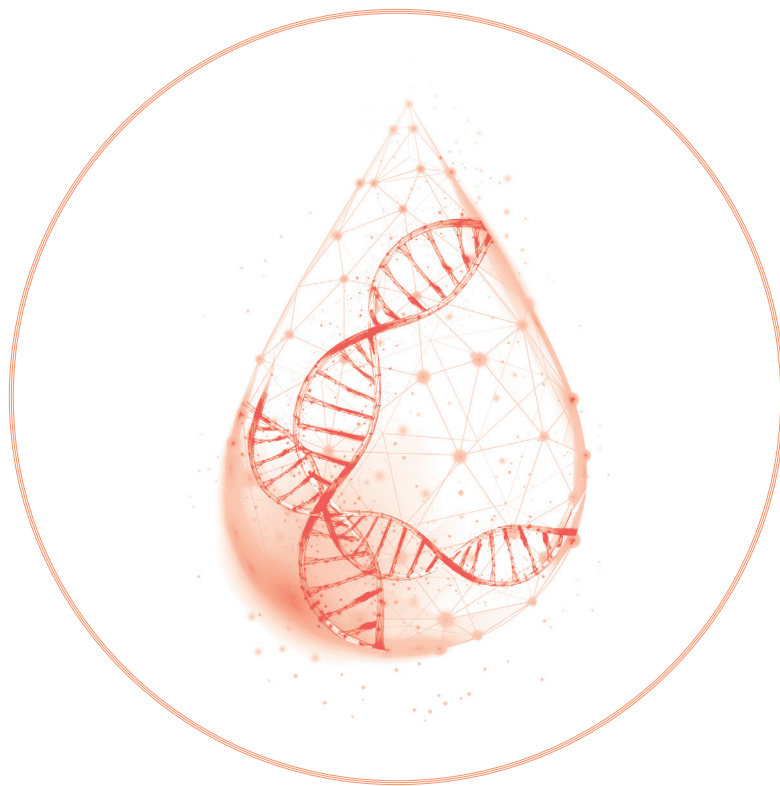
NFZ zapowiedział rozpoczęcie współpracy z konsultantką krajową w dziedzinie hematologii i towarzystwami naukowymi w zakresie przejścia rejestru Systemu Monitorowania Programów Terapeutycznych (SMPT) programu lekowego szpiczaka mnogiego na platformę P1 w formie pilotażu.

## REKOMENDACJE INSTYTUTU OCHRONY ZDROWIA

Instytut Ochrony Zdrowia wskazuje, że monitorowanie i zarządzanie danymi w leczeniu szpiczaka mnogiego w Polsce jest niezbędne dla zapewnienia skutecznej i nowoczesnej opieki. Integracja systemów monitorowania z europejskimi standardami oraz wdrożenie pilotaży pozwolą na lepsze zarządzanie terapiami i poprawę jakości życia pacjentów. Polska dzięki temu mogłaby znacząco wpłynąć na standardy opieki hematologicznej w całej Unii Europejskiej.

– Idea jest taka, żebyśmy mogli z tego swobodnie korzystać i żeby płatnik i resort mogli na bieżąco w czasie rzeczywistym te dane analizować. A tak naprawdę analiza na końcu jest wspólna – i nasza kliniczna, i przedstawicieli NFZ. Więc ta ścieżka systemowa jest najbardziej właściwa – podsumowuje prof. Ewa Lech-Marańda.

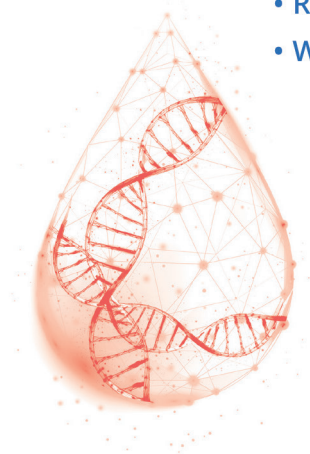
Anna Kupiecka z Fundacji OnkoCafe dodaje, że takie analizy służyć będą też pacjentom i mogą wpłynąć na poprawę wyników i komfort ich leczenia.





# Przyszłość hematoonkologii w Polsce

- PODSUMOWANIE
- REKOMENDACJE
- WNIOSKI



Raport powstał  
przy wsparciu merytorycznym firmy  
**Johnson&Johnson Innovative Medicine**