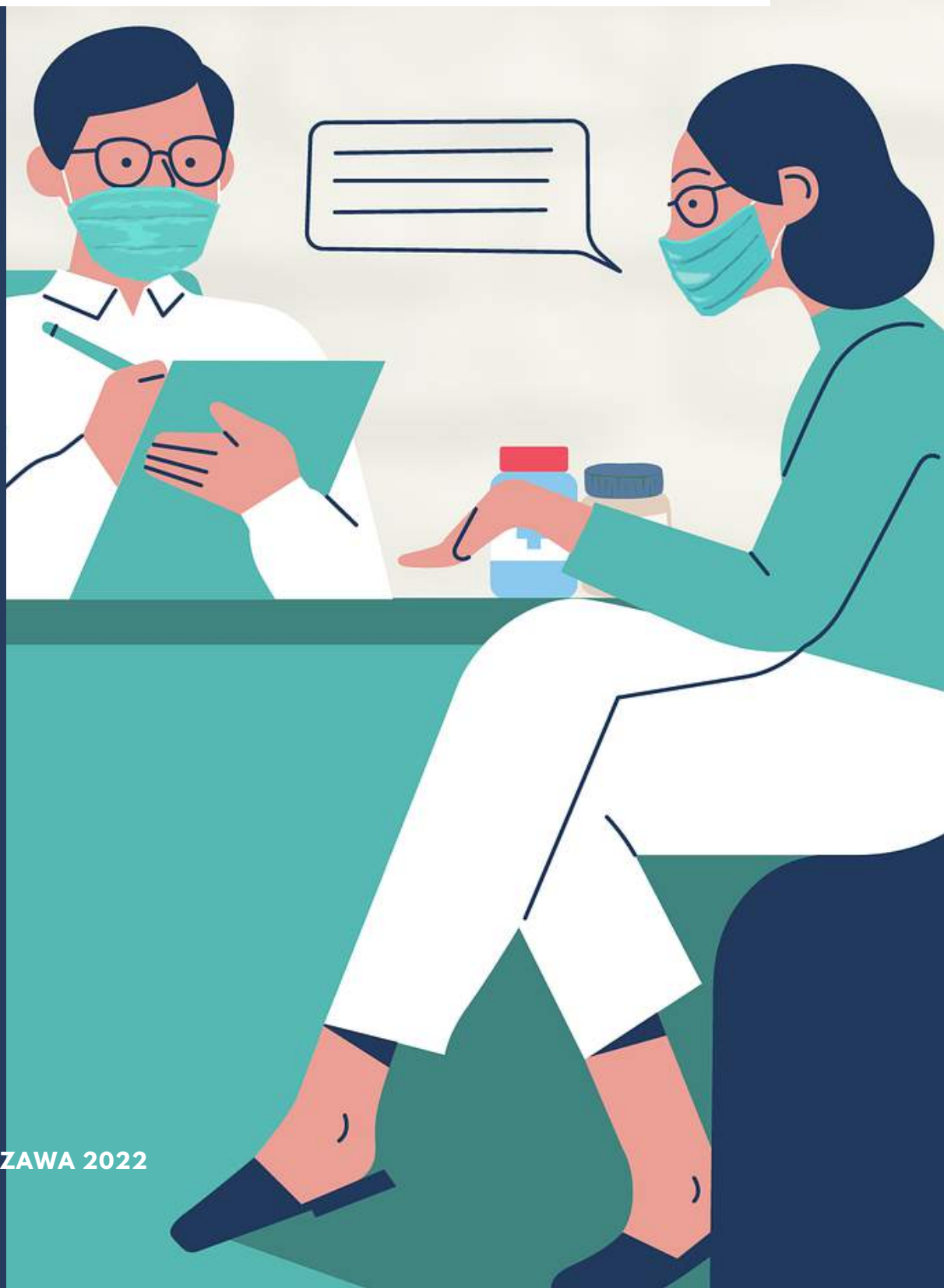


HEMATO KOALICJA

RAPORT DOTYCZĄCY SYTUACJI PACJENTÓW
HEMATOONKOLOGICZNYCH W POLSCE

KRAKÓW / WARSZAWA 2022



OPRACOWANIE RAPORTU:

HTA REGISTRY

ul. Józefa Herzoga 15
30-252 Kraków
tel. 691 980 518
e-mail: office@htaregistry.pl



FUNDACJA ONKOCAFE RAZEM LEPIEJ

ul. Antoniego Józefa Madalińskiego 50/52
02-581 Warszawa
tel. 537 888 789
e-mail: biuro@onkocafe.pl



AUTORZY RAPORTU:

(w kolejności alfabetycznej)

Monika Borowiack (HTA Registry)
Piotr Guzy (HTA Registry)
Mariusz Kordecki (HTA Registry)
Anna Kupiecka (OnkoCafe)
Joanna Łapa (HTA Registry)
Adrianna Sobol (OnkoCafe)
Agnieszka Tataruch (HTA Registry)

WYPOWIEDZI EKSPERTÓW:

(w kolejności alfabetycznej)

Dr hab. n. med. Dominik Dytfeld
Prof. dr hab. n. med. Krzysztof Giannopoulos
Prof. dr hab. n. med. Sebastian Giebel
Prof. dr hab. n. med. Iwona Hus
Mariusz Kordecki
Elżbieta Kozik
Anna Kupiecka
Prof. dr hab. n. med. Ewa Lech-Marańda
Agata Polińska
Łukasz Rokicki

PROJEKT POWSTAŁ PRZY WSPARCIU

JANSSEN - CILAG



ASTRAZENECA



SPIS TREŚCI

WSTĘP	4
CZĘŚĆ I – HEMATOONKOLOGIA W UJĘCIU KLINICZNYM I SYSTEMOWYM	7
NOWOTWORY UKŁADU KRWIOTWÓRCZEGO I CHŁONNEGO: CO TO ZA OBSZAR TERAPEUTYCZNY?	8
DLACZEGO NOWOTWORY KRWI LECZY SIĘ INACZEJ NIŻ POZOSTAŁE?	8
NOWOTWORY UKŁADU KRWIOTWÓRCZEGO I CHŁONNEGO	9
DIAGNOSTYKA NOWOTWORÓW UKŁADU KRWIOTWÓRCZEGO I CHŁONNEGO	11
LECZENIE NOWOTWORÓW UKŁADU KRWIOTWÓRCZEGO I CHŁONNEGO	13
KIM JEST PACJENT Z NOWOTWOREM KRWI?	19
NOWOTWORY UKŁADU KRWIOTWÓRCZEGO I CHŁONNEGO: NA PRZYKŁADZIE WYBRANYCH JEDNOSTEK CHOROBY	24
PRZEWLEKŁA BIAŁACZKA LIMFOCYTOWA	24
OBRAZ CHOROBY	24
DIAGNOSTYKA PRZEWLEKŁEJ BIAŁACZKI LIMFOCYTOWEJ	26
LECZENIE PRZEWLEKŁEJ BIAŁACZKI LIMFOCYTOWEJ	27
SZPICZAK PLAZMOCYTOWY	31
OBRAZ CHOROBY	31
DIAGNOSTYKA SZPICZAKA PLAZMOCYTOWEGO	33
LECZENIE SZPICZAKA PLAZMOCYTOWEGO	33
NOWOTWORY UKŁADU KRWIOTWÓRCZEGO I CHŁONNEGO W DOBIE PANDEMII COVID-19	37
POLSKI REJESTR ONKO-HEMATOLOGICZNY (PROH), CZYLI JAK POPRAWIĆ JAKOŚĆ LECZENIA CHORYCH, A TAKŻE ZOPTYMALIZOWAĆ WYDATKI NA LECZENIE	41
CZĘŚĆ II – HEMATOONKOLOGIA W UJĘCIU KOMUNIKACYJNYM NA LINII PACJENT-OPIEKUN-LEKARZ	43
BADANIE ANKIETOWE	44
WPROWADZENIE	44
METODYKA BADANIA	45
WYNIKI	46
CZĘŚĆ III – WNIOSKI I REKOMENDACJE	63

SZANOWNI PAŃSTWO,

z przyjemnością przedstawiamy raport o sytuacji pacjentów z nowotworami układu krwiotwórczego i chłonnego (nowotwory krwi) w Polsce opracowany przez HematoKoalicję – konsorcjum czterech, działających aktywnie organizacji pacjenckich, które już od lat prowadzą działania, mające na celu wspieranie chorych na nowotwory krwi na różnym etapie ich diagnozy i leczenia.

HematoKoalicję tworzą: Fundacja Onkologiczna Alivia, Fundacja Carita im. Wiesławy Adamiec, PARS – Polskie Amazonki Ruch Społeczny i Fundacja OnkoCafe – Razem Lepiej, będąca inicjatorem całego przedsięwzięcia.



Dotychczas każda z naszych organizacji pracowała na rzecz pacjentów hematoonkologicznych indywidualnie, jednak zdając sobie sprawę z efektu skali, jaki daje skoncentrowanie się na jednym celu czterech organizacji, zdecydowaliśmy się na połączenia naszych sił. Razem możemy zrobić więcej – zarówno w zakresie monitorowania rzeczywistej sytuacji pacjentów, jak i stworzenia i zaproponowania rozwiązań, które wpłyną na jej poprawę, większą skuteczność leczenia i podniosą jakość życia osób dotkniętych schorzeniami hematoonkologicznymi.

Anna Kupiecka
założycielka i Prezes Fundacji OnkoCafe – Razem Lepiej



Za podstawowy krok, zmierzający w kierunku wypracowania propozycji rozwiązań członkowie HematoKoalicji uznali dokonanie wszechstronnej analizy obecnego stanu: opracowanie raportu, który kompleksowo zaprezentuje m.in. obowiązujące rozwiązania legislacyjne, procedury terapeutyczne, ścieżki pacjentów hematoonkologicznych w polskim systemie opieki zdrowotnej oraz szereg innych zagadnień mających bezpośredni wpływ na ich sytuację.

Raport podejmuje również próbę określenia profilu pacjenta: jego wieku, roli społecznej, aktywności zawodowej i innych czynników wpływających na jego potrzeby związane z leczeniem.



Do tej pory uznawano, że pacjenci znajdujący się w grupie ryzyka największej zachorowalności na nowotwory krwi to osoby, które przekroczyły 60 rok życia, jednak w tej chwili obserwujemy znaczne obniżenie tego wieku - zmiany nowotworowe diagnozowane są u coraz młodszych pacjentów: u osób aktywnych, pracujących zawodowo, pełniących ważne role w rodzinie. Ich proces leczenia powinien być dostosowany do trybu życia jaki prowadzą i umożliwiać im normalne funkcjonowanie. Wypracowanie odpowiadających ich potrzebom rozwiązań jest jednym z celów HematoKoalicji, a raport to doskonały punkt wyjścia do dalszych działań w tym zakresie.

Łukasz Rokicki
Prezes Fundacji Carita im. Wiesławy Adamiec

Jako najbardziej reprezentatywną dla analizy grupę przyjęto pacjentów chorujących na szpiczaka plazmocytozowego i przewlekłą białaczkę limfocytową, jako jedne z najczęstszych pod względem zachorowalności nowotworów układu krwi.

Znaczący wpływ na system leczenia pacjentów hematologicznych miała pandemia COVID-19 – co zostało uwzględnione w raporcie. Czas pandemii poprzez związane z nim ograniczenia odcisnął znaczące piętno na całym procesie leczenia we wszystkich obszarach:

1. na systemie opieki zdrowotnej – odsuwając na dalszy plan inne jednostki chorobowe niż COVID i generując w ten sposób olbrzymi dług zdrowotny,
2. na placówkach medycznych i ich personalu,
3. na pacjentach i ich rodzinach, którym odebrał możliwość odwiedzania i wspierania pacjentów podczas ich pobytów w szpitalu, co stanowi jeden z ważnych psychologicznych aspektów leczenia.



Z uwagą śledzimy i komentujemy sytuację w polskiej onkologii. W latach 2020 i 2021 przygotowaliśmy opracowania o funkcjonowaniu opieki onkologicznej podczas epidemii, raporty i statystyki dotyczące dostępności do leczenia oraz monitorowaliśmy możliwości wykonania i czasy oczekiwania na badania obrazowe w różnych ośrodkach w całym kraju. W tym okresie trzykrotnie sprawdzaliśmy, jakie zmiany zaszły w procesie diagnostyki i leczenia chorych na nowotwory złośliwe.

Nasze pogłębione konsultacje społeczne przeprowadzone wśród pacjentów i ich bliskich oraz dane zebrane w badaniu opinii publicznej, zrealizowanym na zlecenie Fundacji Alivia przez agencję Kantar, ukazały dezorganizację całego procesu leczenia onkologicznego w okresie epidemii. Chorzy wielokrotnie wskazywali na brak ciągłości i koordynacji opieki, pogłębienie nierówności w dostępie do leczenia, czy wielogodzinne czasy oczekiwania w placówkach medycznych. Ich doświadczenia i obserwacje powinny zostać wykorzystane jako cenna wskazówka przy pracy nad rozwiązaniami systemowymi, regulującymi organizację leczenia, również w tak wyjątkowej sytuacji jak okres pandemii.



Agata Polińska
Członek Zarządu Fundacji Alivia

Prezentowany przez HematoKoalicję materiał jest pionierskim i unikatowym opracowaniem, prezentującym sytuację w polskiej hematoonkologii z punktu widzenia wszystkich uczestników procesu: pacjentów korzystających z finansowanych przez polski system ochrony zdrowia ścieżek leczenia onkologicznego, ich opiekunów i lekarzy - uznanych specjalistów z dziedziny nowotworów krwi, których zaprosiliśmy do naszego projektu.

Raport o sytuacji pacjentów hematoonkologicznych w Polsce jest inicjatywą pacjentów reprezentowanych przez organizacje, jednak jego kompleksowy wymiar oraz wartościowa i opracowana w oparciu o twarde dane zawartość merytoryczna, sprawiają, że stanowi doskonałą podstawę, na której można oprzeć propozycje konkretnych rozwiązań - jest bazą wiedzy, która z powodzeniem może być cennym materiałem dla instytucji mających wpływ na kształtowanie polskiego systemu opieki zdrowotnej.



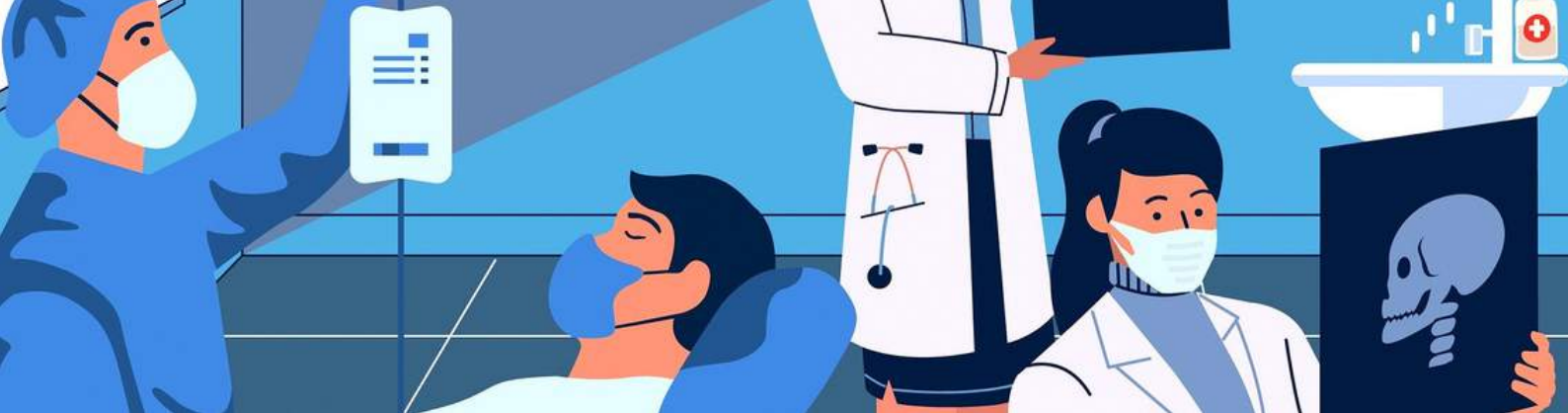
Wskazując decydentom niezbędne kierunki zmian zawsze dbamy o to, aby posługiwać się rzetelnymi i merytorycznie opracowanymi informacjami. Takie podejście sprawia, że jesteśmy równoprawnym partnerem w dyskusji, a wnioski, które prezentujemy są traktowane poważnie. Sytuację pacjentów hematoonkologicznych badaliśmy z niezwykłą starannością. Mamy pewność, że oddajemy w Państwa ręce wyjątkowy i wartościowy raport, który otworzy dyskusję publiczną w zakresie obszarów wymagających pilnej poprawy.

Elżbieta Kozik

Prezes PARS: Polskie Amazonki Ruch Społeczny

Raport powstał przy współpracy firmy badawczej HTA Registry zaproszonej do udziału w projekcie, jego partnerami są firmy odpowiedzialne społecznie: Janssen i AstraZeneca.





CZĘŚĆ I

HEMATOONKOLOGIA W UJĘCIU KLINICZNYM I SYSTEMOWYM

Obszar hematologii onkologicznej opiera się zarówno na aspektach klinicznych, obejmujących badania, diagnozę, leczenie i opiekę nad pacjentem, jak i na systemowym rozwiązaniu problemów i wyzwań stojących na drodze realizacji tych świadczeń. Ze względu na różnice w specyfice rozwoju nowotworów o podłożu hematologicznym wymagają one innych rozwiązań niż nowotwory pozostałych narządów czy tkanek. Szczególne znaczenie ma w tym przypadku regularne wykonywanie łatwo dostępnych badań umożliwiających wczesne wykrycie, a co za tym idzie, wcześniejsze rozpoczęcie leczenia lub monitorowanie stanu zdrowia chorych. Grupa osób diagnozowanych na nowotwory krwi jest bardzo szeroka i ryzyko zachorowania wyraźnie zwiększa się powyżej 65. roku życia. [1] Warto zaznaczyć, że pacjenci z nowotworami krwi to często osoby nadal aktywne zawodowo oraz społecznie. Według danych Głównego Urzędu Statystycznego w drugim kwartale 2021 roku osób w wieku powyżej 65 lat aktywnych zawodowo było w Polsce ponad 412 tysięcy. [2] Rozpoznanie choroby oraz podjęcie leczenia pozwalają na zachowanie sprawności, która bezpośrednio przekłada się na jakość życia. Efektywne leczenie i jego prawidłowe monitorowanie są niezbędne w grupie chorych hematoonkologicznych, zwłaszcza jeśli weźmie się pod uwagę ich zwiększoną podatność na infekcje, cięższy ich przebieg, w tym istotnie większą śmiertelność z tego powodu w porównaniu do innych jednostek chorobowych. Stan pandemii to wyjątkowy czas, który zmusza pacjentów do podejmowania wielu trudnych decyzji, a instytucje opieki zdrowotnej do opracowywania nowych rozwiązań przystosowanych do funkcjonowania w tej sytuacji.

W poniższej części omówiono szerzej wymienione zagadnienia, a także zwrócono uwagę na organizację systemu optymalizacji jakości życia pacjentów i wydatków na leczenie.

NOWOTWORY UKŁADU KRWIOTWÓRCZEGO I CHŁONNEGO: CO TO ZA OBSZAR TERAPEUTYCZNY?

Na przestrzeni lat w związku z rosnącą liczbą zachorowań na nowotwory doszło do pojawienia się coraz bardziej wyraźnych różnic pomiędzy ich typami, etiologią i sposobem leczenia. Rozwój medycyny umożliwił ewolucję dziedzin łączących różne obszary, a także wyodrębnienie specyficznych dyscyplin z szerokiego zakresu hematologii i onkologii. Daje to szansę na ciągłe doskonalenie metod diagnostyki, optymalizację schematów leczenia oraz bardziej zindywidualizowanego podejścia do pacjenta.

DLACZEGO NOWOTWORY KRWI LECZY SIĘ INACZEJ NIŻ POZOSTAŁE?

Nowotwory krwi to obszar medycyny zajmujący się leczeniem chorób nowotworowych związanych z krwią oraz procesem wytwarzania jej składników — krwinek białych, czerwonych, płytek krwi i osocza. Choroby te różnią się od pozostałych nowotworów (guzy lite) takich jak np. rak sutka, rak prostaty czy rak jelita grubego. Większość nowotworów złośliwych zaczyna się od stadium, w którym nieprawidłowe komórki gromadzą się w jednym miejscu w formie rozrastającego się guza. Dopiero później naciekają na sąsiednie tkanki, zajmują węzły chłonne. Na końcu, kiedy komórki nowotworu przedostaną się do naczyń krwionośnych, tworzą przerzuty, czyli zajmują odległe tkanki. W tej sytuacji wczesne wykrycie guza pozwala na chirurgiczne usunięcie go zanim zacznie się rozprzestrzeniać. [3]

W przypadku nowotworów krwi, chorobliwie zmienione komórki znajdują się we krwi albo w szpiku kostnym lub innych elementach układu chłonnego (limfatycznego). Wczesne wykrycie często daje szansę na właściwą kontrolę choroby i wydłużenie życia pacjenta, a w przypadku niektórych jednostek chorobowych przeszczepienie szpiku lub krwiotwórczych komórek macierzystych jest szansą na pełne wyleczenie chorego. Ponieważ rozwój nowotworu nie zaczyna się od rozrostu zlokalizowanego guza, nie ma możliwości zabiegowego usunięcia zmian zanim się rozprzestrzenia. Takie rozwiązanie może być przydatne w późniejszych etapach choroby, gdy nieprawidłowe komórki rozprzestrzeniając się po organizmie z krwią lub limfą zaczną gromadzić się w jednej z tkanek poza naczyniami. W tym wypadku nie mówimy jednak o przerzucie, ale o nacieku. [3]

Powyższe różnice są jednymi z przyczyn, dla których zasady profilaktyki, diagnostyki, leczenia i monitorowania przebiegu nowotworów związanych z krwią są inne niż w przypadku guzów litych. Wymagają połączenia wiedzy i umiejętności onkologicznych z hematologicznymi. [3]

TABELA 1. NOWOTWORY LITE I NOWOTWORY KRWI - PORÓWNANIE

	NOWOTWORY - GUZY LITE	NOWOTWORY KRWI
SPOSÓB ROZPOZNANIA	Różnorodne badania obrazowe i laboratoryjne	Najczęściej badanie krwi (morfologia)
STADIUM PRZERZUTOWE	Tak	Nie
OCENA ZAAWANSOWANIA	Spójny system oparty o ocenę wielkości guza, liczbę zajętych węzłów chłonnych i przerzutów	Różna w zależności od specyfiki konkretnej choroby
KOMÓRKI ZMIENIONE NOWOTWOROWO	Komórki różnych typów tkanek i układów organizmu	Składniki krwi lub komórki, z których później powstają dojrzałe składniki krwi
ZASTOSOWANIE PRZESZCZEPU SZPIKU	Nie	Tak

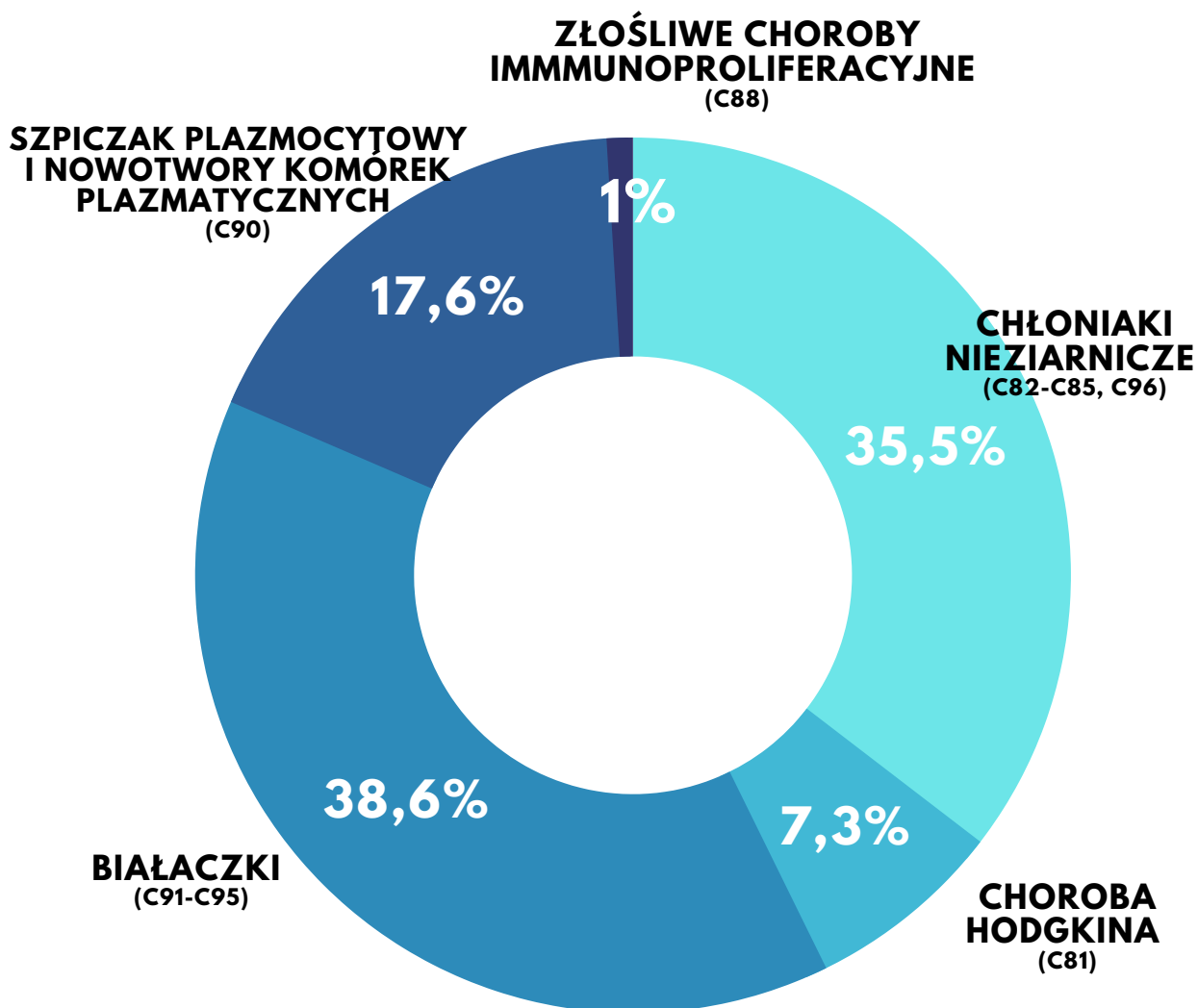
NOWOTWORY UKŁADU KRWIOTWÓRCZEGO I CHŁONNEGO

Nowotwory krwi obejmują wiele chorób nowotworowych wywodzących się z komórek linii krwiotwórczych mieloidalnych lub limfocytarnych. [4] Liczba nowo rozpoznanych nowotworów krwi u dorosłych i dzieci w Polsce wynosi ok. 9 tys. rocznie, co stanowi ok. 5,5% wszystkich nowotworów złośliwych w kraju. [5]

Najwięcej osób dotykają choroby należące do 3 głównych grup:

- Nowotworów krwinek białych — białaczek,
- Nowotworów układu limfatycznego — chłoniaków,
- Nowotworów wywodzących się z układu chłonnego, ale zlokalizowanych w szpiku. [6]

RYSUNEK 1. ZACHOROWANIA NA NOWOTWORY UKŁADU KRWIOTWÓRCZEGO I CHŁONNEGO W POLSCE W 2018 R. [7]



Zarówno białaczki, chłoniaki, jak i nowotwory, które wywodzą się z układu chłonnego, ale lokalizują w szpiku kostnym to choroby polegające na nieprzerwanym wzroście liczby nieprawidłowych białych krwinek, których rozwój może zostać zaburzony na różnych etapach. Różnice między nimi obejmują przede wszystkim:

- dokładny typ komórek, które się rozrastają,
- etap rozwoju (różnicowania) tych krwinek, na którym pojawia się nieprawidłowość,
- szczególne cechy komórek nowotworowych,
- miejsce, w którym pojawiają się i gromadzą zmienione krwinki,
- organy, które zostają zajęte przez zmienione krwinki w kolejnych etapach rozwoju choroby (np. w formie nacieków). [3]

Podstawową różnicą między najbardziej charakterystycznymi typami białaczek i chłoniaków jest miejsce, w którym zaczyna się produkcja wadliwych krwinek. W przypadku białaczek jest to szpik kostny, a w przypadku chłoniaków — inne narządy limfatyczne (najczęściej węzły chłonne). [3, 8]

DIAGNOSTYKA NOWOTWORÓW UKŁADU KRWIOTWÓRCZEGO I CHŁONNEGO

Podstawowym i najważniejszym testem diagnostycznym, o którym każdy z nas powinien pamiętać jest morfologia krwi. To badanie, na które skierowanie może wystawić każdy lekarz podstawowej opieki zdrowotnej. [9] Większość chorób hematologicznych powoduje zmiany w liczebności składników krwi, które można wykryć dzięki morfologii. [10] Każdy z nas powinien sprawdzać ją przynajmniej raz do roku. W rzeczywistości niemal połowa Polaków bada krew rzadziej. [11]

Jedną z odpowiedzi na ograniczony dostęp do świadczeń zdrowotnych jest realizacja Programu Profilaktyka 40+. Od 1 lipca 2021 do 31 grudnia 2021 r. każdy Polak po 40 r.ż. jednorazowo może skorzystać z bezpłatnego pakietu badań diagnostycznych. [12, 13] Celem programu jest przede wszystkim wcześnie wykrycie choroby, co znacznie przyspieszy proces diagnostyczny i umożliwi wdrożenie jak najszybszego leczenia. Zgodnie z zapowiedziami Ministra Zdrowia istnieje możliwość wydłużenia czasu trwania programu, jeśli będzie istniała taka potrzeba. Przy czym jak sam Minister wskazuje największym wyzwaniem jest zainteresowanie samych Polaków. Wskaźnik udziału Polaków w programach badań przesiewowych jest stosunkowo niski na tle Europy. Stwierdził również, że istotą programu jest między innymi ocena stanu ich zdrowia po trzeciej fali pandemii oraz zachęcenie ich do regularnego badania się. Za miarę sukcesu zostanie uznane przez Ministra Zdrowia przebadanie 2 mln Polaków. [14]

W pierwszym dniu uruchomienia programu uzupełniono 39 tys. ankiet służących wstępnej ocenie pacjentów, co wskazuje na wysokie zainteresowanie programem. [15] W ramach podstawowego pakietu uwzględniono w programie m.in. morfologię krwi, badanie diagnostyczne, które wykonywane regularnie może przyczynić się do wcześniejszego wykrycia nowotworów. Włączenie do programu lekarzy medycyny pracy daje nadzieję na zwiększenie odsetka pacjentów wykonujących morfologię. [16]

OBOWIAZKOWA REGULARNA PODSTAWOWA DIAGNOSTYKA

Nie ma jednoznacznych metod diagnostycznych czy badań, które wykonywane regularnie zapobiegają późnemu rozpoznaniu nowotworu np. układu chłonnego. Jednak ważne jest wykonywanie badań podstawowych, takich jak morfologia krwi i OB. Badania te nie wykluczają choroby, ale u pewnego odsetka pacjentów pozwolą rozpoznać chorobę trochę wcześniej. Należy zwrócić uwagę na pomijany często problem, jakim jest samo wyobrażenie pacjentów lub potencjalnych pacjentów o chorobie. Mylne stereotypy, związane z brakiem możliwości leczenia lub jego ciężkim przebiegiem niegwarantującym rezultatów, skłaniają chorych do odwlekania decyzji o jego podjęciu. Jest to spowodowane niską świadomością na temat nowoczesnych metod leczenia.

dr Dominik Dytfeld

**OBJAWY WYWOŁYWANE
PRZEZ CHOROBY
HEMATOONKOLOGICZNĘ,,
Z KTÓRYMI NALEŻY
ZGŁOSIĆ SIĘ DO LEKARZA
TO M.IN.:**

**WŚRÓD CHORÓB
HEMATOLOGICZNYCH
SĄ TEŻ TAKIE, KTÓRE
PÓCZĄTKOWO NIE
DAJĄ OBJAWÓW**

**W PRZYPADKU PRZEWLEKŁEJ
BIAŁACZKI LIMFOCYTOWEJ**

OK. 30%

**CHORYCH
W CHWILI
ROZPOZNANIA NIE
MA ŻADNYCH
OBJAWÓW**

OSŁABIENIE

UTRATA MASY CIAŁA

BÓL KOŚCI I STAWÓW

POTLIWOŚĆ

**GORĄCZKA BEZ
OBECNOŚCI ZAKAŻENIA**



**MORFOLOGIĘ KRWI
NALEŻY WYKONYWAĆ
CO NAJMNIEJ RAZ
W ROKU**

**PONAD POŁOWA
POLAKÓW ROBI TO
RZADZIEJ LUB
WCAŁE**

Jednoznaczne potwierdzenie rozpoznania konkretnego nowotworu krwi zwykle wymaga jednak wykonania badań potwierdzających takich jak:

- biopsja szpiku,
- badania cytogenetyczne,
- testy molekularne,
- badanie histologiczne lub immunohistochemiczne zajętych tkanek. [10]

ikonografia na podstawie:

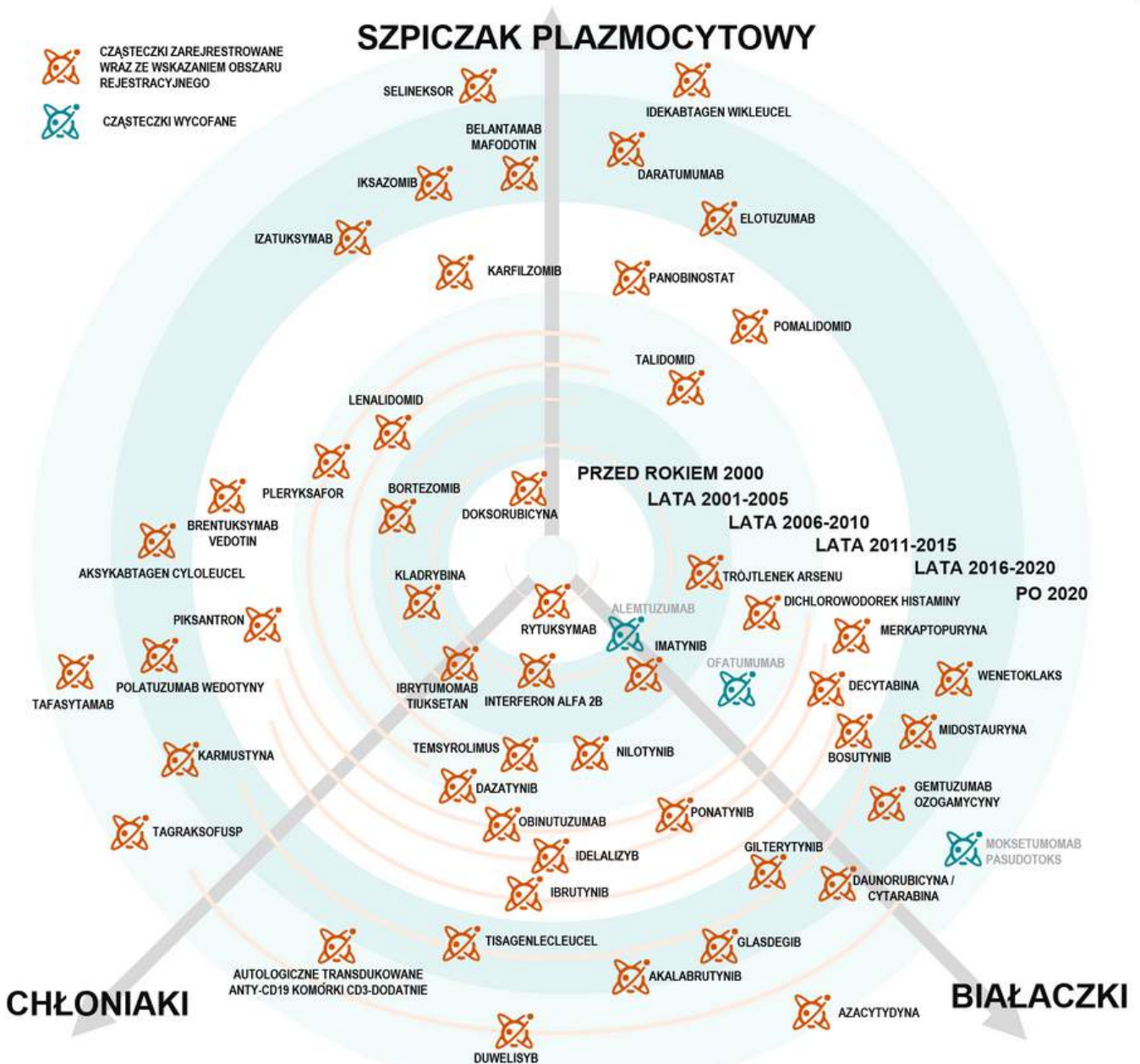
[17] - Giannopoulos K., et al., Wyzwania wczesnej diagnostyki szpiczaka plazmocytozy - algorytm diagnostyczny, Acta Haematologica Polonica 50(3), 2019 121-129

[18] - Zalecenia postępowania diagnostyczno-terapeutycznego w nowotworach złośliwych - 2013 r. Warzocha K. Przewlekła białaczka limfocytowa.

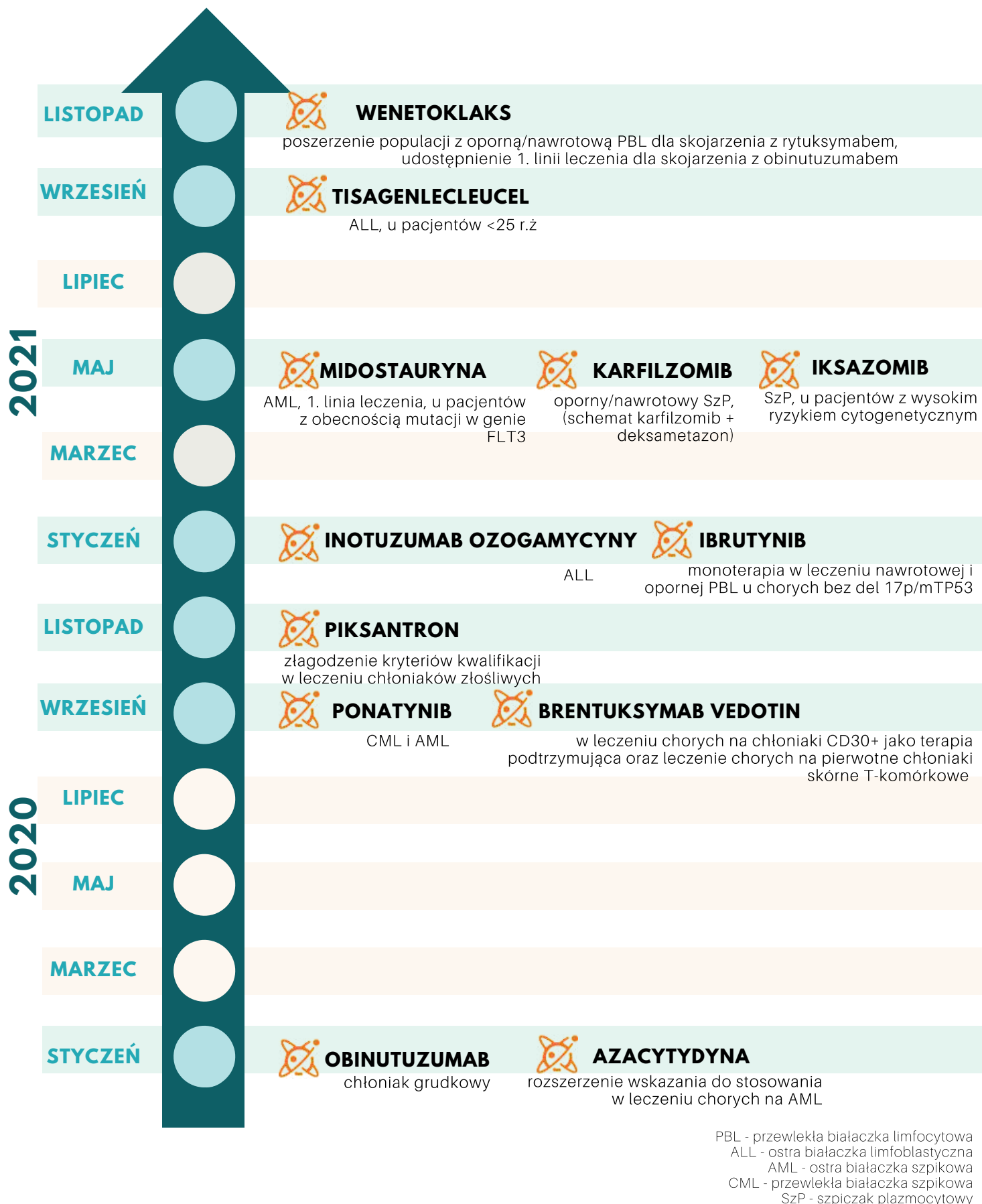
LECZENIE NOWOTWORÓW UKŁADU KRWIOTWÓRCZEGO I CHŁONNEGO

Niemal każdego roku poszerza się katalog terapii, które rejestrowane są przez Europejską Agencję Leków (EMA). W 2020 roku pozytywnie zarekomendowanych zostało 21 leków do stosowania w onkologii, w tym 11 z nich zawierających nowe substancje czynne. [19, 20]

Analizując statystyki europejskie, zauważyć można wysoki przyrost nowych terapii skierowanych do pacjentów z nowotworami krwi. Następstwem tego bardzo dynamicznego rozwoju leczenia nowotworów krwi jest odchodzenie od tradycyjnej chemioterapii na rzecz terapii celowanych. Jeszcze kilka lat temu były to leki głównie stosowane u chorych na nawrotowe i oporne nowotwory krwi, a obecnie stają się standardem również w leczeniu pierwszej linii. Rysunek poniżej przedstawia zestawienie substancji zarejestrowanych przez EMA od drugiej połowy lat 90-tych we wskazaniach: nowotwory układu krwiotwórczego i chłonnego. Zaznaczyć przy tym należy, że przedział czasowy w ramach którego oznaczone zostały poszczególne substancje wyznacza datę pierwszej rejestracji. Technologie skuteczne, często stanowią przedmiot dalszych badań, co pozwala na poszerzenie katalogu wskazań, a tym samym poszerzenie populacji docelowej. Wśród rozpatrywanych technologii znalazły się również te, które na przestrzeni lat zostały wycofane z obrotu (oznaczone kolorem niebieskim). Szczegółowa analiza wskazań znajduje się w Aneksie.



W latach 2017-2019 opóźnienie w dostępie do leków w Polsce względem dat rejestracji przez EMA wynosiło około 3,5 roku (mediana). [21] W ostatnich latach sytuacja uległa poprawie i czas ten uległ skróceniu o rok, co wynika z objęcia finansowaniem 10 nowych wskazań w leczeniu nowotworów krwi w samym 2020 roku. W ostatnim czasie w ramach programów lekowych objęte zostały finansowaniem następujące leki [22]:



Refundacje nowoczesnych leków znacznie poszerzają możliwości terapeutyczne oraz poprawiają osiągnięte przez pacjentów wyniki zdrowotne. Od 2000 roku właśnie w obszarze hematologii onkologicznej rejestruje się największy wzrost pięcioletniego przeżycia pacjentów. Polscy pacjenci, choć coraz szybciej otrzymują możliwość leczenia nowymi technologiami, to jednak sposób ich udostępnienia w ramach programów lekowych nakłada liczne ograniczenia i niejednokrotnie uniemożliwia prowadzenie zindywidualizowanej terapii chorych.

Kryteria kwalifikowania i zakończenia leczenia są często bardziej restrykcyjne niż wskazania rejestracyjne poprzez wprowadzanie dodatkowych warunków klinicznych, które chory musi spełnić, aby mógł skorzystać z programu. Podkreśla się przede wszystkim, że ograniczenia te najczęściej przekładają się na uniemożliwienie zastosowania we wcześniejszych liniach leczenia lub — wykluczenie możliwości zastosowania w kolejnych liniach leczenia w przypadku braku efektu w schemacie terapeutycznym, w jakim lek był podawany wcześniej. [23]

Poniżej zestawiono liczebności populacji, które otrzymały leczenie w ramach programów lekowych lub katalogu chemioterapii z budżetu NFZ (Narodowego Funduszu Zdrowia) w latach 2017-2020. We wszystkich rozpatrywanych wskazaniach zauważyć można stopniowy wzrost liczby pacjentów otrzymujących ww. leczenie. Zarówno wśród leczenia z wykorzystaniem chemioterapii jak i programów lekowych, największą grupę stanowili pacjenci ze szpiczakiem plazmocytowym.

TABELA 2. POPULACJE PACJENTÓW LECZONYCH CHEMIOTERAPIĄ W ODNIESIENIU DO ROZPOZNANIA ZASADNICZEGO W 2017-2020 – TYLKO WSKAZANIA: NOWOTWÓRY UKŁADU KRWIOTWÓRCZEGO I CHŁONNEGO [24-28] ORAZ LICZBA PACJENTÓW KORZYSTAJĄCYCH Z PROGRAMÓW LEKOWYCH W POSZCZEGÓLNYCH LATACH [29]

NAZWA ROZPOZNANIA GŁÓWNEGO / NAZWA PROGRAMU	LICZBA PACJENTÓW				DOSTĘPNOŚĆ DO 1 LINII LECZENIA W PROGRAMIE LEKOWYM
	2017	2018	2019	2020	
CHEMIOTERAPIA					
SZPICZAK PLAZMOCYTOWY	3 135	3 211	3 355	3 240	nie dotyczy
PRZEWLEKŁA BIAŁACZKA LIMFOCYTOWA	1 751	1 713	1 752	1 727	
PRZEWLEKŁA BIAŁACZKA SZPIKOWA	1 494	1 625	1 433	1 513	
INNE OKREŚLONE POSTACIE CHŁONIAKA NIEZIARNICZEGO	brak danych	1 316	1 547	1 490	
OSTRA BIAŁACZKA SZPIKOWA	1 254	1 341	1 405	1 388	
ŁĄCZNIE	7 634	9 206	9 492	9 358	

NAZWA ROZPOZNANIA GŁÓWNEGO / NAZWA PROGRAMU	LICZBA PACJENTÓW				DOSTĘPNOŚĆ DO 1. LINII LECZENIA W PROGRAMIE LEKOWYM
	2017	2018	2019	2020	
PROGRAM LEKOWY					
LECZENIE CHORYCH NA OPORNEGO LUB NAWROTOWEGO SZPICZAKA PLAZMOCYTOWEGO	1 449	1 662	2 213	2 481	nie
LECZENIE CHORYCH NA PRZEWLEKŁĄ BIAŁACZKĘ SZPIKOWĄ	1 041	1 137	1 220	1 297	tak
LECZENIE CHORYCH NA CHŁONIAKI ZŁOŚLIWE	2 161	2 081	1 947	1 859	tak*
LECZENIE CHORYCH NA CHŁONIAKI CD30+	155	153	139	176	nie
LECZENIE PRZEWLEKŁEJ BIAŁACZKI LIMFOCYTOWEJ OBINUTUZUMABEM	144	268	356	351	tak*
LECZENIE CHORYCH NA OSTRĄ BIAŁACZKĘ LIMFOBLASTYCZNĄ	51	52	73	92	nie
PIKSANTRON W LECZENIU CHORYCH NA CHŁONIAKI ZŁOŚLIWE	-	44	67	51	nie
LECZENIE OPORNEJ I NAWROTOWEJ POSTACI KLASYCZNEGO CHŁONIAKA HODGKINA Z ZASTOSOWANIEM NIWOLUMABU	-	20	38	47	nie
LECZENIE CHORYCH NA PRZEWLEKŁĄ BIAŁACZKĘ LIMFOCYTOWĄ IBRUTYNIBEM	-	254	492	572	nie
LECZENIE CHORYCH NA PRZEWLEKŁĄ BIAŁACZKĘ LIMFOCYTOWĄ WENETOKLAKSEM	-	-	71	320	tak**
LECZENIE CHORYCH NA PIERWOTNE CHŁONIAKI SKÓRNE T – KOMÓRKOWE	76	61	60	70	nie
ŁĄCZNIE	5 077	5 732	6 676	7 316	

*immunochemioterapia; ** objęty refundacją w 1. linii od listopada 2021



NAJLEPSZE LECZENIE NA POCZĄTEK

Czas trwania remisji po nawrocie zmniejsza się z każdą kolejną linią leczenia. Dlatego ważny jest wybór najskuteczniejszej terapii już od pierwszej linii leczenia oraz dostępność do jak największej liczby nowych terapeutyków w kolejnych liniach leczenia. Wybór terapii drugiego i kolejnych rzutów uzależniamy od odpowiedzi uzyskanej na leczenie pierwszej linii, stosowanych leków we wcześniejszych terapiach oraz toksyczności leczenia...()

BRAK TERAPII CELOWANYCH W 1. LINII LECZENIA

Niestety dostępność do terapii pierwszego wyboru zalecanych przez Europejskie Towarzystwo Onkologii Medycznej (ESMO) zawiera terapie, które nie są refundowane w Polsce.

prof. Krzysztof Giannopoulos

W Polsce niestety pacjenci nie mają praktycznie w ogóle dostępu do terapii celowanych w pierwszej linii leczenia. Należy bowiem podkreślić, że ujęte w powyższej tabeli finansowanie immunochemioterapii (obinutuzumab w skojarzeniu z chemioterapią) nie stanowi terapii celowanej, a w obecnym standardzie leczenia wręcz mówi się o odejściu od immunochemioterapii i erze „chemio-free”. Przykładowo w terapii przewlekłej białaczki limfocytowej aktualne wytyczne europejskie i światowe zawęziły miejsce immunochemioterapii tylko do jednej wąskiej grupy pacjentów o bardzo dobrym rokowaniu, argumentując, że jedyną grupą, która może odnieść korzyści z takiej formy leczenia są pacjenci bez delecji 17p i/lub mutacji TP53 i jednocześnie ze zmutowanym genem IgHV. Od listopada 2021 roku finansowaniem w 1. linii leczenia PBL został objęty wenetoklaks w skojarzeniu z obinutuzumabem, co jest ważnym krokiem w kierunku poprawy leczenia, ale wciąż jednak niepozwalającym na prowadzenie w pełni personalizowanego leczenia, zwłaszcza w grupie wysokiego ryzyka progresji. W obecnie obowiązujących warunkach refundacyjnych w obszarze hematologii onkologicznej często dochodzi do sytuacji, kiedy lekarze zmuszeni są podać pacjentowi nieefektywne leczenie lub takie, które komplikuje sytuację kliniczną i dopiero wtedy możliwe jest podanie skutecznej terapii. Tymczasem jak pokazują dane kliniczne korzyść nawet z najmocniejszej terapii największa jest w pierwszej linii leczenia.

TABELA 3. MEDIANA PFS W 1 LINII VS 2L+ W PBL DLA AKALABRUTYNIBU [30, 31], IBRUTYNIBU [30, 32, 33] I WENETOKLAKSU [34-36] ORAZ W SZPICZAKU PLAZMOCYTOWYM DLA LENALIDOMIDU [37, 38] I DARATUMUMABU [38-39]

SUBSTANCJA CZYNNA	SCHEMAT LECZENIA	MEDIANA PFS	
		1 LINIA	OPORNA / NAWROTOWA POSTAĆ
PRZEWLEKŁA BIAŁACZKA LIMFOCYTOWA			
AKALABRUTYNIB	monoterapia	Nieosiągnięta (badanie ELEVATE-TN) 78% wolnych od progresji; okres obserwacji =4 lata	38,4 miesiąca (badanie ELEVATE-RR) ¹
IBRUTYNIB	monoterapia	Nieosiągnięta (badanie RESONATE-2) 70% wolnych od progresji; okres obserwacji =5 lat	44,1 miesiąca (badanie RESONATE) ² 38,4 miesiąca (badanie ELEVATE-RR) ³
WENETOKLAKS	wenetoklaks + obinutuzumab w 1 linii; wenetoklaks + rytuksymab w opornej/nawrotowej postaci	Nieosiągnięta (badanie CLL-14) 82% wolnych od progresji; okres obserwacji =3 lata	53,6 miesiąca (badanie MURANO) ⁴
SZPICZAK PLAZMOCYTOWY			
LENALIDOMID	lenalidomid + deksametazon	26 miesięcy (badanie FIRST)	17,5 miesiąca (badanie POLLUX) ⁵
DARATUMUMAB	daratumumab + lenalidomid + deksametazon w 1 linii daratumumab + lenalidomid + deksametazon w opornej/nawrotowej postaci	Nieosiągnięta (badanie MAIA) 52,5% wolnych od progresji; okres obserwacji =5 lat	44,5 miesiąca (badanie POLLUX) ⁶

1 - liczba wcześniejszych terapii: Mediana =2 (zakres 1-9); 2 - liczba wcześniejszych terapii: Mediana =3 (zakres 1-2); 3 - liczba wcześniejszych terapii: Mediana =2 (zakres 1-12); 4 - wcześniejsze terapie (%): 1 wcześniejsza terapia: 57%; 2 wcześniejsze terapie: 29%; 3 wcześniejsze terapie: 11%, >3 terapii: 2%; 5 - badanie POLLUX: liczba wcześniejszych terapii: mediana = 1 (zakres 1-8); 6 - badanie POLLUX: liczba wcześniejszych terapii: mediana = 1 (zakres 1-11)

DR HAB. N. MED. DOMINIK DYTFFELD

KATEDRA I KLINIKA HEMATOLOGII I TRANSPLANTACJI SZPIKU UM W POZNANIU,
PREZES ZARZĄDU POLSKIEGO KONSORCJUM SZPICZAKOWEGO



W całym obszarze hematologii onkologicznej dokonuje się ogromny postęp dotyczący zarówno diagnostyki, jak i nowych terapii. Pojawiają się nie tylko nowsze generacje leków przeciwnowotworowych, ale optymalizowane są kombinacje już istniejących terapii, a także, co wydaje się jeszcze ważniejsze, pojawiają się zupełnie nowe technologie medyczne takie jak terapia CAR-T i przeciwciała bispecyficzne. Postęp niestety jest jednak dużo szybszy niż faktyczny dostęp do nowoczesnych terapii, które z definicji w Polsce są finansowane w ramach programów lekowych. Wpływa to istotnie na strategię terapii hematoonkologicznej, która w porównaniu do innych krajów EU jest suboptymalna. Z drugiej strony koszty nowoczesnych leków są bardzo wysokie co wymaga szerokiej dyskusji ekspertów, płatnika oraz producentów celem zdefiniowania takich rozwiązań, które zwiększą dostęp do nowoczesnych terapii dla populacji chorych, którzy z jednej strony potrzebują jej najbardziej, a z drugiej dla których korzyści będą największe. W perspektywie najbliższych 5 lat największy rozwój będzie dotyczył głównie immunoterapii, która jest technologią bardzo kosztowną, ale także ultra efektywną i to w tym właśnie obszarze dyskusja powinna być najgłębsza.

W kontekście udostępniania chorym nowoczesnych terapii warto zwrócić uwagę na funkcję Funduszu Medycznego, którego subfundusz terapeutyczno-innowacyjny zakłada dofinansowanie **technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności** (TLI). Jego celem jest udostępnienie pacjentom nowoczesnych leków dotychczas nierefundowanych ze środków publicznych. Technologie lekowe o wysokim poziomie innowacyjności objęte refundacją są realizowane w ramach programów lekowych i dedykowane lekom onkologicznym oraz stosowanym w chorobach rzadkich. [40] Oceny dokonuje AOTMiT (Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji) nie rzadziej niż raz w roku. Proces uwzględnia identyfikację technologii lekowych do szczegółowej oceny, analizę zgodnie z oceną technologii medycznych, opiniowanie przez Radę Przejrzystości, a także utworzenie wykazu TLI. W ramach analizy oceniane są charakterystyka ewaluowanej technologii lekowej, niezaspokojona potrzeba zdrowotna, ocena kliniczna oraz ocena ekonomiczna i wpływ na budżet płatnika. [41] Dodatkowo uwzględnia się wielkość populacji docelowej, jakość dowodów naukowych, siłę interwencji i niepewność wnioskowania.

Spośród technologii lekowych poddanych ocenie przez AOTMiT znalazło się 11 terapii, które Rada Przejrzystości zaopiniowała pozytywnie jako terapie o wysokim poziomie innowacyjności. Jedną z tych terapii dotyczyła obszaru nowotworów układu krwiotwórczego i chłonnego. **Polatuzumab wedotyny**, lek sierocy wskazany w leczeniu pacjentów z nawrotowym lub opornym chłoniakiem rozlanym z dużych komórek B, którzy nie kwalifikują się do przeszczepienia krwiotwórczych komórek macierzystych. [42] Przy czym, finalnie Ministerstwo Zdrowia, na podstawie opinii Rady Przejrzystości, Konsultantów Krajowych oraz Rzecznika Praw Pacjenta nie zamieściło polatuzumabu wedotyny na liście technologii o wysokim poziomie innowacyjności (TLI). [43]

KIM JEST PACJENT Z NOWOTWOREM KRWI?

Mediana wieku przy rozpoznaniu nowotworów układu krwiotwórczego i chłonnego wynosi 65 lat. [44, 45] Oznacza to, że liczba osób, u których wykrywany jest nowotwór hematologiczny powyżej i poniżej tego przedziału jest względnie taka sama. Mając na uwadze obowiązujący aktualnie w Polsce powszechny wiek emerytalny, a także wydłużający się czas aktywności zawodowej polskiego społeczeństwa można przyjąć, że co najmniej połowa pozytywnie zdiagnozowanych chorych jest wciąż aktywnych zawodowo. [44] W Polsce każdego roku rozpoznaje się około 9 tysięcy nowotworów krwi u dzieci i dorosłych. [46]

Ze względu na specyfikę nowotworów układu krwiotwórczego i chłonnego, podstawową metodą leczenia jest farmakoterapia, przy niewielkim udziale chirurgii i radioterapii. Wybór terapii zależy od podtypu choroby i charakterystyki klinicznej. [47] Dzięki postępowi w leczeniu, nowotwory krwi coraz częściej są chorobami o przebiegu pozwalającym pacjentom na normalne funkcjonowanie. Aby zapewnić odpowiednią opiekę konieczne jest jednak zastosowanie najnowszych terapii. [48]

DIAGNOZA

Zaczęło się od uderzeń gorąca i krwawień z nosa. Traktowałam je jednak jako przejściową słabość, która zawsze po chwili mijała. Bardzo często odczuwałam też ogólne rozbiecie, podobne do przeziębienia/grypy.

Jadwiga

O podejrzeniu białaczki poinformował mnie lekarz dyżurny w szpitalu. Zgłosiłem się tam, ponieważ zauważyłem od około miesiąca pogłębiający się brak wydolności organizmu, szybko pojawiające się siniaki oraz złą krzepliwość krwi.

Łukasz

Czas oczekiwania na konkretną diagnozę trwał około 3 mcy. Pobrane biopsje tarczycy przysły z wynikiem: badanie niediagnostyczne.

Ewa

Podczas kąpieli, schylając się po ręcznik - poczułem "pyk" w moim kręgosłupie i już nie mogłem się ruszyć. Przyjechała karetka zawiozła do szpitala, na konsultację został wezwany hematoonkolog i diagnoza została postawiona.

Krzysztof

W czasie podróży poczułam rozrywający ból w klatce piersiowej. Myślałam, że to zawał serca (...). Był październik, mieliśmy z mężem zaplanowaną na ten miesiąc wycieczkę na południe Europy. Bardzo się cieszyłam na ten wyjazd i mimo zmęczenia postanowiłam jechać. (...)

Po powrocie ponownie poszłam do lekarza, bo wciąż czułam się źle. Powiedziałam mu, że mój ojciec zmarł na białaczkę, chociaż nigdy wcześniej nawet nie pomyślałam, że ja sama mogłabym zachorować na tę chorobę. Po takiej informacji lekarz skierował mnie do Instytutu Hematologii w Warszawie

Janina

TRUDNOŚCI W KOMUNIKACJI Z LEKARZEM

Te trudności pojawiały się szczególnie na początku. Z powodu silnych emocji nie mogłam poradzić sobie z interpretacją komunikatów od lekarza, które były raczej bardzo rzeczowe, pozbawione aspektu emocjonalnego. Problemem była dla mnie również nomenklatura medyczna i zupełny brak jej zrozumienia.

Jadwiga

Nie odczułem trudności komunikacyjnych z lekarzem. Jest jasne, że ja i moi najbliżsi musieliśmy się doedukować. Fachowa terminologia i nazewnictwo, kiedy stawało się niezrozumiałe, było wyjaśniane i przekładane przez lekarza na język zrozumiały dla mnie, czy moich bliskich.

Łukasz

Doktor prowadząca była osobą profesjonalną, bardzo zachowawczą i oszczędną w słowach i emocjach. Oczekiwałam na pewno bardziej otwartej komunikacji, ale nigdy relacja ta mnie nie zawiodła.

Ewa

Wiedziałam na temat choroby bardzo dużo, bo przecież ojciec chorował, a my opiekowaliśmy się nim. Pamiętałam, jak lekarz mi wtedy powiedział, że ojciec, który był w umiarkowanej formie, ma przed sobą jeszcze siedem lat życia. I faktycznie, po siedmiu latach tata zmarł.

I ja w rozmowie z moją panią doktor zapytałam, czy przede mną jest też siedem lat życia. Na co ona odpowiedziała: „Zmieniły się czasy i spojrzenie na tę chorobę. Nie będziemy u pani stosować żadnych leków, bo u pani nie ma takiej potrzeby. Będziemy nadal obserwować, jak zachowują się limfocyty”.

Janina

Tej komunikacji po prostu nie było! Każdy termin medyczny brzmiał dla mnie jak język chiński, to generowało moje przerażenie. Komunikacja była za to z innymi pacjentami.

Gdyby nie rozmowa z nimi na forach internetowych, spotkaniach, czy szpitalnych korytarzach - to naprawdę nie wiem czy bym żył.

Krzysztof

ŻYCIE ZAWODOWE I SPOŁECZNE

Jeśli chodzi o życie zawodowe, ta zmiana nie była tutaj tak istotna, ponieważ czas diagnozy zbiegał się z planowanym przejściem na emeryturę. Natomiast, jeśli chodzi o względy społeczne starałam się z całych sił, aby tę aktywność zachować i bardzo pomogły mi w tym właśnie fundacje oraz zrzeszanie się w grupach wsparcia, organizacjach pacjenckich.

Jadwiga

Na szczęście choroba wyłączyła mnie z życia zawodowego jedynie na kilkanaście miesięcy. Moje leczenie było bardzo trudne, ponieważ groziły mi infekcje na skutek braku odporności. Leczenie zakończyło się przeszczepem. Po półrocznej rekonwalescencji wróciłem do pracy zawodowej.

Łukasz

Praca mnie aktywizuje. Nie wyobrażam sobie żebym jej nie miała.

Dbam o to, żeby mieć wolny czas. Spędzamy go z mężem na działce, chodzimy na basen – bardzo lubię pływać. Jeszcze do ubiegłego roku jeździłam na nartach, ale teraz mam problemy z kolanem, więc przestałam. Sport zawsze był obecny w naszym życiu.

Janina

Emocjonalnie, rodzinie, zawodowo ekstremalnie trudny czas, połączony z ogromną samotnością i bezradnością.

Krzysztof

Leczenie nie było łatwe, a skutki uboczne również mnie nie oszczędzały. Jednakże całkowicie nie zrezygnowałam z pracy zawodowej (...).

Ze względu na częste złe samopoczucie musiałam zrezygnować z wielu towarzyskich spotkań.

Ewa

LECZENIE W DOBIE PANDEMII

”

Początkowo był moment przerażenia. Sparaliżowana służba zdrowia, lęk o swoją przyszłość i możliwość kontynuacji leczenia onkologicznego (...). Ze względu na przewlekły charakter mojej choroby sam proces leczenia nie uległ wielkim zmianom. Wszystkie planowane wizyty kontrolne zostały zredukowane do minimum bądź przekształcone na e-konsultacje. Rytm leczenia został utrzymany.

Jadwiga



”

Na szczęście nie odczułam problemów z dostępnością lekarzy, badań czy konsultacji podczas pandemii. Wszystkie zaplanowane konsultacje i kontrole odbyły się o czasie. Brakowało mi jedynie spotkań "oko w oko" z lekarzem, ale w razie potrzeby na pewno udałooby się umówić i taką wizytę.

Ewa

”

Poradnia szpitala, w którym się leczyłem była zamknięta. Zadzwoiła do mnie Pani z rejestracji, że moja wizyta jest odwołana i nie wiadomo na jaki termin zostanie przełożona, bo szpital sparaliżowany, a lekarz chory na COVID.

Krzysztof

NOWOTWORY UKŁADU KRWIOTWÓRCZEGO I CHŁONNEGO: NA PRZYKŁADZIE WYBRANYCH JEDNOSTEK CHOROBY

Aby ułatwić dokładniejsze zrozumienie obszaru hematologii onkologicznej, a także możliwości oraz trudności w diagnostyce i leczeniu nowotworów związanych z układem krwiotwórczym, poniżej opisano szczegóły dwóch jednostek chorobowych: przewlekłej białaczki limfocytowej i szpiczaka plazmocytowego. Jednostki te zostały wybrane z uwagi na częstość występowania oraz znaczny postęp, jaki dokonał się w zakresie możliwości diagnostycznych i terapeutycznych.

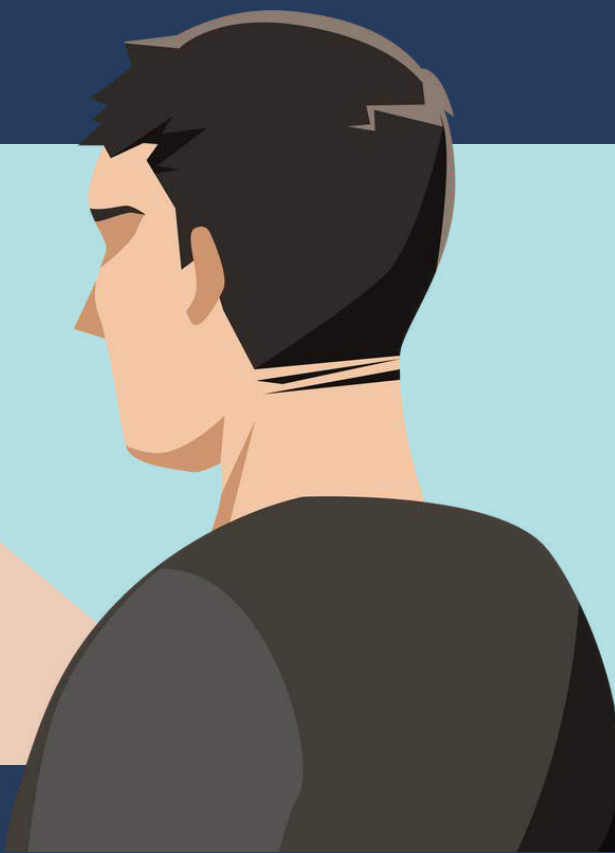
PRZEWLEKŁA BIAŁACZKA LIMFOCYTOWA OBRAZ CHOROBY

Przewlekła białaczka limfocytowa (PBL) zalicza się do nowotworów krwi charakteryzujących się nadmiernym gromadzeniem nieprawidłowych, monoklonalnych limfocytów B. [49] Jest to najczęstszy typ białaczki występujący na zachodniej półkuli, gdzie co roku na każde 100 tys. osób choruje przynajmniej 5. [50] Szczególnie narażone są osoby powyżej 65. roku życia, aczkolwiek około 10-15% chorych ma mniej niż 50 lat. [65] Wiek i występowanie rodzinne to obecnie jedyne uznane czynniki ryzyka zachorowań.

Przebieg przewlekłej białaczki limfocytowej jest bardzo zróżnicowany. Około 30% pacjentów nie ma żadnych objawów w chwili rozpoznania i w większości takich przypadków nie ma potrzeby podjęcia jakiegokolwiek formy leczenia. Diagnoza na tym etapie choroby to kwestia przypadku, który zawdzięczać można rutynowym kontrolom morfologii krwi. [51] Pozostali chorzy doświadczają objawów typowych dla nowotworów krwi zależnych od stopnia zaawansowania choroby. Obejmują one przede wszystkim powiększenie obwodowych węzłów chłonnych (limfadenopatia), rzadziej powiększenie wątroby (hepatomegalia), czy też śledziony (splenomegalia). Oprócz tego mogą wystąpić niespecyficzne dolegliwości, które łatwo pomylić z innymi chorobami.[52, 53]

OBJAWY PODMIOTOWE

- UTRATA MASY CIAŁA W CIĄGU OSTATNICH 6 MIES.
 - ZNACZNE OSŁABIE NIE
- WZMOŻONA POTLIWOŚĆ ZWŁASZCZA W NOCY
- GORĄCZKA ($>38^{\circ}\text{C}$) UTRZYMUJĄCĄ SIĘ ≥ 1 MIES.
 - NADMIERNA MĘCZLIWOŚĆ
- UCZUCIE PEŁNOŚCI W JAMIE BRZUSZNEJ I BÓL BRZUCHA



- ZAJĘCIE NARZĄDÓW POZALIMFATYCZNYCH (NAJCZĘŚCIEJ SKÓRY),
- POWIĘKSZENIE INNYCH NARZĄDÓW LIMFATYCZNYCH (PIERŚCIENIA WALDEYERA)
 - POWIĘKSZENIE WĄTROBY
 - POWIĘKSZENIE ŚLEDZIONY
- NIEBOLESNE POWIĘKSZENIE WĘZŁÓW CHŁONNYCH

OBJAWY PRZEDMIOTOWE

PBL znacząco wpływa na pogorszenie jakości życia (QoL, ang., *quality of life*) z powodu objawów samej choroby, toksyczności z zastosowanej terapii oraz utrudnionego funkcjonowania społecznego z nieuleczalną chorobą. Ponieważ mediana wieku w chwili rozpoznania PBL to 65 lat, pacjenci często muszą jednocześnie stawić czoła powyższym problemom oraz innym dolegającym im schorzeniom. [55] Pod względem emocjonalnym pogorszenie jakości życia jest również niezwykle istotne w przypadku młodszych pacjentów. Nawet w grupie zdiagnozowanej, ale nieleczonej może prowadzić do depresji i lęku spowodowanego świadomością choroby i możliwym jej rozwojem, a także leczeniem. Niektóre badania wskazują, że nawet około 1/4 takich pacjentów wymaga stosowania leków przeciwlękowych, podczas gdy w grupie leczonej podanie anksjolityków jest konieczne tylko u 15% chorych. [56]

Przewlekła białaczka limfocytowa jest w zdecydowanej większości przypadków chorobą nieuleczalną, a celem terapii są kontrola progresji choroby, przedłużenie życia i poprawa jego jakości. [67] Duże zróżnicowanie w przebiegu PBL przyczynia się do ciągłych poszukiwań czynników rokowniczych, które mogłyby stać się podstawą doboru strategii terapeutycznych i umożliwić osiąganie jak najlepszych wyników leczenia. Na przestrzeni ostatnich lat za czynniki rokownicze o największym znaczeniu prognostycznym i predykcyjnym uznano obecność delecji 17p/mutacji TP53 oraz stan mutacji genów dla części zmiennej łańcucha ciężkiego immunoglobulin (IGHV, ang., *variable region of the immunoglobulin heavy chain*). [65] Jak pokazują dane, najgorszym rokowaniem obciążeni są pacjenci z delecją 17p/mutacją TP53 poddawani standardowej terapii. Czas przeżycia w tej grupie wynosi 2-5 lat. [57-59] Czynnikiem związanym z niekorzystnym rokowaniem jest także brak mutacji IGHV przyczyniający się do bardziej agresywnego przebiegu choroby, krótszego czasu przeżycia chorych i krótkich czasów odpowiedzi na standardowe formy terapii. [60-64]

DIAGNOSTYKA PRZEWLEKŁEJ BIAŁACZKI LIMFOCYTOWEJ

Głównym badaniem stosowanym w celu zdiagnozowania PBL jest pełna morfologia krwi obwodowej wraz z rozmazem ręcznym. W laboratorium sprawdzana jest liczba i wygląd komórek krwi. Zbyt wysoka liczba nietypowych białych krwinek (limfocytów) może być oznaką PBL. W przypadku, gdy badanie morfologiczne wykaże nieprawidłowe wyniki w składzie krwi, następnym krokiem jest dokładniejsze badanie, czyli rozmaz ręczny krwi obwodowej oraz immunofenotypowanie. [54, 65-67] Na jego podstawie określana jest obecność charakterystycznego immunofenotypu limfocytów typu B. Pobranie szpiku kostnego nie jest konieczne do postawienia diagnozy PBL. Należy je jednak wykonać w przypadku cytopenii w celu wyjaśnienia jej przyczyny oraz może być pomocne w przypadku, gdy immunofenotypowanie nie jest wystarczające do postawienia bądź wykluczenia diagnozy PBL. [65, 68] W chwili obecnej istotną rolę odgrywają badania cytogenetyczne i molekularne, gdyż ich wyniki mogą mieć wpływ na stosowane leczenie oraz pozwalają dokładnie określić typ białaczki i czynniki rokownicze niezbędne do wyboru odpowiedniej strategii leczenia. Przed każdą linią leczenia powinno być wykonywane badanie pod kątem delecji 17p/mutacji TP53, ponieważ częstość ich występowania zwiększa się wraz z progresją choroby. Przed rozpoczęciem leczenia pierwszej linii należy również ocenić stan mutacji genów IGHV. [65]

LECZENIE PRZEWLEKŁEJ BIAŁACZKI LIMFOCYTOWEJ

Gdy diagnoza jest już postawiona należy przystąpić do oceny stopnia zaawansowania choroby i określenia mediany przeżycia za pomocą klasyfikacji Rai lub Binet. Stanowią one istotny parametr decydujący o rozpoczęciu leczenia chorych na PBL. Nie pozwalają jednak na wyodrębnienie chorych, u których rokowanie jest niekorzystne w grupie pacjentów z białaczką we wczesnym etapie. [65, 69, 70]

Osoby z nieprogresywną i bezobjawową postacią choroby wymagają jedynie obserwacji lekarskiej. W tym przypadku wizyty kontrolne powinny odbywać się co 3-12 miesięcy. Kiedy choroba zaczyna postępować kolejnym etapem jest wybranie odpowiedniej strategii terapeutycznej, która powinna być dostosowana indywidualnie do każdego chorego biorąc pod uwagę ogólny stan organizmu, obecność chorób współistniejących oraz czynniki rokownicze (takie jak delecja 17p/mutacja TP53 oraz stan mutacji genów dla IGHV). [67]

W terapii PBL istotne znaczenie ma podawanie najskuteczniejszego leczenia już na początku choroby. Podkreśla się, że wdrożone postępowanie terapeutyczne może mieć wpływ na kolejne linie leczenia. Największe korzyści ze stosowania wysoce skutecznych terapii odnotowywane są w przypadku pierwszych linii leczenia, co daje możliwość wydłużenia czasu przeżycia wolnego od progresji choroby i umożliwia odroczenie w czasie stosowania kolejnych schematów leczenia. [71]

W ostatnich latach nastąpił olbrzymi postęp w leczeniu PBL poprzez zastosowanie bardzo skutecznych terapii celowanych oraz immunoterapii. Zgodnie z najnowszymi wytycznymi PTHiT + PALG-CLL (Grupa Robocza Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów i Stowarzyszenie Polskiej Grupy ds. Leczenia Białaczek u Dorosłych) w pierwszej linii leczenia immunochemioterapia jest zalecana jedynie u chorych bez delekcji 17p/mutacji TP53, ze zmutowanymi genami dla IGHV. Pozostali chorzy ze względu na gorsze rokowanie powinni otrzymać nowe terapie celowane. Na opracowanej w 2020 roku przez środowisko hematologów liście priorytetów refundacyjnych w omawianym obszarze, w czołowej piątce znalazły się aż 3 terapie dedykowane przewlekłej białaczce limfocytowej: ibrutynib, akalabrutynib, wenetoklaks (odpowiednio pierwsze, czwarte i piąte miejsce na liście). [72] Mając na uwadze mnogość jednostek chorobowych w obszarze nowotworów krwi, tak wysokie lokowanie pokazuje skalę niezaspokojonej potrzeby medycznej. W listopadzie 2021 roku finansowaniem w 1 linii leczenia objęto ostatni ze wskazanych leków (wenetoklaks), co jest częściową odpowiedzią na zgłaszane postulaty środowiska, jednak wciąż uniemożliwia prowadzenie spersonalizowanej terapii w grupie chorych wysokiego ryzyka progresji. Jak wskazują wytyczne, tylko i wyłącznie inhibitory BTK (akalabrutynib, ibrutynib) w pełni odpowiadają na potrzeby terapeutyczne całej grupy wysokiego ryzyka progresji. W przypadku opornej/nawrotowej PBL zalecane jest stosowanie nowych terapii celowanych, z kolei immunochemioterapia jest wskazana przede wszystkim u chorych z długą odpowiedzią na leczenie pierwszej linii. [65] Wprowadzone na przestrzeni ostatnich lat decyzje refundacyjne pozwalają na leczenie zgodne z wiedzą medyczną wyłącznie w przypadku wenetoklaksu. Poza listą refundacyjną znajduje się: akalabrutynib, idelalizyb oraz ibrutynib (I linia leczenia). [73]

LEKI ZALECANE PRZEZ PTHIT + PALG W 1 LINII PBL

BRAK DEL17P/MUTACJI TP53

ZMUTOWANE GENY DLA IGHV
BEZ CHORÓB
WSPÓLISTNIEJĄCYCH

Z CHOROBAMI
WSPÓLISTNIEJĄCYMI

NIEMUTOWANE GENY DLA IGHV
BEZ CHORÓB
WSPÓLISTNIEJĄCYCH

Z CHOROBAMI
WSPÓLISTNIEJĄCYMI

OBECNOŚĆ
MUTACJI
DEL17P/
MUTACJI TP53

TERAPIE CELOWANE

IDEALIZYB, RYTUKSYMAB				
WENETOKLAKS, OBINUTUZUMAB				
IBRUTYNIB				
AKALABRUTYNIB				

IMMUNOCHEMIOTERAPIA

FLUDARABINA, CYKLOFOSFAMID (FCR)				
KLADRYBINA, CYKLOFOSFAMID, RYTUKSYMAB				
BENDAMUSTYNA, RYTUKSYMAB (BR)				
OBINUTUZUMAB, CHLORAMBUCYL				

LEKI ZALECANE PRZEZ PTHIT+PALG W NAWROTOWEJ / OPORNEJ PBL

BRAK OBECNOŚCI MUTACJI DEL17P/MUTACJI TP53

NAWRÓT PO UPŁYWIE 36
MIESIĘCY OD ROZPOCZĘCIA
TERAPII 1 LINII

NAWRÓT PRZED UPŁYWEM 36
MIESIĘCY OD ROZPOCZĘCIA
TERAPII 1 LINII

OBECNOŚĆ
MUTACJI
DEL17P/MUTACJI
TP53

KLADRYBINA, CYKLOFOSFAMID, RYTUKSYMAB			
BENDAMUSTYNA, RYTUKSYMAB (BR)			
OBINUTUZUMAB, CHLORAMBUCYL			
IBRUTYNIB			
AKALABRUTYNIB			
WENETOKLAKS, RYTUKSYMAB			
WENETOKLAKS			
IDEALIZYB, RYTUKSYMAB			

1 - >65 lat i/lub zakażenia w wywiadzie

2- refundacja w programie lekowym dla chorych z nawrotem/progresją lub dla chorych z przeciwwskazaniami do leczenia protokołem z wenetoklaksem z ChPL lub programem lekowym (B.103, część I) u chorych z wczesnym nawrotem PBL po pierwszej linii immunochemioterapii (definiowanym jako progresja PBL między 6. a 24 mies. od zakończenia uprzedniego leczenia) albo u chorych z opornością na immunochemioterapię (definiowaną jako brak odpowiedzi lub nawrót PBL do 6 mies. od zakończenia uprzedniego leczenia)



LEK REFUNDOWANY

LEK NIEREFUNDOWANY

PROF. IWONA HUS

KIEROWNIK ODDZIAŁU CHORÓB UKŁADU CHŁONNEGO KLINIKI HEMATOLOGII
INSTYTUTU HEMATOLOGII I TRANSFUZJOLOGII W WARSZAWIE, PREZES POLSKIEGO
TOWARZYSTWA HEMATOLOGÓW I TRANSFUZJOLOGÓW.



Przewlekła białaczka limfocytowa (PBL) jest najczęstszą białaczką u osób dorosłych, dlatego uwzględnienie tej jednostki chorobowej w Raporcie dotyczącym sytuacji pacjentów hematologicznych w Polsce jest w mojej opinii bardzo zasadne. Postęp jaki dokonał się w ostatnich latach w poznaniu biologii PBL sprawił, że jej leczenie staje się coraz bardziej spersonalizowane. Ponadto, coraz większą rolę odgrywają nowe terapie celowane, a zmniejsza się znaczenie chemioterapii. Jak podkreślono w Raporcie, zgodnie z aktualną wiedzą do najważniejszych aspektów, które należy uwzględnić przy wyborze optymalnej terapii należą genetyczne czynniki prognostyczne, takie jak obecność delecji 17p/mutacji TP53 i stan mutacji genów IGVH. To co jest szczególnie istotne w przypadku chorych z delecją 17p/mutacją TP53 to brak skuteczności chemioterapii, co sprawia, że nie powinni oni być w ogóle być leczeni chemioterapią i nowe terapie celowane powinny być u nich zastosowane już od pierwszej linii. Jest to obecnie moim zdaniem największy problem dla tej grupy chorych w Polsce, ponieważ w razie wskazań do rozpoczęcia terapii muszą otrzymać leczenie, które nie będzie skuteczne, a może niestety być obciążone toksycznością. Ponadto, stan pacjenta może w tym czasie ulec istotnemu pogorszeniu co będzie mieć niekorzystny wpływ na wyniki leczenia 2. linii. Podobna sytuacja dotyczy chorych z niezmutowanym statusem genów dla IGVH, z powodu krótkiego czasu odpowiedzi na immunochemioterapię. Z powyższych względów należy dołożyć wszelkich starań, aby nowe terapie celowane były dla tych grup pacjentów dostępne już od pierwszej linii. Kwalifikacja chorych do odpowiedniej metody leczenia wiązałaby się z koniecznością wykonania badań czynników prognostycznych. Delecja 17p i mutacja TP53 są w Polsce wykonywane u chorych z oporną/nawrotową PBL, natomiast stan mutacji genów dla IGVH oceniany jest obecnie rzadko ponieważ nie ma możliwości zastosowania odpowiedniego leczenia w zależności od wyniku. W przypadku pojawienia się odpowiedniej refundacji takie oznaczenia można wykonać w Polsce w certyfikowanych laboratoriach.

Sytuacja chorych na oporną/nawrotową PBL w Polsce w odniesieniu do dostępu do nowych leków jest znacznie lepsza i możemy zastosować leczenie bliższe standardom międzynarodowym. Kwestia, którą warto byłoby zmienić to możliwość szerszego zastosowania nowych terapii celowanych nie tylko w sytuacji oporności na immunochemioterapię kolejnej linii. Jest to bardzo ważne z klinicznego punktu widzenia, ponieważ u chorych np. po dwóch liniach immunochemioterapii, nawet jeśli była ona wcześniej skuteczna nie mamy obecnie dobrej opcji terapii. Należy przy tym pamiętać o działaniach niepożądanych leków cytotoksycznych, szczególnie przy stosowaniu ich kolejny raz, przykładem może być fludarabina, której ponowne stosowanie nie jest zalecane z uwagi na działania niepożądane takie jak mielo- czy immunosupresja lub zwiększone ryzyko wtórnych nowotworów. Inny często stosowany lek, bendamustyna również ma działanie mielo- i immunosupresyjne.

Podsumowując, w ciągu ostatnich lat wiele zmieniło się również w Polsce w leczeniu chorych PBL, co wpłynęło istotnie na poprawę sytuacji pacjentów. W chwili obecnej największą potrzebą jest zapewnienie chorym z obecnością niekorzystnych czynników rokowniczych skutecznego leczenia już od pierwszej linii.



SZPICZAK PLAZMOCYTOWY

OBRAZ CHOROBY

Szpiczak plazmocytowy (SzP) jest nowotworem wywodzącym się z komórek B w końcowym etapie różnicowania. Charakteryzuje się niekontrolowanym rozrostem nieprawidłowych plazmocytów, czyli komórek, których podstawowym zadaniem jest wytwarzanie przeciwciał. Do zaburzenia w rozwoju komórek plazmatycznych dochodzi po dokonaniu rekombinacji klasy łańcucha ciężkiego immunoglobuliny, które w przypadkach typowych wydzielają białko monoklonalne. [74]

Dokładna liczba przypadków szpiczaka plazmocytoowego rozpoznawanych w Polsce jest trudna do ustalenia. Co roku o chorobie dowiaduje się ponad 2 000 osób. Około 90% przypadków to osoby, które ukończyły 50 lat, a mediana wieku w chwili rozpoznania choroby to 70 lat. [74] SzP odpowiada za 1-2% wszystkich zachorowań na nowotwory i 18% przypadków nowotworów krwi. Jest drugim wraz z chłoniakiem DLBCL (rozlanym z dużych komórek B) pod względem częstości zachorowań nowotworem układu limfoidalnego po przewlekłej białaczce limfocytowej. [10]

Jak dotąd nie poznaliśmy dokładnej przyczyny choroby. Wiadomo jednak, że istnieją czynniki zwiększające ryzyko rozwoju SzP. Prawdopodobnie należy do nich narażenie na niektóre substancje chemiczne (np. chlorek metylenu, pestycydy, metale ciężkie, azbest, akroleina, toluen). Zwiększone ryzyko zachorowania na szpiczaka plazmocytoowego zaobserwowano u osób z nadwagą oraz otyłością. Istotny jest także wpływ czynników genetycznych. Metylacja odcinków promotorowych genów CDKN2A lub CDKN2B wiąże się z kilkukrotnym wzrostem ryzyka zachorowania. [75]

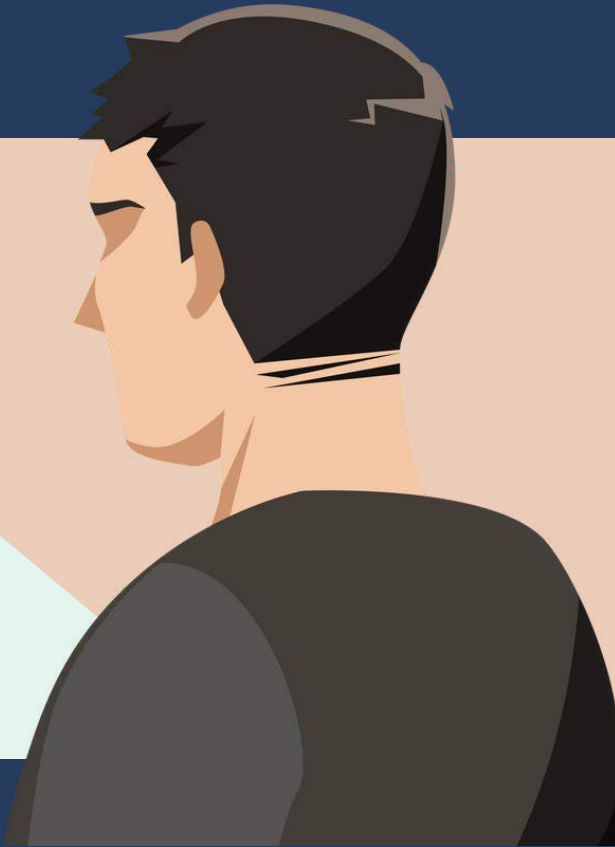
Całkowite wyleczenie szpiczaka plazmocytoowego jest właściwie niemożliwe. Nawet jeśli pierwsza linia leczenia okaże się bardzo skuteczna, prędzej czy później do nawrotu lub progresji. Po każdym z nich czas odpowiedzi na leczenie skraca się, a choroba z biegiem czasu postępuje coraz szybciej. [74]

Choroba rozwija się stopniowo i powoli. Przez długi czas nie wywołuje żadnych objawów. Dolegliwości pojawiają się i nasilają w miarę odkładania coraz większej liczby nieprawidłowych plazmocytów w szpiku. Wtedy maleje liczba prawidłowych krwinek, a zmienne nowotworowo plazmocyty uwalniają duże ilości nieprawidłowego przeciwciała (tzw. białka M), które może uszkodzić m.in. nerki lub krew. Odkładając się w szpiku, nieprawidłowe plazmocyty przyspieszają rozkład i uszkadzają kości. [10, 74] Przebieg choroby może być bardzo zróżnicowany u poszczególnych pacjentów.

Należy pamiętać, że nie wszystkie objawy dotyczą każdego chorego, a większość z nich pojawia się, kiedy choroba jest bardziej zaawansowana. [10]

OBJAWY PODMIOTOWE

- OGÓLNE OSŁABIENIE I UTRATA MASY CIAŁA
- BÓL KOŚCI
- PRZEMĘCZENIE, UTRATA KONCENTRACJI I UWAGI, BÓL GŁOWY, BŁADOŚĆ
- OBRZĘKI KOŃCZYN, NADCIŚNIENIE TĘTNICZE
- BÓL PODCZAS ODDAWANIA MOCZU
- ZABURZENIA RUCHU, CZUCIA, NIETRZYMANIE MOCZU LUB STOŁCA



- PATOLOGICZNE ZŁAMANIA
- HIPERKALCEMIA
- OBJAWY NIEWYDOLNOŚCI NEREK (CZĘSTO NP. NEFROPATIA WAŁECZKOWA)
- NIEDOKRWISTOŚĆ
- NAWRACAJĄCE ZAKAŻENIA UKŁADU ODDECHOWEGO I MOCZOWEGO
- GUZY PLAZMOCYTOWE POZASZPIKOWE
- POWIĘKSZENIE WĄTROBY

OBJAWY PRZEDMIOTOWE

DIAGNOSTYKA SZPICZAKA PLAZMOCYTOWEGO

Pierwszymi niepokojącymi wynikami w zakresie badań diagnostycznych powinien być wysoki wynik OB przy jednoczesnym niskim wyniku CRP. Taki wynik wraz z obrazem potencjalnych dolegliwości pacjenta powinien skłonić do głębszej analizy oraz poszukiwania odpowiedzi na pytanie o przyczynę występujących zaburzeń. Zauważono, że pacjenci, u których diagnozowany jest szpiczak plazmocytowy, spędzają wiele miesięcy na poszukiwaniu przyczyny złego stanu zdrowia, korzystając jednocześnie z porad lekarzy wielu specjalności – lekarza podstawowej opieki zdrowotnej, reumatologa czy ortopedy. Lekarze podstawowej opieki zdrowotnej, często mocno obciążeni pracą, nie biorą pod uwagę choroby krwi jako jednej z przyczyn, dlatego też w 2019 roku przygotowany został przez Polską Grupę Szpiczakową algorytm wczesnej diagnostyki szpiczaka plazmocyтового. Narzędzie bierze pod uwagę informacje pochodzące z wywiadu z pacjentem oraz dane wynikające z badań diagnostycznych. Kluczowym elementem wskazującym na konieczność przeprowadzenia diagnostyki pogłębionej są analizowane wspólnie wyniki OB i CRP. [17]

Aby potwierdzić rozpoznanie szpiczaka plazmocyтового, trzeba sprawdzić, czy w szpiku gromadzą się nieprawidłowe plazmocyty. W tym celu konieczne jest przeprowadzenie badania immunofenotypowego lub immunohistochemicznego szpiku, bądź materiału pobranego poprzez biopsję tkankową pozaszpikowego guza plazmocyтового. Oprócz tego należy wykonać szereg badań, aby ustalić czy komórki nowotworowe uszkodziły inne tkanki (np. krew, kości, nerki). Konieczne jest badanie krwi obejmujące oznaczenie poziomu wapnia, kreatyniny i hemoglobiny. Standardem są również badania obrazowe takie jak tomografia komputerowa lub pozytonowa tomografia emisyjna, bądź rezonans magnetyczny wykonywane w celu wykrycia ewentualnych ognisk zmian osteolitycznych i nacieków kośćca. Jeśli u pacjenta wykryto zarówno obecność nieprawidłowych plazmocyтов, jak i uszkodzenia narządowe — rozpoznaje się szpiczaka plazmocyтового. Jeśli inne narządy nie są uszkodzone, ale chore komórki odkładają się w szpiku kostnym — rozpoznaje się jedną z bezobjawowych postaci choroby, która później może rozwinąć się i przejść w objawową. [74]

Rozpoznanie SzP to jednak nie koniec procedury diagnostycznej. Obecnie standardem postępowania u pacjentów ze szpiczakiem jest diagnostyka cytogenetyczna metodą fluorescencyjnej hybrydyzacji in situ (FISH; ang. fluorescent in situ hybridization). Pozwala ona na wykrycie, które zmiany genetyczne wystąpiły w pobranych ze szpiku plazmocytach. Wiadomo, że obecność części z nich wiąże się z pogorszeniem rokowania i wymaga odpowiedniego dostosowania postępowania terapeutycznego. [74]

LECZENIE SZPICZAKA PLAZMOCYTOWEGO

Leczenie szpiczaka plazmocyтового jest ściśle zależne od sytuacji konkretnego pacjenta. Przy wyborze właściwej metody bierze się pod uwagę wiek, sprawność fizyczną i historię chorób pacjenta, a także stopień zaawansowania i przebieg nowotworu. Wybór kolejnych metod leczenia zależy także od tego jaką terapię zastosowano już wcześniej i jakie efekty udało się w ten sposób osiągnąć. Bardzo ważne jest to, czy pacjent dobrze tolerował leczenie pierwszej linii. [74]

U chorych na szpiczaka plazmocytoowego wykorzystuje się między innymi przeszczep szpiku, chemioterapię, glikokortykosteroidy, leki immunomodulujące, radioterapię i coraz bardziej obiecującą immunoterapię. Oprócz terapii przeciwnowotworowej, bardzo ważne jest leczenie wspomagające. Jego celem jest:

- zapobieganie powikłaniom choroby,
- leczenie powikłań, jeśli wystąpią,
- niwelowanie działań niepożądanych terapii. [74]

Całkowite wyleczenie choroby zdarza się bardzo rzadko. W ostatnich latach nastąpił jednak znaczny postęp w leczeniu szpiczaka. Nowe schematy terapeutyczne pozwalają na znaczące wydłużenie życia pacjentów i opóźnienie rozwoju nowotworu. Dają zdecydowanie większe szanse na remisję, czyli ustąpienie wszystkich objawów i oznak choroby. [74]

Opublikowane przez Polską Grupę Szpiczakową (PGS) zalecenia dotyczące rozpoznawania i leczenia szpiczaka plazmocytoowego na rok 2021 wskazują na korzyści wynikające ze stosowania nowoczesnych terapii już od pierwszej linii leczenia, zarówno u pacjentów kwalifikujących się do przeszczepu szpiku jak i u pozostałych. Niestety dostęp polskich pacjentów do wielu z tych metod jest krytycznie ograniczony ze względu na brak refundacji. [74] Problem jest szczególnie widoczny w przypadku daratumumabu — przeciwciała skierowanego przeciwko zmienionym nowotworowo plazmocytom, [76] które jest skuteczne w każdej linii leczenia, a ponadto może być stosowane nie tylko w połączeniu z różnymi lekami, ale także w monoterapii. Refundacja w ramach programu lekowego obejmuje niestety wyłącznie zastosowanie daratumumabu w połączeniu z bortezomibem i lenalidomidem. [73]

LEKI ZALECANE PRZEZ PGSZ W LECZENIU 1 RZUTU

 TALIDOMID	 ETOPOZYD	 BORTEZOMIB	 ARABINOZYD CYTOZYN	 CYKLOFOSFAMID
 MELFALAN	 BENDAMUSTYNA	 DOKSORUBICYN	 DARATUMUMAB	 LENALIDOMID

LEKI ZALECANE PRZEZ PGSZ W KOLEJNYCH LINIACH LECZENIA

 TALIDOMID	 ETOPOZD	 BENDAMUSTYNA	 BORTEZOMIB	 CYKLOFOSFAMID
 DOKSORUBICYN	 CISPLATYNA	 DARATUMUMAB	 IKSAZOMIB	 LENALIDOMID
 KARFILZOMIB	 POMALIDOMID	 BELANTAMAB MAFODOTIN	 IZATUKSYMAB	 ELOTUZUMAB



LEK REFUNDOWANY



LEK REFUNDOWANY W
CZĘŚCI



LEK NIEREFUNDOWANY

PROF. KRZYSZTOF GIANNOPOULOS

KIERUJĄCY ODDZIAŁEM HEMATOLOGICZNYM CENTRUM ONKOLOGII ZIEMI
LUBELSKIEJ IM JANA Z DUKLI, KIEROWNIK ZAKŁADU HEMATOONKOLOGII
DOŚWIADCZALNEJ I PROFESOR ZWYCZAJNY UNIWERSYTETU MEDYCZNEGO W
LUBLINIE



W ostatnich latach obserwowano się wydłużenie przeżycia chorych na szpiczaka plazmocytozy. Jest to konsekwencją nowych rejestracji leków oraz zwiększeniem skuteczności farmakoterapii. Szpiczak plazmocytozy charakteryzuje się nawrotowym przebiegiem. Progresja występuje najczęściej w ciągu 3 lat od uzyskania remisji. Czas trwania remisji po nawrocie zmniejsza się z każdą kolejną linią leczenia. Dlatego ważny jest wybór najskuteczniejszej terapii już od pierwszej linii leczenia oraz dostępność do jak największej liczby nowych terapeutyków w kolejnych liniach leczenia. Wybór terapii drugiego i kolejnych rzutów uzależniamy od odpowiedzi uzyskanej na leczenie pierwszej linii, stosowanych leków we wcześniejszych terapiach oraz toksyczności leczenia. Optymalna sekwencja linii leczenia nie została określona, dlatego decydując się na zmianę leczenia uwzględniamy dostępność do określonej terapii oraz rozpoczynamy leczenie od leków o dowiedzionej skuteczności w nawrotowym szpiczaku. Niestety dostępność do terapii pierwszego wyboru zalecanych przez Europejskie Towarzystwa Onkologii Medycznej (ESMO) zawiera terapie, które nie są refundowane w Polsce. Do każdej z terapii zalecane jest dodanie daratumumabu, a trzonem terapii jest lenalidomid z deksametazonem stosowany w największej grupie chorych niekwalifikujących się do przeszczepienia. W zależności od wrażliwości na lenalidomid i bortezomib w leczeniu pierwszego rzutu dobierane są kolejne leki, które zostały ostatnio zarejestrowane w Europie i w większości w Polsce nie są refundowane (izatuksimab, belantamab mafodotyny, panobinostat, elotuzumab, czy selineksor). Z kolei dostępność do innych nowych leków (daratumumab, lenalidomid, karfilzomib, iksazomib) jest trochę mniejsza niż w innych krajach europejskich. Te leki dostępne są w programach lekowych, jednak nie jest to leczenie stosowane na szeroką skalę, ze względu na ograniczenia włączenia do terapii w programie lekowym. Poza tym istnieją pewne modyfikacje tego leczenia, np.: daratumumab jest stosowany w połączeniu tylko ze schematem VD, a wiemy, że inne połączenia tego leku są bardziej skuteczne. Podobnie jest w przypadku karfilzomibu, który może być stosowany wyłącznie w leczeniu pomostowym w połączeniu z lenalidomidem i deksametazonem (KRd) lub w schemacie Kd, a wiemy, że z tego leczenia skorzystałaby większa grupa chorych.

Dynamicznie rozwijają się terapie celujące na BCMA - belantamab mafodotyny i idecabtagene vicleucel, ten ostatni jest pierwszym terapeutycznym z grupy CART zarejestrowanym w Unii Europejskiej do terapii chorych na szpiczaka.

Chorzy na szpiczaka plazmocytozy są jedną z grup najbardziej narażonych na niekorzystny przebieg Covid-19. Dowody pokazujące, że śmiertelność wśród chorych na szpiczaka plazmocytozy, którzy byli zarażeni koronawirusem wynosiła od 30 do 60 proc. w zależności od raportowanej populacji, zebraliśmy już pod koniec tamtego roku. Dane z tego roku pokazują mniejszą skuteczność szczepień przeciwko COVID-19, co powoduje modyfikację zasad postępowania. Ważnym czynnikiem jest oczywiście ograniczenie kontaktów międzyludzkich, co niestety jest bardzo trudne w momencie aktywnej choroby, którą trzeba leczyć. Zalecenia Polskiej Grupy Szpiczakowej przygotowane na czas pandemii przewidywały ograniczanie hospitalizacji, nie oznaczały jednak ograniczania monitorowania leczenia i skuteczności terapii. Ważnym elementem modyfikacji leczenia, czyli zachowania skuteczności przy ograniczeniu liczby wizyt było optymalne wykorzystanie w pełni doustnych terapii wydawanych w programach lekowych pacjentowi na trzy lub nawet sześć miesięcy, zachowując odpowiedni monitoring. Pojawiły się też nowe formuły leków, czyli np. formuła podania podskórnego daratumumabu. O ile firmy w badaniach klinicznych komercyjnych i niekomercyjnych bardzo szybko przeszły na tę formułę, czyli z formy dożylną na podskórną i część pacjentów w czasie pandemii skorzystała z tego, to niestety dostępność w ramach programu lekowego jest tylko do formuły dożylną. To wiąże się niestety z dużo dłuższą hospitalizacją, a więc także z większym ryzykiem narażenia na każdą infekcję, w tym też wirusem SarsCov-2.

Biorąc pod uwagę planowane wejście lenalidomidu generycznego na polski rynek, należy podkreślić, że jest to główny lek stanowiący trzon terapii chorych na szpiczaka. Wraz z dostępnością do leku generycznego można się spodziewać zmiany formy refundacji i przejścia leku do katalogu chemioterapii, co zwiększy dostęp do tego leku. Lek jest zarejestrowany do terapii chorych w pierwszej i kolejnych liniach leczenia oraz do terapii podtrzymującej w szpiczaku. Jako że lek jest doustny na pewno zastąpi schematy z bortezomibem w grupie chorych niekwalifikujących się do przeszczepienia w pierwszej linii leczenia. Leczenie jest stosowane w sposób ciągły, także liczba chorych leczonych lenalidomidem znacznie wzrosła. Obniżka ceny i wprowadzenie lenalidomidu spotka się z dużym entuzjazmem chorych i lekarzy, ale będzie wymagało dużych zmian w programach lekowych, aby nadążały za rekomendacjami ESMO.



NOWOTWORY UKŁADU KRWIOTWÓRCZEGO I CHŁONNEGO W DOBIE PANDEMII COVID-19

Zakażenia wirusem SARS-CoV-2, które w bardzo szybkim tempie wzrosły do rozmiarów pandemii, niosą z sobą wiele niewiadomych, ale także konieczność stworzenia rozwiązań umożliwiających funkcjonowanie w nowej rzeczywistości. Pojawienie się wirusa nie zatrzymało w żaden sposób zachorowań na nowotwory związane z układem krwiotwórczym. W niniejszym rozdziale przedstawione zostały zmiany, jakich dokonano w dobie pandemii – wskazując na korzyści i utrudnienia, zarówno dla pacjentów, jak i systemu ochrony zdrowia. Wystąpienie epidemii wpłynęło również na ocenę systemu opieki zdrowotnej. Według badania ankietowego (n=1066) przygotowanego w 2020 przez Instytut Innowacji i Odpowiedzialnego Rozwoju INNOWO, postrzegane znaczenie systemu opieki zdrowotnej znacznie wzrosło w wyniku pandemii COVID-19. 87% respondentów zauważyło wzrost znaczenia opieki zdrowotnej, a około 55% oceniło, że waga sprawy wyraźnie wzrosła. [77]

Warto zaznaczyć, że w wyniku epidemii zwiększyła się śmiertelność Polaków. Łączna liczba zgonów w Polsce, w latach poprzednich (2017-2019) kształtowała się na podobnym poziomie (405-414 tys.). Zmianę w odniesieniu do ww. parametru zaobserwować można wraz z pojawieniem się i rozwojem epidemii COVID-19. W 2020 roku, odsetek zgonów wzrósł o 16,7%, gdy zmarło niemal 480 tys. Polaków. Zarejestrowana liczba zgonów w 2020 roku, przypisywanych zakażeniu COVID-19 w Polsce wyniosła 28 551. [78] Odnosząc ww. wynik do znacznego wzrostu łącznej liczby zgonów (porównanie roku 2020 do lat poprzednich) spodziewać się można ograniczeń w zakresie raportowania śmiertelności z ww. przyczyny.

Pacjenci z nowotworami krwi, podobnie jak wielu innych chorych na choroby przewlekłe, bardzo obawiają się zakażenia wirusem SARS-CoV-2. W ich przypadku przebieg infekcji jest cięższy, a ryzyko zgonu po zachorowaniu na COVID-19 jest zdecydowanie wyższe niż u osób bez nowotworu. [79-83] Oprócz tego, niektóre leki stosowane w leczeniu nowotworów krwi, dodatkowo zwiększają ryzyko ciężkich infekcji. [84, 85] Istotnym problemem zaistniałym w związku z pandemią COVID-19 jest znaczny spadek profilaktyki chorób wynikający m.in. z powodu obniżonej zgłaszalności do lekarzy w 2020 r. [16]

Obawy pacjentów są zrozumiałe, jednak opóźnianie wizyt zmniejsza szansę na szybką diagnozę, wdrożenie niezbędnego leczenia, a tym samym poprawę rokowań chorego. Faktem jest, że aby uniknąć niepotrzebnego narażania pacjentów i personelu na zakażenie, leczenie nowotworów krwi w dobie pandemii wymaga radykalnych zmian. Jednym ze sposobów na zmniejszenie ryzyka zakażeń wirusem SARS-CoV-2 u pacjentów z nowotworami krwi jest ograniczenie do absolutnego niezbędnego minimum czasu spędzonego w szpitalu i liczby wizyt w placówkach medycznych. [86, 87]

W takich okolicznościach zastosowanie nowoczesnych, doustnych leków jest szczególnie ważne, ponieważ pacjenci mogą zażywać je samodzielnie w domu, bez konieczności wizyty w placówce medycznej. [86-88] Ponadto, w przypadku takich chorób jak szpiczak plazmocytowy i przewlekła białaczka limfocytowa znaczenie ma wiek chorego. Dla części **37**

osób będącej w podeszłym wieku dojazdy na wizyty i hospitalizacje są trudne, stąd bardzo przydatne jest zastosowanie terapii doustnej. [89] W przypadku, gdy skuteczność takiej terapii jest porównywalna z formą dożylną, dodatkowymi argumentami przemawiającymi za korzystaniem z opcji doustnej jest unikanie wlewów, a także wygoda stosowania. Warto jednak zwrócić uwagę, że takie rozwiązanie jest w większości preferowane tylko, jeśli nie wiąże się z gorszą odpowiedzią, ani krótszym czasem skuteczności leczenia. Istotne korzyści z podawania doustnego zauważyć można również z perspektywy płatnika. Zwiększenie odsetka pacjentów, którzy mogą przyjmować terapię drogą doustną pozwala na zmniejszenie kosztów leczenia poprzez ograniczenie hospitalizacji na rzecz leczenia ambulatoryjnego. Niezwykle istotne jest również umożliwienie zmniejszenia nakładu pracy wyspecjalizowanego personelu medycznego, który jest szczególnie obciążony w czasie trwania epidemii. [90, 91]

W 2020 ROKU W PORÓWNANIU DO 2019 ROKU W POLSCE

33%

spadek liczby wydanych kart
Diagnostyki i Leczenia
Onkologicznego

31%

mniej postawionych wstępnych
diagnoz pacjentów onkologicznych

W 2020 ROKU W POLSCE

24%

planowanych wizyt pacjentów onkologicznych zostało przełożonych

NA ŚWIECIE

46%

spadek nowo rozpoznanych
nowotworów (2020 vs 2019) - USA;

26%

spadek nowych tygodniowych diagnoz
(04.2020 vs 01.2020) - Holandia

45%

spadek nowych diagnoz w 2020 vs
2018 i 2019 roku - Włochy

30%

spadek nowych diagnoz (04.2020 vs
04.2019) - Niemcy

WYZWANIA DLA PROFESJONALISTÓW I SYSTEMU

- Organizacja diagnostyki i leczenia dostosowana do bieżącej sytuacji epidemicznej,
 - Ograniczenie do minimum ryzyka zakażenia pacjentów z nowotworami krwi,
 - Zapewnienie komfortu psychicznego pacjentom w warunkach izolacji,
 - Ograniczenie zbędnych wizyt w poradni i skrócenie do minimum czasu spędzanego przez pacjentów w szpitalu,
 - Wykorzystanie potencjału telemedycyny,
 - Gospodarowanie ograniczonymi zasobami (np. krwią i produktami krwiozastępczymi).
- [95,83,80]

TRUDNOŚCI DLA PACJENTÓW

- Ograniczone wsparcie bliskich (np. przez utrudnienia w odwiedzinach),
- Konieczność przestrzegania szczególnie rygorystycznych zasad aseptyki,
- Dodatkowy lęk przed zakażeniem,
- Konieczność dostosowania się do zmian organizacji leczenia podyktowanych zmianami sytuacji epidemicznej.

W przeglądzie systematycznym Vijenthira 2020 przeanalizowano wyniki pacjentów z nowotworami krwi, którzy zostali zakażeni wirusem COVID-19. Pierwszorzędowym punktem końcowym było zbiorcze oszacowanie śmiertelności, biorąc pod uwagę wszystkich pacjentów i tylko pacjentów hospitalizowanych. Drugorzędowe punkty końcowe obejmowały ryzyko przyjęcia na oddział intensywnej terapii i wentylacji u pacjentów hospitalizowanych. Ocenę ryzyka zgonu przeprowadzono na podstawie wyników 3240 pacjentów z nowotworami złośliwymi układu krwiotwórczego. Ryzyko zgonu wśród wszystkich dorosłych pacjentów wynosiło 34% (95% CI, 28-39) w tej próbie znalazły się głównie osoby hospitalizowane, dla których ryzyko wyniosło 39%. Wskazuje to na pierwotnie gorszy stan zdrowia osób znajdujących się na oddziałach szpitalnych. Pacjenci w wieku ≥ 60 lat mieli istotnie wyższe ryzyko zgonu niż pacjenci < 60 lat (RR: 1,82; 95% CI 1,45-2,27; N=1169). Warto przy tym zaznaczyć, że dla pacjentów hospitalizowanych z innych przyczyn niż choroby nowotworowe ryzyko zgonu wynosi 21-22%. [96, 97] Spośród włączonych do przeglądu badań, wyniki w zakresie przyjęcia na oddział intensywnej terapii oraz konieczności wdrożenia wentylacji mechanicznej lub nieinwazyjnej wskazują, że skumulowane ryzyko przyjęcia na OIOM (Oddział Intensywnej Opieki Medycznej) wyniosło 21%, a konieczność zastosowania wentylacji odpowiednio 17% i 16%. [98]

W październiku 2020 nakładem Rzecznika Praw Pacjenta opublikowano raport wskazujący na „Problemy pacjentów w obliczu epidemii choroby Covid-19”. Raport opracowany został na podstawie sygnałów kierowanych do Rzecznika w miesiącach styczeń-wrzesień 2020. Zgodnie z zaprezentowanymi danymi zauważyć można znaczny, systematyczny wzrost liczby nowych wniosków pisemnych wpływających do Biura Rzecznika. Porównanie rok do roku danych z września 2019 z danymi z września 2020 roku wskazuje na ponad dwukrotny wzrost (482 w 2019 vs 1063 w 2020 roku). Liczba konsultacji zwiększyła się również w odniesieniu do rozmów telefonicznych. Najczęściej (71%), n=19 891 w POZ (Podstawowa Opieka Zdrowotna); n=18 010 w AOS (Ambulatoryjna Opieka Specjalistyczna) n=13 077 w ramach leczenia szpitalnego), zgłoszenia dotyczyły prawa do świadczeń zdrowotnych. Znacznie mniejsze odsetki dotyczyły prawa do dokumentacji medycznej (7,9%), prawa do informacji (3,4%), prawa do ochrony życia psychicznego (2,7%), prawa do poszanowania życia prywatnego i rodzinnego (1,6%). 11% zgłoszeń zostało sklasyfikowanych jako inne. [99]

Zgodnie z zaprezentowaną przez Rzecznika oceną, najważniejsze problemy zgłaszane przez pacjentów dotyczyły:

- ograniczonej dostępności do świadczeń zdrowotnych w placówkach opieki zdrowotnej. W szczególności ograniczenia te odczuwalne były w dostępie do przychodni Podstawowej Opieki Zdrowotnej (POZ) oraz Ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (AOS),
- wydłużenia czasu oczekiwania na świadczenie specjalistyczne. Odroczenie postępowania wynikało z faktu odwołania części wizyt oraz braku wyznaczania nowego terminu,
- zastrzeżeń co do kompleksowości i staranności udzielonego świadczenia (w tym teleporady),
- braku możliwości wykonania/ograniczonego dostępu do badań diagnostycznych. [99]

Wśród najczęściej zgłaszanych ograniczeń przez pacjentów POZ wymienić należy: odmowę udzielenia świadczenia w dniu zgłoszenia, odmowę wydania zlecenia na wykonanie badań diagnostycznych, dostęp do teleporady i pojawiające się problemy z jej realizacją. W zakresie standardów udzielanych świadczeń pacjenci najczęściej zgłaszali nieprawidłową organizację pracy podmiotu leczniczego. Ograniczenia w dostępie do świadczeń w ramach AOS wynikały głównie z problemów z rejestracją, czasem oczekiwania na udzielenie świadczenia oraz odesłanie do lekarza kierującego celem uzupełnienia skierowania/dołączenia wyników badań, do których dostęp z uwagi na panującą sytuację był ograniczony. Pacjenci szpitalni najczęściej raportowali niedogodności wynikające z odmowy udzielania świadczenia w ramach kontroli leczenia oraz zastrzeżenia do standardów realizowanych świadczeń. [99]



KOLEJKI DO SPECJALISTÓW CORAZ DŁUŻSZE

Sytuacja pacjenta hematoonkologicznego w dobie pandemii COVID-19 jeszcze bardziej skomplikowała dostępność do świadczeń gwarantowanych w szczególności w powiatach z wysokim wskaźnikiem zachorowań. W ujęciu ogólnopolskim, w porównaniu do początku 2019 roku zaobserwowano wzrost czasu oczekiwania na wizytę u hematologa, który obecnie wynosi ok. 2 miesiące.

Mariusz Kordecki

POLSKI REJESTR ONKO-HEMATOLOGICZNY (PROH), CZYLI JAK POPRAWIĆ JAKOŚĆ LECZENIA CHORYCH, A TAKŻE ZOPTYMALIZOWAĆ WYDATKI NA LECZENIE

Dynamiczny rozwój chorób nowotworowych budzi potrzebę szczegółowego rejestrowania danych, które posłużą później udoskonalaniu systemu opieki zdrowotnej na różnych płaszczyznach. Jako pierwszy taki projekt zostanie wprowadzony Polski Rejestr Onko-Hematologiczny (PROH). Rejestr ten ma być miejscem gromadzenia danych o pacjentach chorych na nowotwory układu krwiotwórczego i limfoidalnego. Głównym celem rejestru jest gromadzenie danych o przebiegu choroby i ocena skuteczności leczenia w zależności od zastosowanego programu leczenia. Dane z rejestru będą również wsparciem w podejmowaniu optymalnych decyzji dotyczących rekomendacji terapeutycznych i refundacyjnych. Do rejestru włączeni zostaną wszyscy chorzy na nowotwory krwi. [100]

POTRZEBA ZBIERANIA DANYCH Z RZECZYWISTEJ PRAKTYKI

Niezmiennie istotnym zagadnieniem poruszonym w raporcie jest inicjatywa dotycząca powstania Polskiego Rejestru Onko-Hematologicznego. Brak szeroko zakrojonego rejestru chorób hematoonkologicznych, ich częstości, powikłań i leczenia jest bardzo istotnym problemem, który jak dotąd pomimo wielu prób pozostaje w Polsce nierozwiązany. Warto i należy podejmować tego typu inicjatywy, które mogą z jednej strony pomóc oszacować populację chorych a tym samym realnie ocenić potencjałe koszty leczenia byłyby również ważnym źródłem informacji na temat chorób i ich powikłań.

prof. Iwona Hus

Oprócz podstawowych danych, które obecnie gromadzone są w Krajowym Rejestrze Nowotworów (KRN), w PROH gromadzone będą także informacje o:

- stanie sprawności pacjenta przed rozpoczęciem leczenia,
- chorobach towarzyszących,
- zastosowanych metodach diagnostycznych i wynikach badań,
- stopniu złośliwości,
- terminie rozpoczęcia kolejnych linii leczenia,
- rodzaju i schemacie leczenia zastosowanych w każdej z kolejnych linii,
- ocenie wyników terapii lub stopnia odpowiedzi na leczenie,
- datach progresji lub nawrotu choroby,
- działaniach niepożądanych,
- dacie i przyczynie zakończenia kolejnych linii leczenia. [100]

Utworzenie PROH jest częścią projektu informatycznego: Budowa nowoczesnej platformy gromadzenia i analizy danych z Krajowego Rejestru Nowotworów oraz onkologicznych rejestrów narządowych, zintegrowanej z bazami świadczeniodawców leczących choroby onkologiczne (e-KRN+). [101, 102]

Podstawowym elementem e-KRN+ ma być Zintegrowana Platforma Rejestrów Onkologicznych (ZPRO). Jej zadaniem będzie gromadzenie i analiza danych z KRN oraz onkologicznych rejestrów narządowych, czyli rejestrów medycznych dedykowanych poszczególnym nowotworom lub grupom nowotworów. Jednym z kluczowych elementów platformy będzie tzw. moduł S, którego zadaniem będzie umożliwienie integracji Platformy ze szpitalnymi systemami dokumentacji medycznej. Zautomatyzowane pobieranie danych medycznych będzie możliwe dzięki wykorzystaniu algorytmu przetwarzania języka maszynowego (NLP; ang. Natural Language Processing). Warunkiem jego wykorzystania jest dostosowanie systemu wykorzystywanego w placówce do potrzeb modułu (np. poprzez gromadzenie informacji opisowych w formie plików w formacie przyjaznym NLP). W innym przypadku nadal konieczne będzie zgłaszanie przypadków w dotychczasowy sposób — przy pomocy dedykowanej aplikacji webowej lub w formie papierowej. Aplikacja, dostępna także w wersji na urządzenia mobilne, umożliwi zebranie wszystkich danych istotnych z punktu widzenia PROH.

Aby ułatwić i usprawnić powstawanie jednolitych rejestrów onkologicznych, platforma wyposażona będzie w narzędzia do tworzenia nowych rejestrów (tzw. Generator Rejestrów). PROH będzie pierwszym rejestrem stworzonym z wykorzystaniem Generators. [101, 102] Dzięki wdrożonym standardom wymiany danych, Platforma pozwoli na integrację PROH z systemami instytucji administracji państwowej takich jak Centrum Systemów Informacyjnych Ochrony Zdrowia (CSIOZ), Główny Urząd Statystyczny (GUS), Ministerstwo Cyfryzacji, czy NFZ. [101, 102]

Wniosek o powołanie rejestru PROH został złożony w lutym 2017 roku i obecnie oczekuje na akceptację. [100] Końcowy odbiór gotowego systemu eKRN+ w całości nastąpi w czerwcu 2022 roku. Wszystkie komponenty zostaną udostępnione do użytku w tym samym momencie. W chwili obecnej prototyp Platformy ZPRO jest już dostępny i trwają prace nad realizacją Generators Rejestrów. Zakończenie prac nad PROH zaplanowano na grudzień 2021 roku. [103] W końcowej fazie rozwoju projektu, w 4 ośrodkach hematoonkologicznych zostanie zaimplementowany i przetestowany moduł S gromadzący niezbędne dla PROH dane.



CZĘŚĆ II

HEMATOONKOLOGIA W UJĘCIU KOMUNIKACYJNYM NA LINII PACJENT-OPIEKUN- LEKARZ

Jednym z najistotniejszych elementów procesu leczenia chorób nowotworowych jest właściwa komunikacja wśród wszystkich zainteresowanych. Na każdym poziomie występują jednak trudności i czynniki wpływające na jej jakość. Również w obszarze hematoonkologii wyróżnić można kwestie warunkujące efektywność porozumiewania się, a także potrzeby każdej ze stron – pacjenta, opiekuna i lekarza. Istotne znaczenie ma dostęp do pomocy psychologicznej oraz nauki właściwego podejścia do pacjenta w obliczu diagnozy. Nie można zapominać o wsparciu ze strony społeczeństwa i instytucji, a także kosztach ponoszonych zarówno przez pacjentów, jak i osoby opiekujące się nimi. Z kolei z perspektywy lekarza poza oczywistymi kwestiami związanymi z prowadzeniem terapii, trzeba pamiętać o emocjach towarzyszących w codziennej pracy hematoonkologów.

W poniższej części przedstawiono wyniki badań ankietowych skierowanych do pacjentów, opiekunów i lekarzy, które podsumowują obecną sytuację w obszarze hematoonkologii i wskazują na główne potrzeby każdej ze stron.

BADANIE ANKIETOWE

współautorzy: Adrianna Sobol, Anna Kupiecka

WPROWADZENIE

Pacjenci hematoonkologiczni po usłyszeniu diagnozy znajdują się w zupełnie nowej sytuacji, co może powodować pojawienie się wielu nowych wyzwań wymagających adaptacji. Zmiany dotyczą nie tylko życia codziennego, ale także obejmują reorganizację dotychczasowego trybu życia prywatnego i zawodowego. Pacjenci często nie są również przygotowani na sam proces komunikacji medycznej.

Komunikacja medyczna stanowi duże wyzwanie zarówno dla pacjentów, jak i lekarzy. Tymczasem zbudowanie partnerskiej relacji oparte na obustronnym szacunku i zaufaniu stanowi podstawę skutecznego procesu terapeutycznego. Z perspektywy pacjenta wiele decyzji podejmowanych w trakcie leczenia zależy właśnie od tego, na ile komfortowo czuje się w relacji z lekarzem. Lekarze hematoonkolodzy często deklarują, iż nie odczuwają pewnej satysfakcji ze skuteczności podejmowanych prób komunikacji medycznej.

Chcąc wesprzeć lekarzy hematoonkologów w ulepszaniu komunikacji medycznej, Fundacja OnkoCafe przygotowała badanie ankietowe adresujące poszczególne trudności, z jakimi mierzą się lekarze specjaliści. W ten sposób uzyskano ogólny obraz trudności, które doprowadziły do wniosków, co do potencjalnych działań w tym obszarze. W ankiecie wzięło udział 34 lekarzy z całej Polski, którym na potrzeby badania została zapewniona pełna anonimowość.

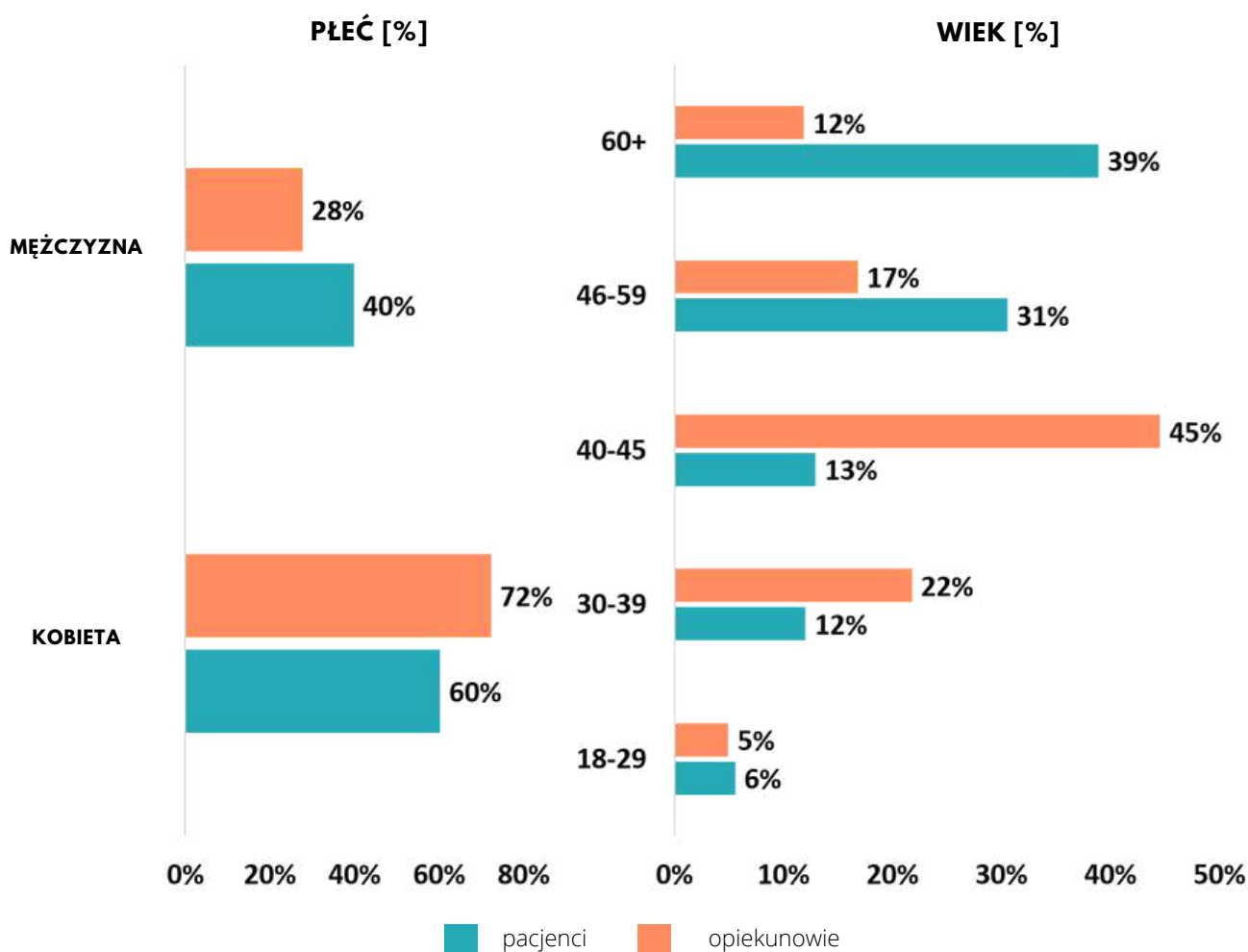
Opiekunowie pacjentów onkologicznych odgrywają bardzo istotną rolę w procesie leczenia, choć publicznie mówi się o tym niewiele. To oni najczęściej przejmują wszystkie obowiązki związane z organizacją leczenia, aby pacjent mógł w pełni skupić się na samym procesie zdrowienia. Biorą udział w konsultacjach lekarskich, planują ścieżkę leczenia, pomagają w codziennych czynnościach, a przede wszystkim wspierają pacjenta swoją obecnością. Często jednak sygnalizują, że rozmowy z pacjentem po usłyszeniu diagnozy są dla nich trudne, wymagające odmiennego podejścia niż dotychczas. Również kontakty z lekarzem są wyzwaniem nie tylko dla samego pacjenta, ale także opiekuna.

METODYKA BADANIA

Badanie przeprowadzono z wykorzystaniem kwestionariuszy udostępnionych respondentom drogą elektroniczną. Linki do ankiet zamieszczono na kanałach Fundacji w social mediach. Rekrutacja lekarzy wspierana była dodatkowo przez placówki medyczne zatrudniające specjalistów z obszaru hematologii.

	 PACJENCI	 OPIEKUNOWIE	 LEKARZE
LICZBA UCZESTNIKÓW BADANIA	108	101	34
CZAS TRWANIA BADANIA	17.06-20.08. 2021	17.06-08.08. 2021	17.06-31.07. 2021

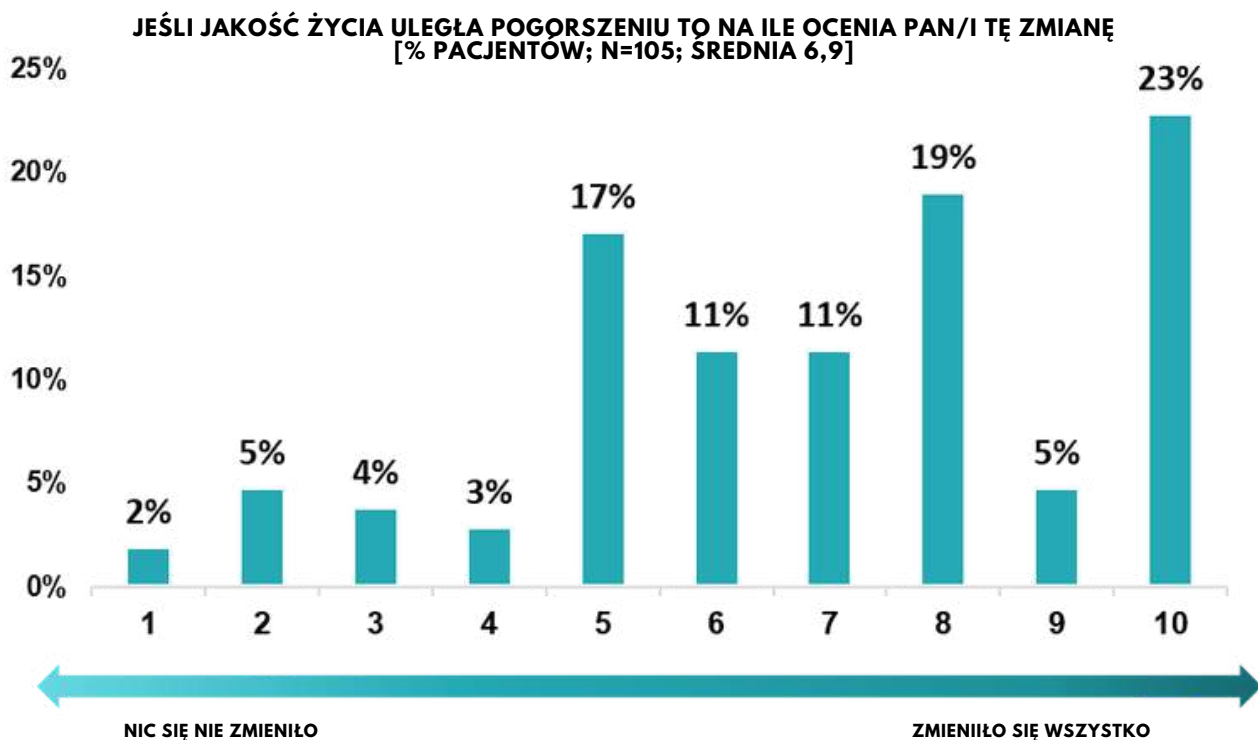
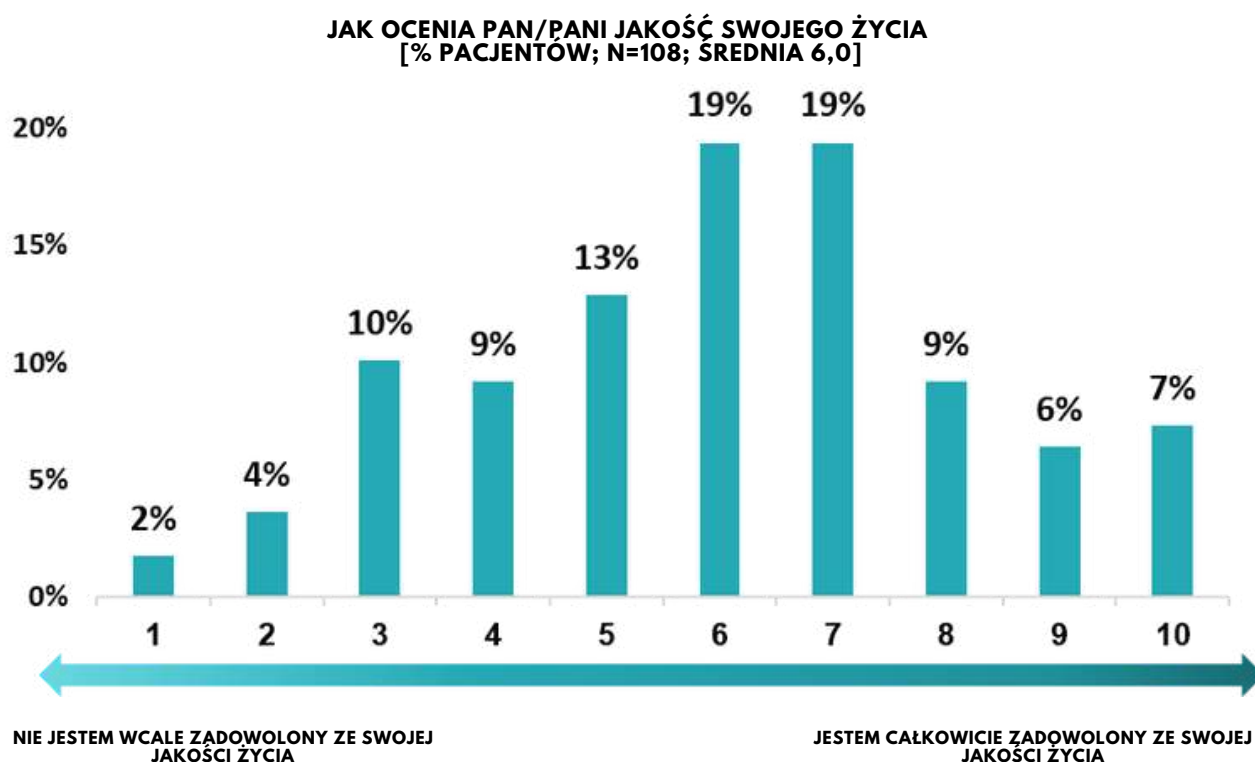
PROFIL GRUPY PACJENTÓW I OPIEKUNÓW KTÓRZY WZIĘLI UDZIAŁ W BADANIU



WYNIKI

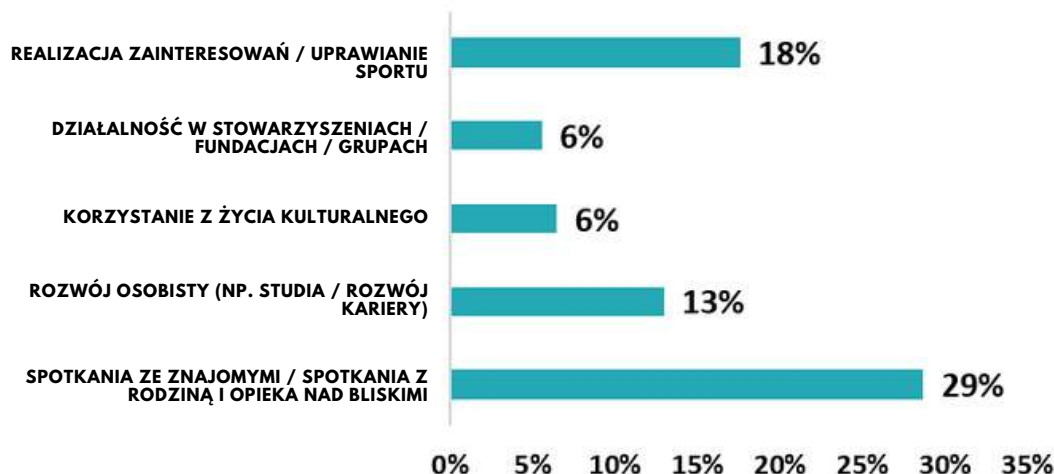
JAKI WPŁYW MA CHOROBA NA JAKOŚĆ ŻYCIA I FUNKCJONOWANIE SPOŁECZNE?

Ponad 60% pacjentów oceniło swoją jakość życia jako przeciętnie lub ponadprzeciętnie zadowalającą (6 i więcej). Zapytani jednak o to, czy diagnoza i proces leczenia przyczyniły się do pogorszenia jakości ich życia, w aż 97% przypadków odpowiedzieli twierdząco. Większość uznała tę negatywną zmianę za znaczącą (7 i więcej), a prawie co czwarty pacjent uznał, że choroba w jego życiu zmieniła wręcz wszystko.



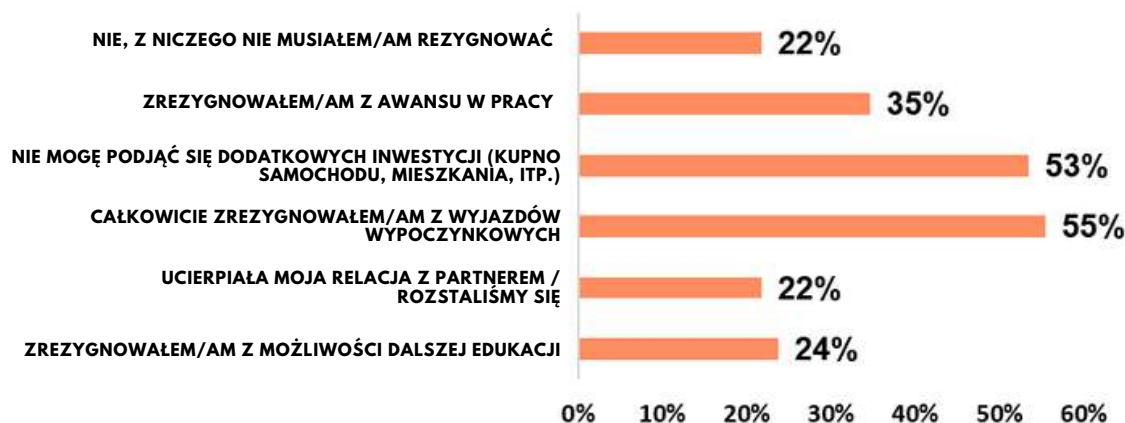
Negatywnej zmianie ulega również dotychczasowy sposób funkcjonowania chorych w społeczeństwie. Wśród pacjentów, niemal 60% (n=60) deklaroowało całkowitą bądź częściową rezygnację z aktywności społecznych. Najczęściej wskazywali oni na rezygnację ze spotkań ze znajomymi/rodziną (29%), a także rezygnację z realizacji swoich zainteresowań (18%).

CZY W ZWIĄZKU Z WYSTĄPIENIEM CHOROBY MUSIAŁ/A PAN/PANI ZREZYGNOWAĆ Z DOTYCHCZASOWYCH AKTYWNOŚCI SPOŁECZNYCH?
[% PACJENTÓW; N=108]



Choroba hematoonkologiczna zmienia jednak życie nie tylko chorego, ale i jego bliskich, a zwłaszcza opiekunów. Zapytani jak sprawowanie opieki nad pacjentem wpływa na ich życie osobiste, w większości przypadków wskazywali na całkowitą rezygnację z wyjazdów wypoczynkowych (56%), jak również rezygnację z dodatkowych inwestycji (54%). Ze względu na chorobę pacjenta nierzadko odkładają w czasie możliwość awansu w pracy (35%) oraz swoją dalszą edukację (24%). Dla niemal 22% opieka nad pacjentem przyczyniła się również pośrednio do zmian w życiu uczuciowym.

CZY Z POWODU PODJĘCIA SIĘ OPIEKI NAD BLISKIM CHORYM/PACJENTEM MUSIAŁEŚ/AŚ ZREZYGNOWAĆ Z JAKICHŚ SWOICH PLANÓW OSOBISTYCH?
[% OPIEKUNÓW; N=101]



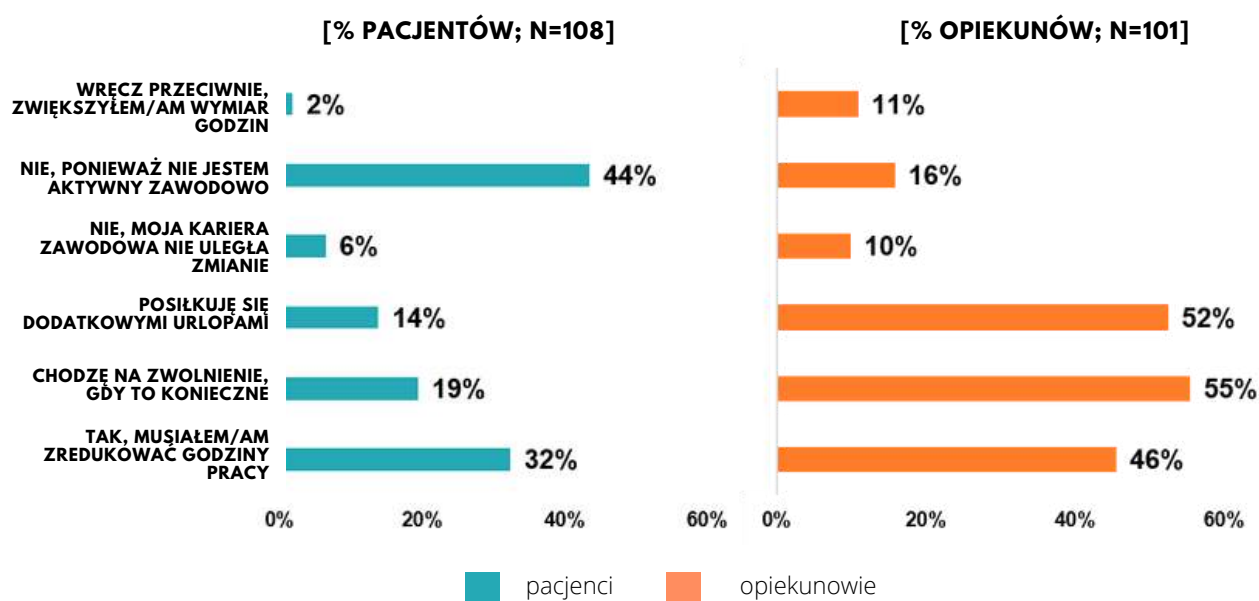
JAKI WPŁYW MA CHOROBA NA ŻYCIE ZAWODOWE I DODATOWE OBCIĄŻENIA?

Zaistniała w obliczu choroby reorganizacja dotychczasowego sposobu życia niesie ze sobą także zmiany dotyczące sfery zawodowej. W głównej mierze ten problem dotyczy opiekunów, jako że aż 84% z nich jest wciąż aktywnych zawodowo, niemniej to ważny aspekt również dla samych chorych, pośród których ponad połowa (56%) to osoby aktywne zawodowo.

Wyniki ankiety pokazują, że wśród opiekunów 46% badanych zmuszonych było do redukcji godzin pracy, a 55% wybiera opcję korzystania ze zwolnień w momencie, kiedy opieka nad pacjentem wymaga większego poświęcenia czasowego niż na co dzień. Opiekunowie zapytani o to, o ile musieli zredukować swoje dotychczasowe godziny pracy, odpowiadali, że średnio jest to 10-20 h tygodniowo (średnia redukcja 15 h tygodniowo). Tylko 10% badanych twierdzi, że ich kariera zawodowa nie uległa żadnej zmianie w zetknięciu z obowiązkami opiekuńczymi. Wśród 11% ankietowanych opieka nad pacjentem wymusiła zwiększenie ilości godzin pracy w tygodniu. Konieczność ta wynikała przede wszystkim z faktu niewystarczających środków finansowych.

W grupie pacjentów 32% badanych zredukowało godziny pracy na skutek choroby, z czego dla blisko połowy oznaczało to konieczność całkowitego zaprzestania pracy zarobkowej, a dla niemal 20% ograniczenie liczby godzin do wymiaru połowy etatu. Najmniej liczną grupę stanowili pacjenci, którzy zwiększyli wymiar godzin pracy.

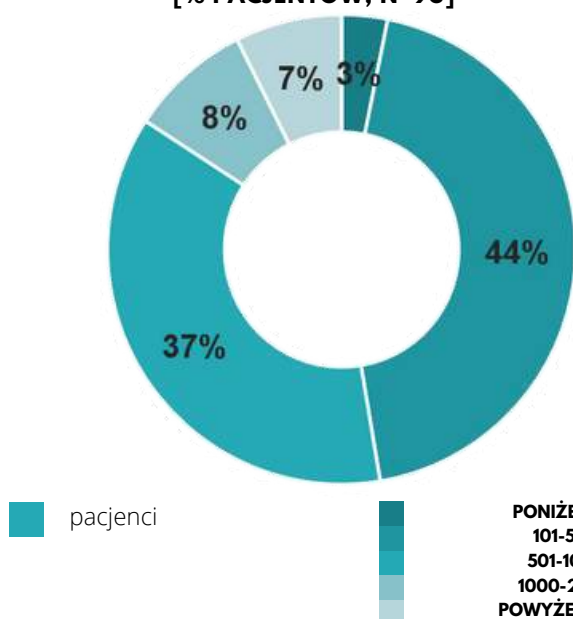
CZY ZE WZGLĘDU NA OPIEKĘ NAD PACJENTEM MUSIAŁEŚ/AŚ ZREDUKOWAĆ GODZINY PRACY?



Wystąpienie choroby często wiąże się ze zmianami w statusie ekonomicznym. Wynika to przede wszystkim z dwóch aspektów – ograniczenia możliwości zarobkowania co pokazano powyżej oraz zwiększenia wydatków na zdrowie. Zdecydowana większość respondentów zarówno wśród pacjentów (89%), jak i opiekunów (80%) zgodnie deklaruje, że w wyniku wystąpienia choroby zwiększyły się ich wydatki. Około 3/4 z nich (81% pacjentów i 82% opiekunów) oszacowało, że średnie miesięczne wydatki wzrosły na poziomie 101-1000 zł. Niemala grupa, bo 18% pacjentów i 18% opiekunów oceniło, że wzrost wydatków przekracza nawet 1000 zł miesięcznie.

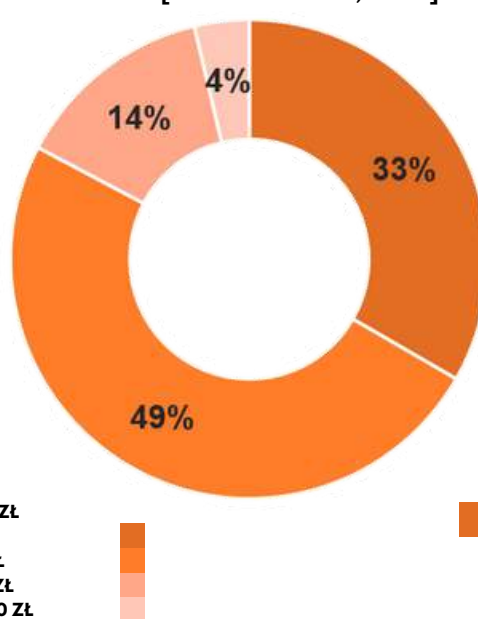
JEŚLI CHOROBA WPŁYNĘŁA NA ZWIĘKSZENIE PANA/PANI WYDATKÓW, JAK DUŻY JEST TO MIESIĘCZNIE WZROST?

[% PACJENTÓW; N=96]



JEŚLI OPIEKA NAD PACJENTEM WPŁYNĘŁA NA ZWIĘKSZENIE TWOICH WYDATKÓW, JAK DUŻY JEST TO MIESIĘCZNIE WZROST?

[% OPIEKUNÓW; N=81]



pacjenci

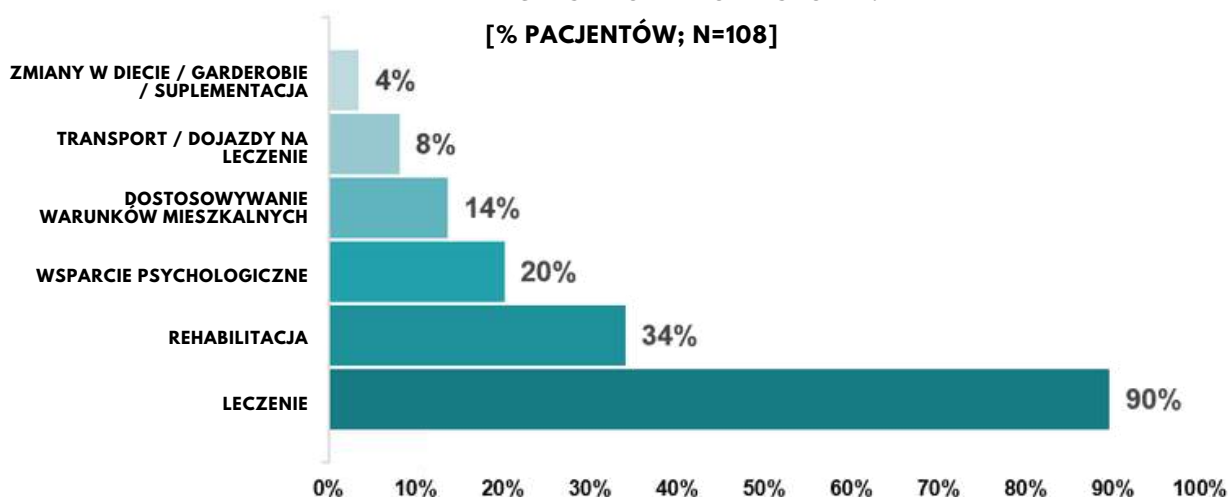
opiekunowie

PONIŻEJ 100 ZŁ
101-500 ZŁ
501-1000 ZŁ
1000-2000 ZŁ
POWYŻEJ 2000 ZŁ

Jak wskazują pacjenci głównym przeznaczeniem dodatkowych pieniędzy są koszty leczenia (90%), rehabilitacji (34%), wsparcia psychologicznego (20%) i dostosowania warunków mieszkaniowych (14%). Pozostałe potencjalne źródła kosztów (tj. koszty transportu/dojazdu na leczenie oraz konieczność wprowadzenia zmian w diecie czy garderobie) wskazywana była przez mniej niż 10% osób.

JEŚLI CHOROBA WPŁYNĘŁA NA ZWIĘKSZENIE PANA/PANI WYDATKÓW, TO NA JAKIE CELE PRZEZNACZASZ DODATKOWE ŚRODKI?

[% PACJENTÓW; N=108]

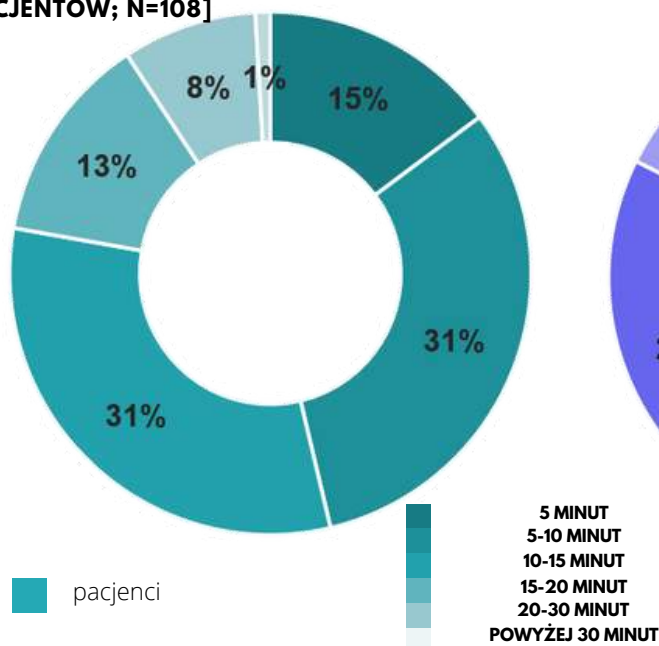


JAK WYGLĄDA, A JAKIE SĄ OCZEKIWANIA WZGLĘDEM JAKOŚCI KOMUNIKACJI POMIĘDZY PACJENTEM A LEKARZEM?

Niezwykle istotną częścią terapii jest komunikacja na linii lekarz - pacjent. Aby komunikacja przebiegała w sposób prawidłowy, poza zdolnościami lekarzy do prowadzenia dialogu, niezbędny jest również wystarczający czas, jaki mogą oni poświęcić pacjentom. Zarówno pacjenci, jak i lekarze zapytani o to, ile czasu mają na spokojną rozmowę, w ponad 60% przypadków odpowiedzieli, że wizyta trwa średnio od 5 do 15 minut (62% pacjentów i 61% lekarzy). Nierzadko, a w opinii lekarzy to nawet co piąty przypadek, wizyty trwają zaledwie 5 minut. Nie dziwi więc, że około 60% pacjentów i lekarzy uznaje czas wizyty za zdecydowanie niewystarczający do poruszenia istotnych kwestii.

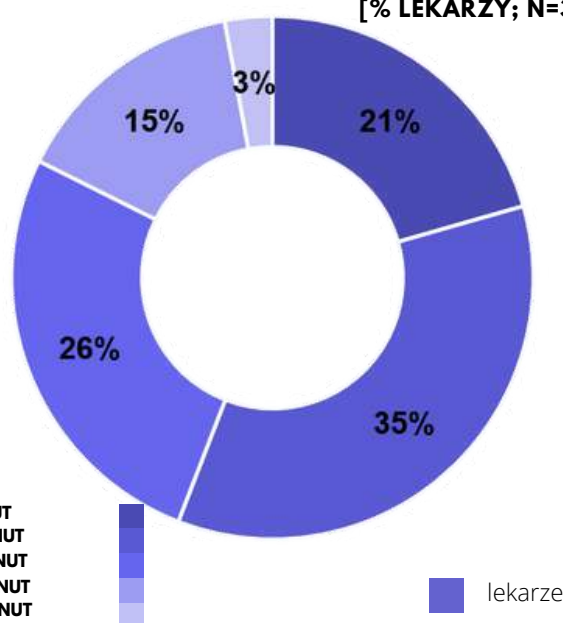
ILE ŚREDNIO CZASU MA PAN(I) NA SPOKOJNĄ ROZMOWĘ Z LEKARZEM PODCZAS WIZYTY?

[% PACJENTÓW; N=108]



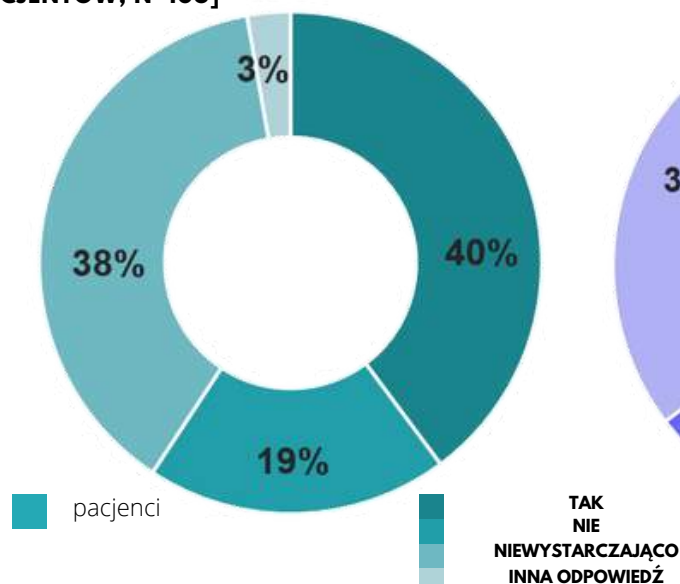
ILE ŚREDNIO MA PAN(I) CZASU NA SPOKOJNĄ ROZMOWĘ Z PACJENTEM PODCZAS WIZYTY?

[% LEKARZY; N=34]



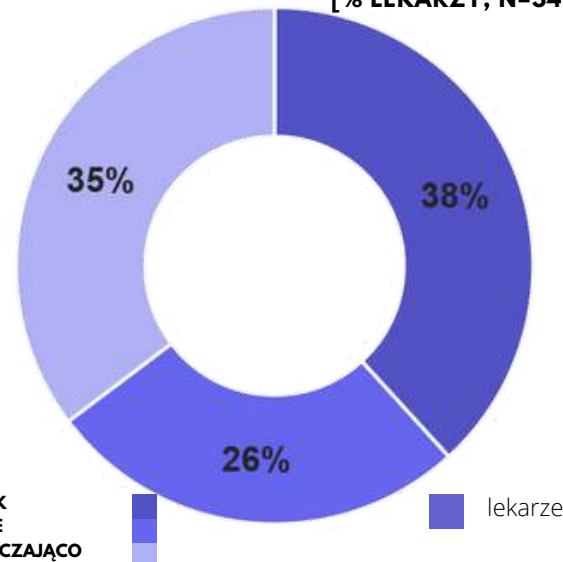
CZY W PANI/PANA OCENIE WIZYTY LEKARSKIE TRWAJĄ WYSTARCZAJĄCO DŁUGO, ABY PORUSZYĆ NAJISTOTNIEJSZE KWESTIE?

[% PACJENTÓW; N=108]



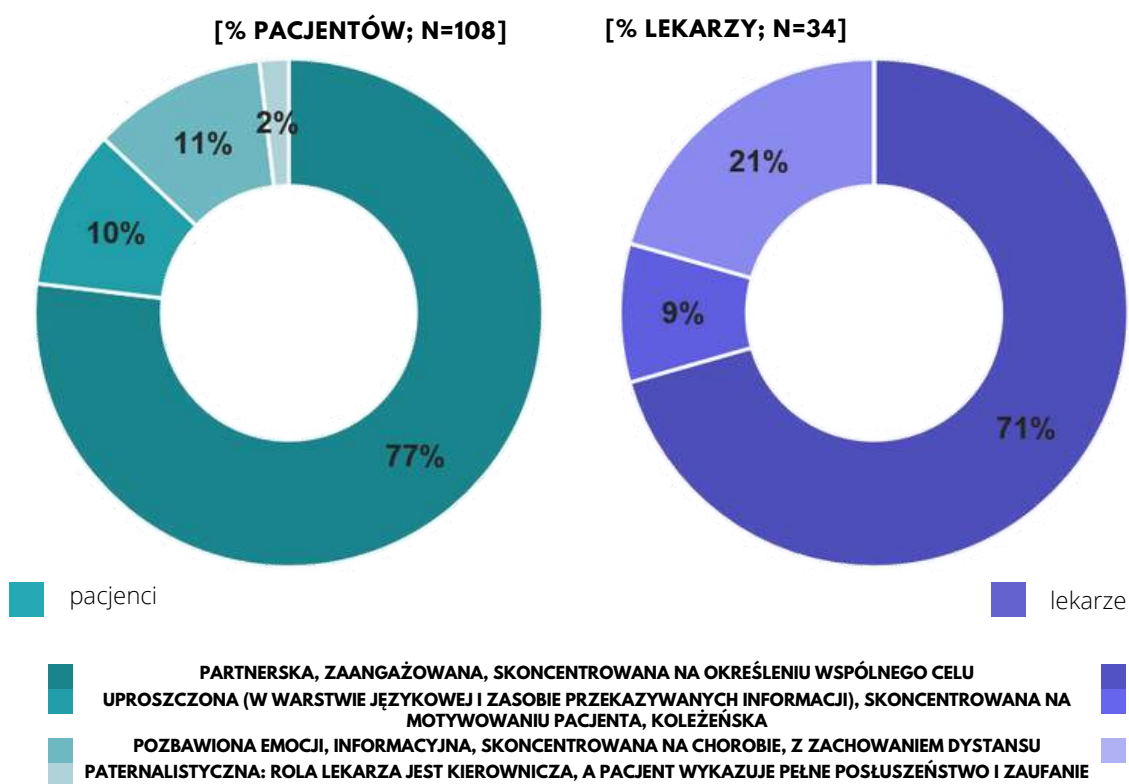
CZY W SWOJEJ OCENIE POŚWIECA PAN(I) WYSTARCZAJĄCĄ IŁOŚĆ CZASU NA ROZMOWĘ Z PACJENTEM I WYŚLUCHANIE JEGO POTRZEB, OCZEKIWAN?

[% LEKARZY; N=34]



Wydaje się, że szczególnie w relacji lekarz-pacjent niezwykle istotne jest, aby oczekiwania obu stron były ze sobą zbieżne. Wyniki ankiet pozwalają szczęśliwie wyciągnąć pozytywne wnioski w tym zakresie, ponieważ aż 77% pacjentów i 71% lekarzy uważa, że najsukieczniejszym rodzajem komunikacji jest relacja partnerska, zaangażowana, skoncentrowana na określeniu wspólnego celu. Co ciekawe, wśród lekarzy kolejną dominującą opcją, ale już o znacznie mniejszym odsetku odpowiedzi (21%) była preferencja komunikacji pozbawionej komponentu emocjonalnego o charakterze informacyjnym, skoncentrowanym na samej chorobie z pominięciem odczuć chorego. Taki sposób komunikacji preferuje jednak 2-krotnie mniej pacjentów, bo zaledwie 11%. Należy zaznaczyć, iż żaden z ankietowanych lekarzy nie zaznaczył odpowiedzi paternalistyczna: rola lekarza jest kierownicza, a pacjent wykazuje pełne posłuszeństwo i zaufanie.

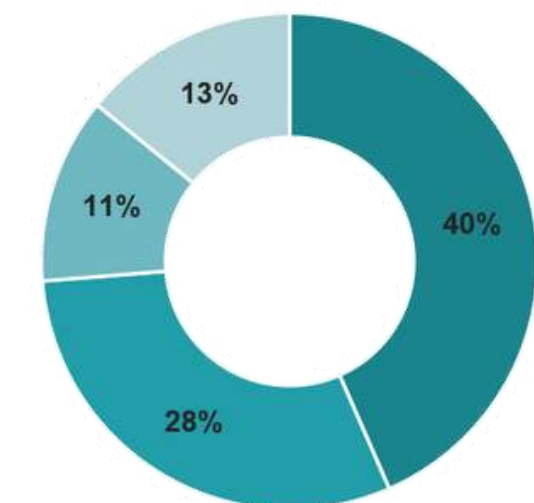
JAKIE CECHY PANA/PANI ZDANIEM NAJLEPIEJ OKREŚLAJĄ SKUTECZNĄ KOMUNIKACJĘ LEKARZ-PACJENT?



Choć pacjenci i lekarze mają podobne oczekiwania względem skutecznej komunikacji, to jednak nie oznacza, że nie napotykają w tym procesie żadnych trudności. Z perspektywy pacjentów najbardziej uciążliwy jest brak czasu na przedstawienie dokładnych informacji na temat swojego zdrowia (40%). Zauważają też (28%), że natłok trudnych emocji może być dodatkowym elementem ograniczającym możliwość skupienia się i zapamiętanie wszystkich przekazywanych informacji. Z kolei lekarze hematoonkolodzy do najczęstszych trudności zaliczyli: przekazywanie informacji o pogorszeniu stanu zdrowia lub niepomysłnym rokowaniu (38%) oraz negatywne/bierne nastawienie pacjenta do procesu terapeutycznego (35%). Spośród badanych lekarzy, 18% ankietowanych wskazało dodatkowo jako trudność postawę pacjenta budującego przekonania na temat leczenia i postawy lekarzy na podstawie mediów niepopartych faktami.

**PROSZĘ WSKAZAĆ TO, CO PANA/PANI ZDANIEM
STANOWI NAJWIĘKSZĄ TRUDNOŚĆ W
KOMUNIKACJI Z LEKARZEM?**

[% PACJENTÓW; N=108]

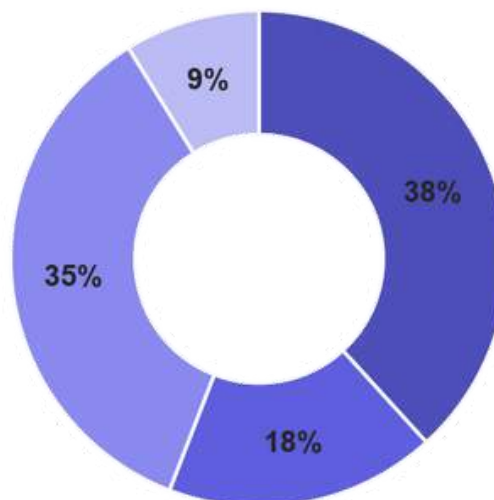


pacjenci

- **BRAK CZASU NA PRZEDSTAWIENIE W SPOSÓB DOKŁADNY INFORMACJI NA TEMAT SWOJEGO ZDROWIA I SAMOPOCZUCIA**
- **SKUPIENIE I ZAPAMIĘTYWANIE NAJWAŻNIEJSZYCH FAKTÓW W NATŁOKU INFORMACJI I TRUDNYCH EMOCJI**
- **ZBUDOWANIE RELACJI OPARTEJ NA EMPATII, NA WZAJEMNYM ZAUFANIU**
- **BRAK MOŻLIWOŚCI MÓWIENIA O SWOICH MYŚLACH, PRZEKONANIACH NA TEMAT CHOROBY NOWOTWOROWEJ**

**PROSZĘ WSKAZAĆ TO, CO PANA/PANI ZDANIEM
STANOWI NAJWIĘKSZĄ TRUDNOŚĆ W
KOMUNIKACJI Z PACJENTEM?**

[% LEKARZY; N=34]

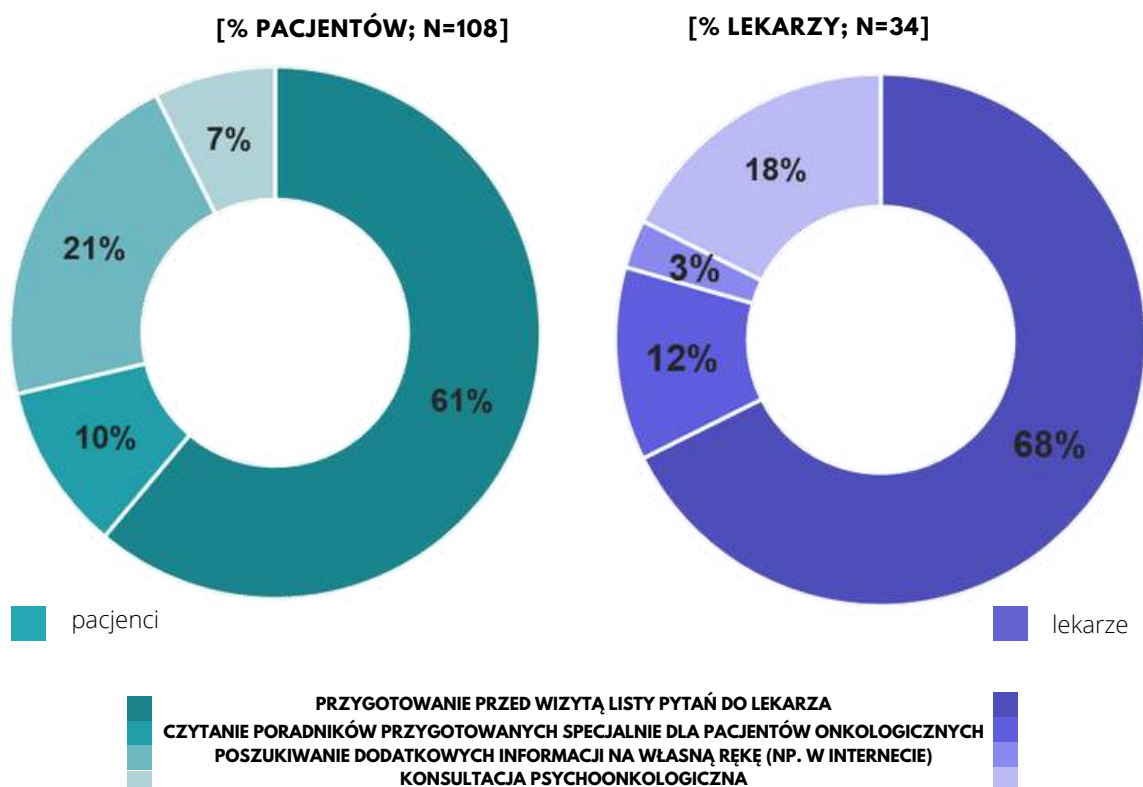


lekarze

- **PRZEKAZANIE INFORMACJI O POGORSZENIU STANU ZDROWIA LUB NIEPOMYŚLNYM ROKOWANIU**
- **BUDOWANIE PRZEKONAŃ PACJENTA NA TEMAT LEKARZY I LECZENIA NA PODSTAWIE INFORMACJI UMIESZCZONYCH W MEDIACH, INTERNECIE**
- **NEGATYWNE/BIERNE NASTAWIENIE PACJENTA DO PROCESU TERAPEUTYCZNEGO**
- **ZBUDOWANIE RELACJI OPARTEJ NA EMPATII Z PACJENTEM I/LUB OPIEKUNEM PACJENTA**

Komunikacja medyczna nie obejmuje jednak samego przebiegu wizyty lekarskiej. Ważne jest również przygotowanie pacjenta do samej wizyty, które potrafi znacznie poprawić jej przebieg, zwłaszcza jeśli ma się na uwadze wskazane wcześniej ograniczenia. Najwięcej pacjentów i lekarzy za najbardziej pomocne narzędzie w budowaniu lepszej komunikacji zgodnie uznało przygotowanie przed wizytą listy pytań jakie pacjent chce skierować do lekarza. Takiej odpowiedzi udzieliło 61% pacjentów oraz 68% lekarzy. Co ciekawe, na drugim miejscu u lekarzy i pacjentów uplasowały się już całkiem odmienne pozycje. Pacjenci za priorytetowe (21%) w procesie przygotowawczym uznali poszukiwanie dodatkowych informacji na własną rękę, z czym zgodziło się zaledwie 3% lekarzy. W opinii lekarzy natomiast drugie miejsce na liście priorytetów przypada konsultacjom psychoonkologicznym (18%), których potrzebę dostrzega 2-krotnie mniej chorych, bo tylko 7%.

JAKI RODZAJ PRZYGOTOWANIA PACJENTA WEDŁUG PAN(I) BYŁBY NAJBARDZIEJ POMOCNY W LEPSZEJ KOMUNIKACJI PODCZAS WIZYTY LEKARSKIEJ?



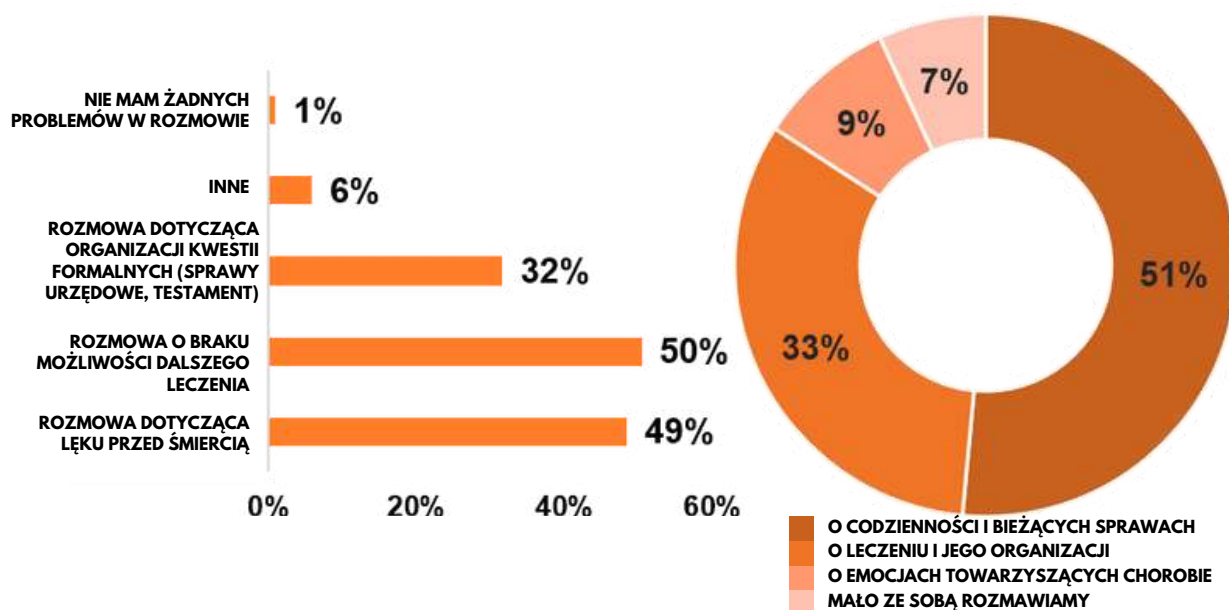
JAK WYGLĄDA, A JAKIE SĄ OCZEKIWANIA WZGLĘDEM JAKOŚCI KOMUNIKACJI POMIĘDZY PACJENTEM A OPIEKUNEM?

Szczególnym rodzajem komunikacji jest relacja pacjenta z opiekunem. Bardzo ważna jest otwartość opiekuna wobec chorego, który często szuka kontaktu i zrozumienia dla swojego stanu. Nie jest to oczywiście proste zadanie jakie stawia się przed opiekunem. Dla zdecydowanej większości z nich największą trudność stanowi rozmowa o braku możliwości dalszego leczenia (47%), a także lęku przed śmiercią (49%) i organizacji kwestii formalnych (32%). Codzienne rozmowy opiekunów i pacjentów najczęściej (51%) dotyczą spraw bieżących. Co trzeci respondent wśród opiekunów wskazywał również tematykę leczenia i organizacji procesu terapeutycznego. Choć rozmowy o emocjach towarzyszących chorobie odgrywają tak znaczącą rolę, to zdecydowanie nie jest to najczęściej wybierany przez pacjentów i opiekunów temat (9%). Warto również podkreślić, że 7% opiekunów wskazało, że codzienne rozmowy prowadzone są rzadko.

CO JEST NAJTRUDNIEJSZE W ROZMOWIE Z CHOROJĄCĄ BLISKĄ OSOBĄ?

O CZYM NAJCZĘŚCIEJ ROZMAWIASZ Z CHOROJĄCĄ BLISKĄ OSOBĄ?

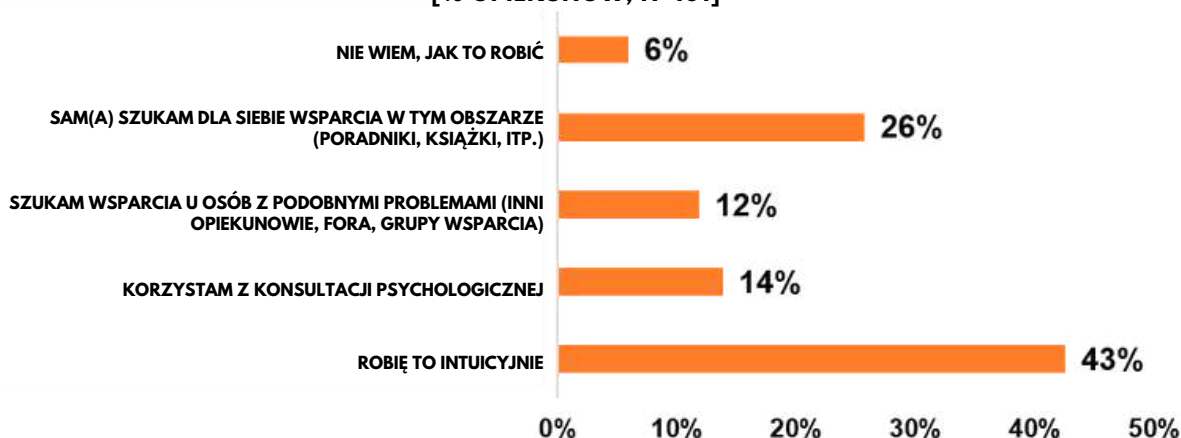
[% OPIEKUNÓW; N=101]



Opiekunowie w sytuacji rozmowy z pacjentem hematoonkologicznym, stają przed zupełnie nowym wyzwaniem komunikacyjnym, do którego muszą się przygotować. Pytani o to, skąd pozyskują wiedzę o tym, jak rozmawiać o potrzebach chorej osoby bliskiej, w niemal 3/4 przypadków odpowiedzieli, że radzą sobie samodzielnie: 45% robi to intuicyjnie bez pozyskiwania wiedzy z dodatkowych źródeł, natomiast 26% posługuje się poradnikami i książkami. Tylko 14% opiekunów decyduje się na dodatkowe wsparcie w postaci konsultacji psychoonkologicznych.

SKĄD WIESZ, JAK ROZMAWIAĆ O POTRZEBACH CHOROJĄCEJ OSOBY BLISKIEJ?

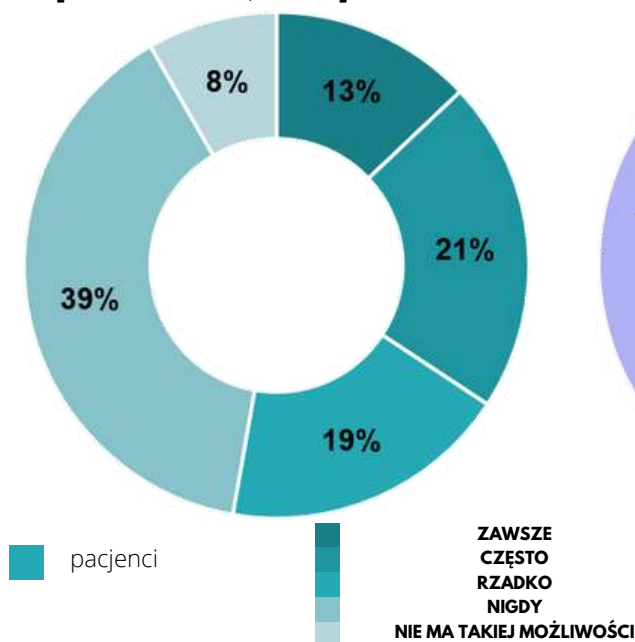
[% OPIEKUNÓW; N=101]



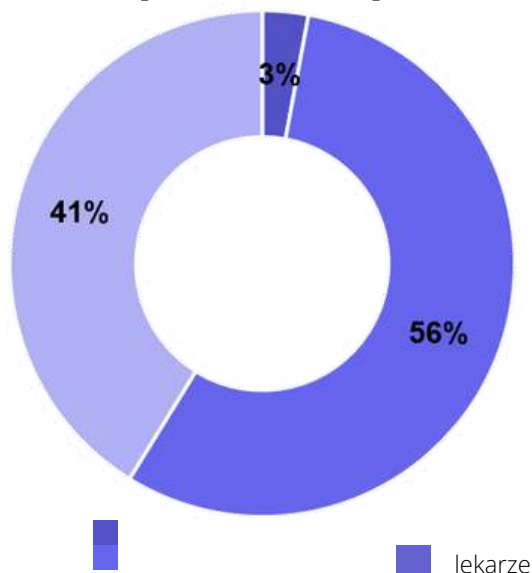
JAK WYGLĄDA, A JAKIE SĄ OCZEKIWANIA WZGLĘDEM JAKOŚCI KOMUNIKACJI POMIĘDZY OPIEKUNEM A LEKARZEM?

Kolejnym rodzajem komunikacji, której musi nauczyć się opiekun jest komunikacja z lekarzem, a właściwie to komunikacja na linii pacjent-opiekun-lekarz, ponieważ to on często pełni rolę pośrednika w tej relacji. 39% pacjentów wskazuje, że nigdy nie pojawia się na wizycie lekarskiej z pacjentem. Z kolei 13% pacjentów zaznacza, że zawsze w wizytach towarzyszy im opiekun, a według 21% towarzyszy im „często”. Natomiast (8%) pacjentów zgłasza, że nie ma takiej możliwości, aby podczas wizyty lekarskiej pojawić się w towarzystwie osoby bliskiej. Na podstawie wyników ankiety opiekunów można stwierdzić, że 42% ankietowanych może równoprawnie uczestniczyć w konsultacji lekarskiej, a pozostała część spotyka się z odmową aktywnego uczestnictwa w konsultacji. Lekarze, zapytani o częstość uczestnictwa opiekunów podczas porady/wizyty, wskazali, że odsetek ten wynosi ok. 50%.

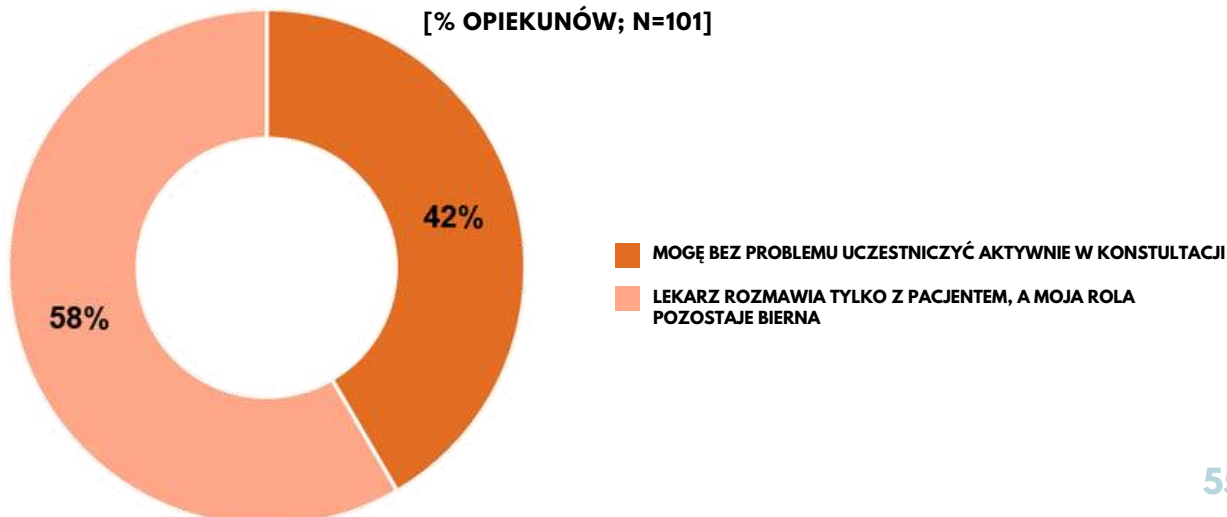
JAK CZĘSTO W TELEKONSULTACJI/WIZYCIE LEKARSKIEJ TOWARZYSZY PANU/PANI OPIEKUN?
[% PACJENTÓW; N=108]



JAK CZĘSTO W TELEKONSULTACJI/WIZYCIE LEKARSKIEJ TOWARZYSZY PACJENTOWI JEGO OPIEKUN?
[% LEKARZY; N=34]

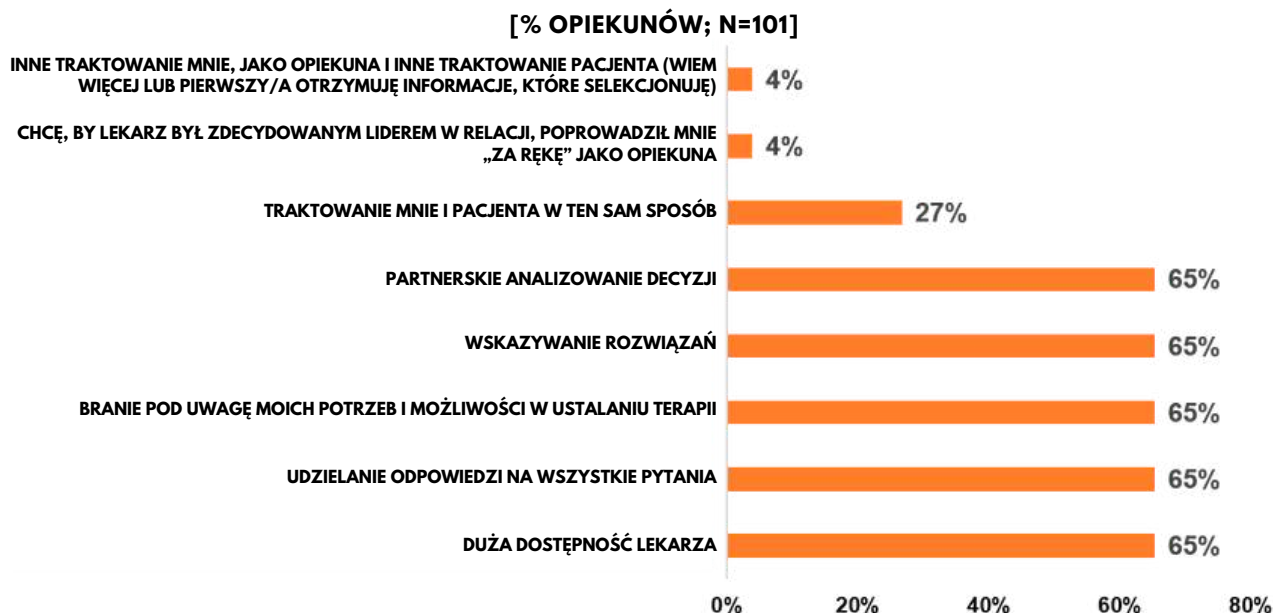


JAK WYGLĄDA MOŻLIWOŚĆ TWOJEGO UDZIAŁU W SPOTKANIU Z LEKARZEM PODCZAS TELEKONSULTACJI?
[% OPIEKUNÓW; N=101]



Oczekiwania względem lekarzy są różne pośród opiekunów, jednak większość (65%) z nich uważa, że lekarz powinien być dostępny czasowo i udzielać odpowiedzi na wszystkie zadawane przez pacjenta i opiekuna pytania, a także wskazywać dostępne rozwiązania i podejmować wszystkie decyzje w sposób partnerski. Co czwarty opiekun (27%) wskazywał, że w komunikacji z lekarzem chciałby być traktowany na równi z pacjentem.

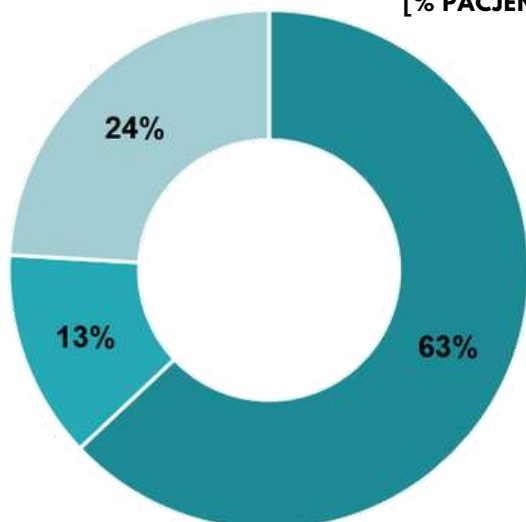
JAKIE SĄ TWOJE OCZEKIWANIA, JAKO OPIEKUNA PACJENTA, WZGLĘDEM RELACJI Z LEKARZEM PROWADZĄCYM?



JAK WYGLĄDA, A JAKIE SĄ OCZEKIWANIA WZGLĘDEM JAKOŚCI KOMUNIKACJI POMIĘDZY PACJENTAMI?

Ważną rolę w procesie komunikacji odgrywają organizacje pacjenckie umożliwiające dzielenie się historiami osób dotkniętych nowotworami, wyzwaniami oraz wskazówkami jak poradzić sobie w pewnych sytuacjach. Stowarzyszenia skierowane dla pacjentów onkologicznych przekazują informacje na temat rekomendowanych metod leczenia, ich poziomu refundacji w Polsce, a także edukacji w temacie nowotworów. Wiele placówek oferuje również spotkania w grupach wsparcia dla osób doświadczających choroby, jednak nie zawsze są pozytywnie odbierane, na co wskazują wyniki ankiet pacjentów z nowotworami krwi – 13% uważa, że takie kontakty mają na nich negatywne działanie. Pomimo sceptycznego nastawienia, dla znacznie większej części (63%) odnoszą jednak pozytywne efekty. Rozmowy w gronie osób w podobnej sytuacji dają możliwość otwarcia się na trudny temat, podzielenia zmęczeniem, uczuciami i zmartwieniami. Pomagają poradzić sobie z praktycznymi problemami, jak problemy w pracy czy rodzinie, a także z działaniami niepożądanymi, które występują w trakcie leczenia. Sami pacjenci podkreślają, że dzięki wymianie informacji z innymi pacjentami, czują oni zrozumienie oraz wsparcie. Szeroki wybór i dostępność takich grup świadczą o ich użyteczności. Obecnie tworzone są grupy dedykowane danej jednostce chorobowej, integrujące osoby doświadczające odmiennych postaci nowotworów, a nawet przeznaczone wyłącznie dla kobiet lub mężczyzn. Warto zatem, aby każdy pacjent dokonał wyboru najlepszej dla siebie formy wsparcia.

JAK ODDZIAŁUJE NA PANA/PANIĄ WYMIANA INFORMACJI Z INNYMI PACJENTAMI?
[% PACJENTÓW; N=108]

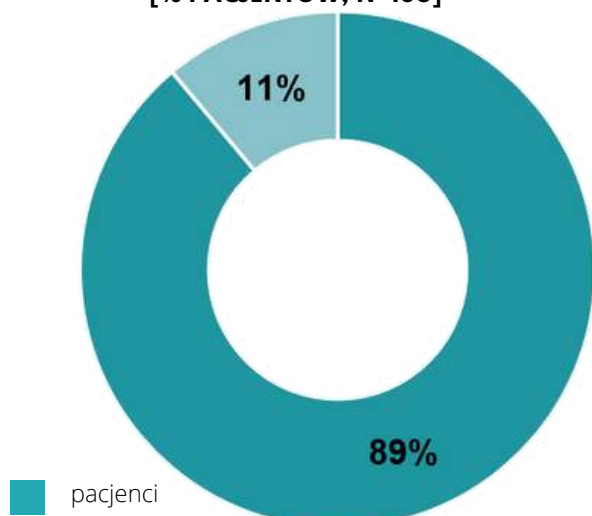


- POZYTYWNE - CZUJĘ PEŁNE ZROZUMIENIE I WSPARCIE
- NEGATYWNE - CZĘSTO BOJĘ SIĘ JESZCZE BARDZIEJ, SŁYSZĄC O TRUDNOŚCIACH INNYCH OSÓB
- NIE MA TO WIĘKSZEGO WPŁYWU NA MOJE SAMOPOCZUCIE

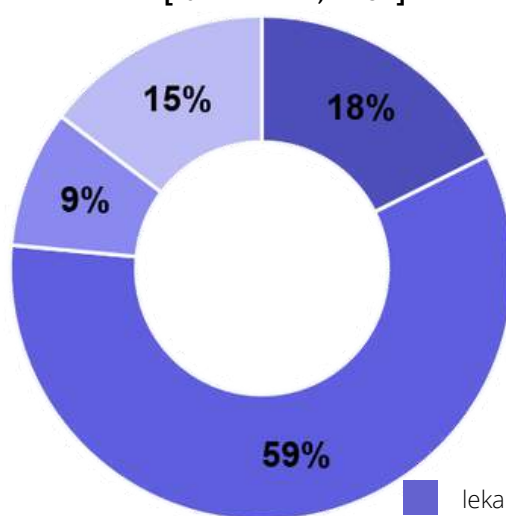
JAK DUŻO POWINIEN WIEDZIEĆ PACJENT?

Jednym z dylematów, z jakimi zmagają się lekarze hematoonkolodzy jest kwestia zakresu przekazywanych choremu informacji. Lekarz samodzielnie musi wyważyć jak szeroki komunikat powinien przekazać biorąc pod uwagę spersonalizowane podejście do potrzeb pacjenta. Zdecydowana większość blisko 60% lekarzy kieruje się intuicją i indywidualnie dobiera ilość przekazywanych informacji do postawy pacjenta. Poza tą postawą, dominują także dwie inne reprezentujące konkurencyjne rozwiązania: 18% stara się za każdym razem przekazywać jak najwięcej informacji o przebiegu choroby i procesie leczenia, natomiast 15% badanych uważa, że chory powinien otrzymać możliwie jak najmniej informacji, aby uniknąć przytłoczenia. Tymczasem rewidując te dane z oczekiwaniami pacjentów należy przyjąć, że niemal wszyscy chorzy, bo aż 89% badanych chcą otrzymywać jak najwięcej informacji, czy to o mechanizmie choroby, jej zagrożeniach, kolejnych etapach leczenia, jak również o wszystkich dostępnych terapiach. Zestawienie obu tych perspektyw pokazuje jak kluczową rolę odgrywa komunikowanie swoich potrzeb przez pacjentów, aby lekarz mógł je następnie uwzględnić.

JAK DUŻO INFORMACJI CHCIAŁ(A)BY PAN/I OTRZYMAĆ OD SWOJEGO LEKARZA NA TEMAT CHOROBY?
[% PACJENTÓW; N=108]



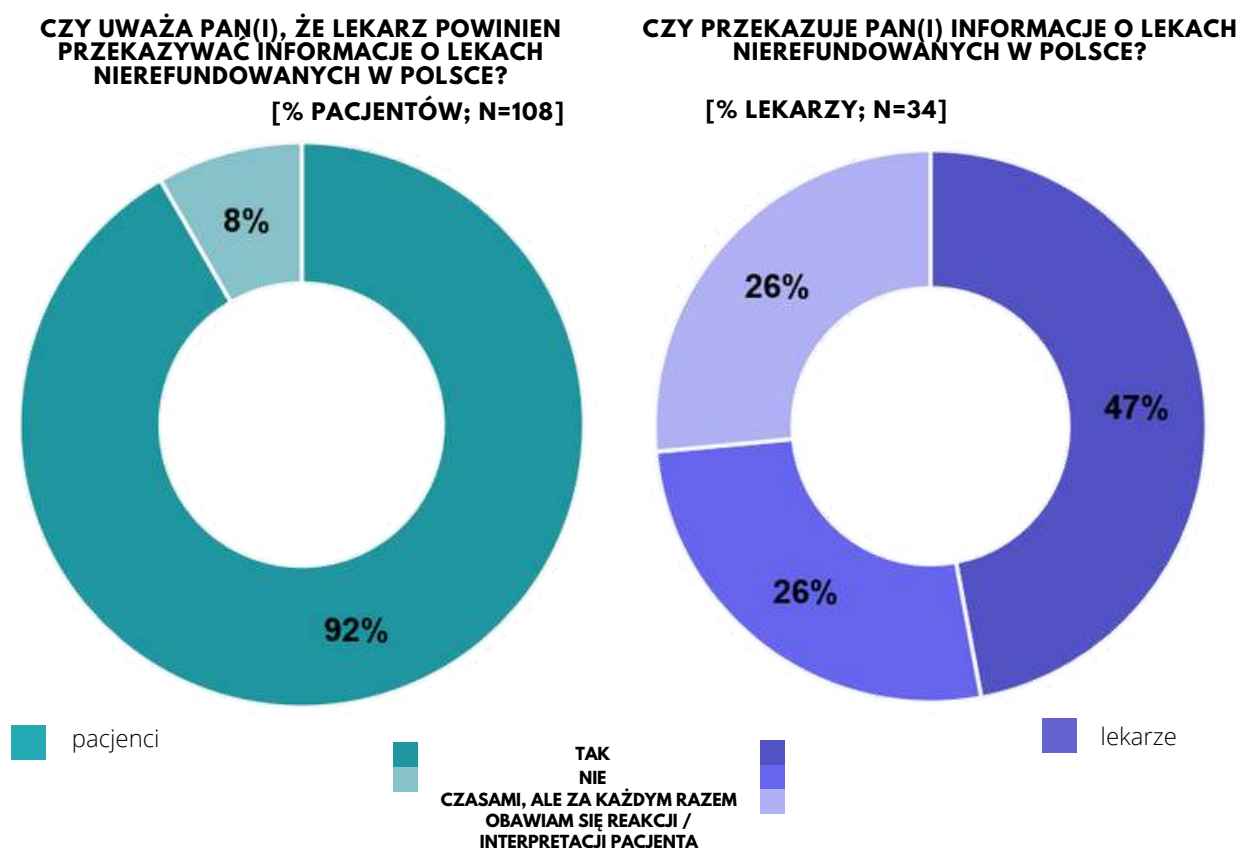
JAK DUŻO INFORMACJI PANA/PANI ZDANIEM POWINIEN OTRZYMAĆ PACJENT NA TEMAT CHOROBY I LECZENIA?
[% LEKARZY; N=34]



MOŻLIWIE JAK NAJWIĘCEJ O MECHANIZMIE CHOROBY, ZAGROŻENIACH, KOLEJNYCH ETAPACH LECZENIA I WSZYSTKICH DOSTĘPNYCH TERAPIACH TO ZALEŻY Z JAKIM TYPEM PACJENTA MAM DO CZYNNIENIA: TAKIM, KTÓRY CHCE WIEDZIEĆ JAK NAJWIĘCEJ CZY TAKIM, KTÓRY NIE CHCE ZNAĆ WSZYSTKICH SCENARIUSZY. MOIM ZADANIEM JEST NAJPIERW SPRAWDZIĆ ILE WIEDZY MU POTRZEBA. STOPNIOWO, Z WIZYTY NA WIZYTĘ, POWIĘKSZAM ZASÓB INFORMACJI, WEDŁUG WŁASNEJ OCENY

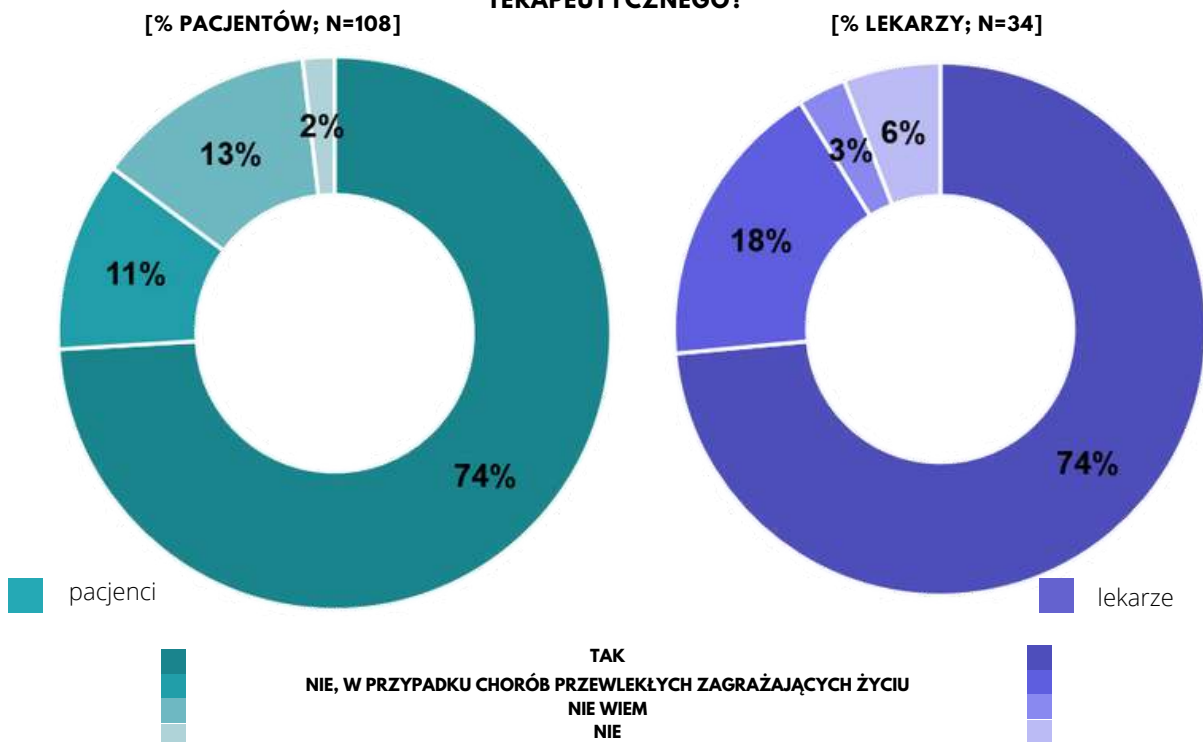
MOŻLIWIE JAK NAJMNIEJ - TYLKO TE FAKTY, KTÓRYCH W PEŁNI POTRZEBUJĘ

Postęp medycyny sprawia, że niemal każdego roku rejestrowane są nowe technologie oferujące nową jakość leczenia oraz szansę na lepsze wyniki kliniczne. Nie wszystkie z nich objęte są niestety finansowaniem ze składki zdrowotnej. Pomimo systematycznego rozszerzania katalogu terapii dostępnych w ramach ubezpieczenia powszechnego, mija ok. 3,5 roku (mediana) od decyzji EMA do pierwszego pojawienia się leku w obwieszczeniu Ministerstwa Zdrowia. Zdania w kwestii informowania pacjenta o terapiach nierefundowanych są podzielone. Z perspektywy pacjenta jest to informacja pożądana przez praktycznie wszystkich, bo aż 92% badanych pacjentów. Tymczasem jednoznacznie pozytywną opinię w tym temacie podzieliło prawie dwukrotnie mniej lekarzy (47%). Praktycznie co czwarty lekarz (26%) udziela takiej informacji tylko czasami, co tłumaczy obawą przed reakcją/interpretacją pacjenta. Tylko samo lekarzy decyduje się na nieinformowanie pacjentów o terapiach spoza koszyka świadczeń gwarantowanych.



Dobrze poinformowany/wyedukowany pacjent odczuwa też większą potrzebę aktywnego partycypowania w procesie decyzyjnym dotyczącym jego przebiegu leczenia. Choć ta kwestia wydaje się wciąż budzić wiele wątpliwości, to jednak zgodnie 74% pacjentów i lekarzy, a więc zdecydowana większość, uważa, że obie strony powinny wspólnie dokonywać tych decyzji. Praktycznie co piąty lekarz (18%) wskazuje na fakt, że ze względu na specyfikę nowotworów układu krwiotwórczego i chłonnego to lekarz powinien mieć ostateczne prawo głosu i tę opinię podzieliło 11% chorych.

CZY LEKARZ I PACJENT POWINNI WSPÓLNIE PODEJMOWAĆ DECYZJĘ O PRZEBIEGU POSTĘPOWANIA TERAPEUTYCZNEGO?



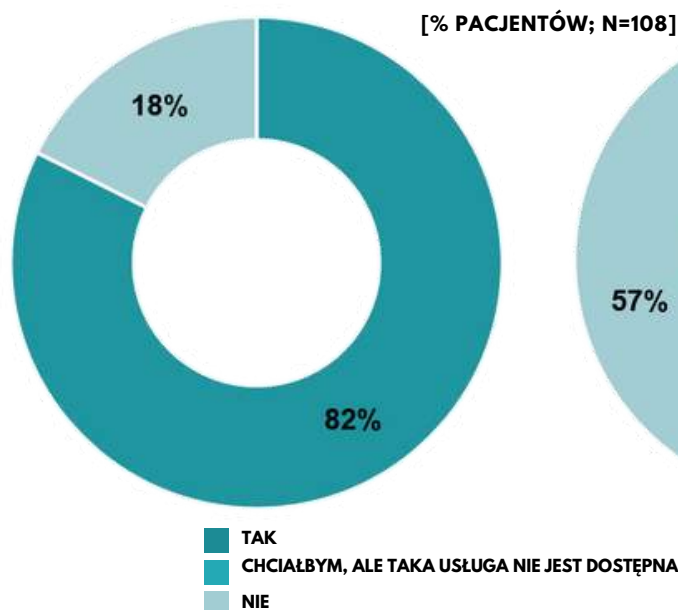
KTO POTRZEBUJE WSPARCIA PSYCHOLOGA / PSYCHOTERAPEUTY?

W terapii nowotworów krwi niezwykle istotne jest multidyscyplinarne podejście do pacjentów i ich opiekunów. Biorąc pod uwagę także obniżenie jakości życia, także ze względów emocjonalnych, udział psychologów i psychoonkologów jest ważnym punktem w procesie leczenia. Pomoc psychoonkologiczna jest skierowana przede wszystkim na:

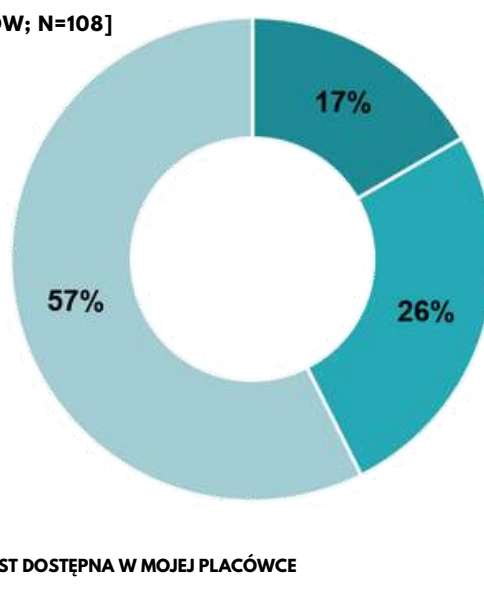
- Zmniejszenie oddziaływania stresu związanego z nadmiarem różnych informacji o chorobie, które wywołują lęk,
- Poszerzenie wiedzy o ważnych aspektach związanych z chorowaniem i kuracją,
- Zmianę negatywnego nastawienia do procesu diagnozowania i leczenia,
- Zmianę obecnego stylu życia i wypracowanie nowego sposobu funkcjonowania w świecie,
- Wykorzystanie doświadczenia, jakim jest choroba dla rozwoju osobistego i zmiany,
- Postawienie zasadniczych pytań egzystencjalnych,
- Poprawienie relacji z bliskimi i otoczeniem.

Z powyższym stwierdzeniem zdają się całkowicie zgadzać pacjenci, ponieważ aż 82% z nich zwraca uwagę, że dostępność do opieki psychoonkologicznej jest kluczowym elementem decydującym o skuteczności leczenia. Niestety, tylko 17% spośród ankietowanych pacjentów korzysta ze specjalistycznej pomocy psychoonkologa.

CZY UWAŻA PAN(I), ŻE NA PRZEBIEG LECZENIA ONKOLOGICZNEGO WPŁYWA DOSTĘPNOŚĆ OPIEKI PSYCHOONKOLOGICZNEJ NA ODDZIALE, BĄDŹ W PORADNI SPECJALISTYCZNEJ?

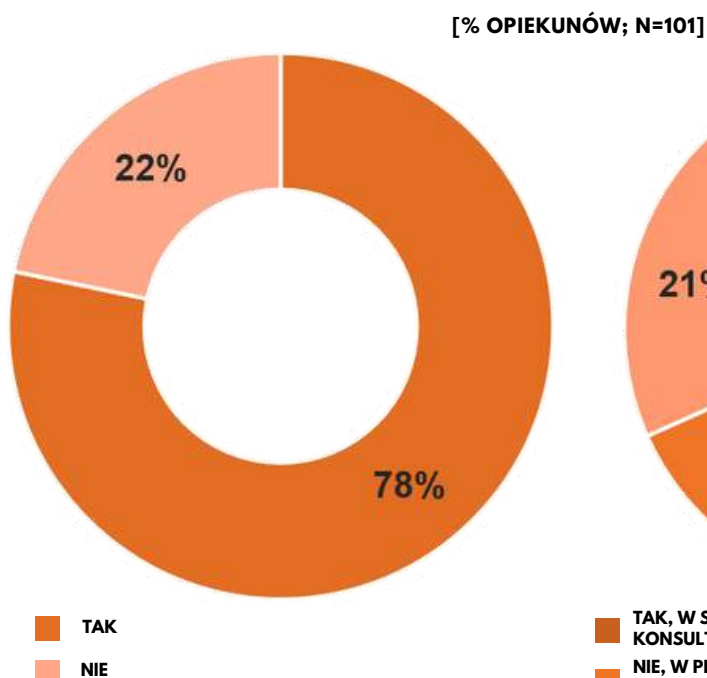


CZY KORZYSTA PAN(I) Z POMOCY PSYCHOONKOLOGA, KTÓRY MOŻE RÓWNIEŻ WSPIERAĆ PROCES KOMUNIKACJI Z LEKARZEM?

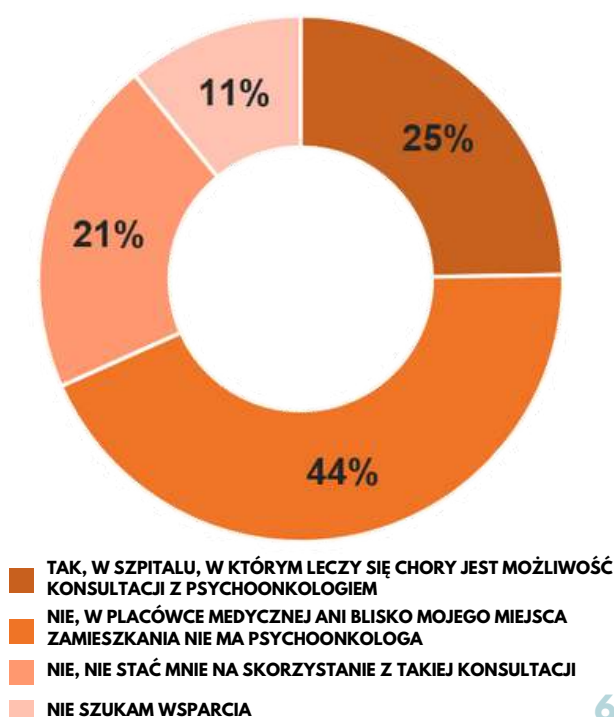


Także wielu badanych opiekunów (78%) sygnalizuje, że potrzebuje w tym trudnym czasie pomocy psychoterapeuty/psychoonkologa. Problem jednak stanowi dostępność opieki psychoonkologicznej. Tylko 25% opiekunów deklaruje, że pomoc ta jest dostępna w ośrodku leczenia onkologicznego, w którym leczy się pacjent. 44% sygnalizuje problem zupełnego braku dostępności takich usług zarówno w placówce, jak i w okolicy miejsca zamieszkania. Aż 21% deklaruje również, że ze względu na dostępność takiej pomocy głównie w sektorze prywatnym, nie są w stanie finansowo zapewnić sobie specjalistycznej opieki.

CZY UWAŻASZ, ŻE POTRZEBUJESZ FACHOWEGO WSPARCIA PSYCHOLOGICZNEGO JAKO OPIEKUN PACJENTA ONKOLOGICZNEGO?



CZY MASZ MOŻLIWOŚĆ SKORZYSTANIA Z TAKIEGO WSPARCIA?

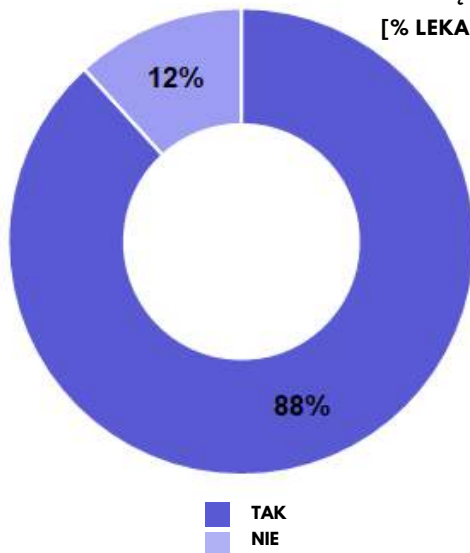


Dostęp do psychoonkologa jest utrudniony ze względu na brak ich zatrudnienia w placówkach państwowej służby zdrowia. W Polsce nie ma wyodrębnionych świadczeń psychoonkologicznych refundowanych przez NFZ. Pacjenci chorzy na raka otrzymują pomoc psychologiczną poprzez świadczenia udzielane w poradniach zdrowia psychicznego, poradniach psychologicznych czy w ramach świadczeń psychoterapeutycznych, ale zgodnie z warunkami określonymi przez płatnika. W dużych ośrodkach medycznych w porozumieniu z NFZ tworzone są poradnie zdrowia psychicznego lub poradnie psychologiczne, w których zatrudniony jest odpowiednio przeszkolony personel, jednak nie zawsze są to psychoonkologowie. W związku z tym, w praktyce wielu pacjentów onkologicznych nie ma możliwości skorzystania z takiej formy pomocy. Co więcej, kłopoty finansowe wielu podmiotów leczniczych nie pozwalają na inwestowanie w specjalistów psychologii. Środowisko psychoonkologów postuluje w związku z tym o włączenie psychoonkologii do zawodów medycznych. Dzięki temu zmieni się status i postrzeganie zawodu, a wraz z nim dostępność konsultacji psychoonkologicznych dla potrzebujących ich pacjentów. Zgodnie ze wskazaniami Polskiego Towarzystwa Psychoonkologicznego, tytuł psychoonkologa, przysługuje osobie, która ma ukończone studia medyczne na kierunku lekarskim lub studia psychologiczne na kierunku psychologia, oraz studia podyplomowe z psychoonkologii klinicznej. Od takiej osoby wymaga się również udokumentowanego, minimum rocznego stażu pracy z pacjentem onkologicznym lub paliatywnym. Obligatoryjne zatrudnienie psychoonkologa na oddziałach szpitalnych, a co za tym idzie, upowszechniony dostęp do usługi niósłby za sobą szereg korzyści. Pacjenci lepiej przygotowani do podjęcia leczenia są bardziej zmotywowani, co z kolei poprawia współpracę z personelem ośrodka.

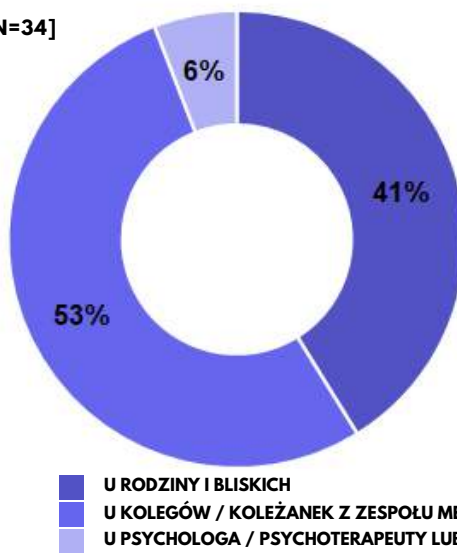
Przebieg komunikacji nie zależy jedynie od kondycji psychicznej pacjenta, ale również lekarza. Hematoonkolodzy są stale narażeni na pracę pod presją, a silny stres jest właściwie nieodłącznym komponentem prowadzenia terapii onkologicznej. Niemal 90% ankietowanych lekarzy wyraziło zainteresowanie taką formą pomocy i uznało ją za wspierający element higieny emocjonalno-zawodowej. Lekarze zapytani, gdzie najczęściej szukają wsparcia w przypadku trudnej rozmowy z pacjentem, w większości przypadków (53%) wskazali jako preferowaną formę konsultacje z kolegami i koleżankami z zespołu medycznego, którzy doświadczają podobnych rozmów. Wielu z nich korzysta także aktywnie ze wsparcia rodziny i bliskich (41%), a zaledwie 6% decyduje się na specjalistyczną pomoc u psychoterapeuty pomimo odczuwanych trudności emocjonalnych.

PRACA Z PACJENTEM HEMATOONKOLOGICZNYM JEST CZĘSTO OBCIĄŻAJĄCA PSYCHICZNIE. CZY UWAGA PAN(I), ŻE HEMATOONKOŁODZY POWINNI MIEĆ MOŻLIWOŚĆ REGULARNEJ SUPERWIZJI Z PSYCHOTERAPEUTĄ?

[% LEKARZE; N=34]



PO TRUDNEJ ROZMOWIE Z PACJENTEM, GDZIE SZUKA PAN(I) DLA SIEBIE WSPARCIA?



TAK
NIE

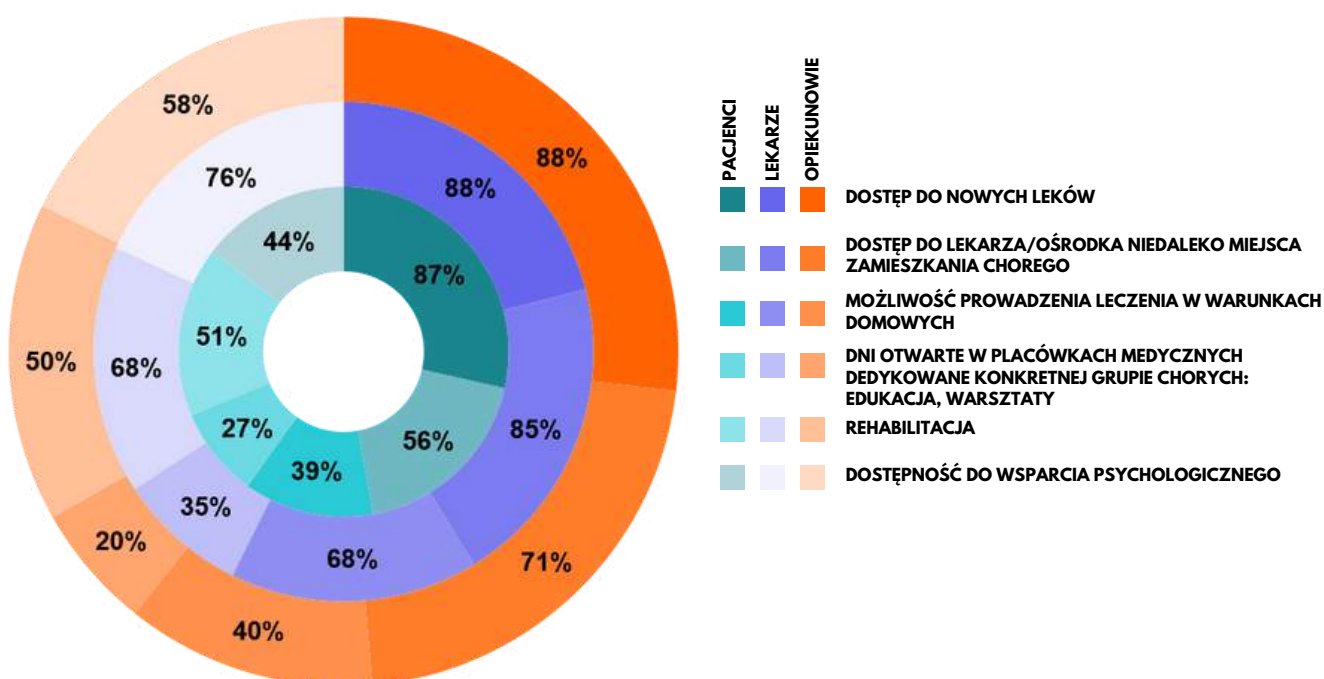
U RODZINY I BLISKICH
U KOLEGÓW / KOLEŻANEK Z ZESPOŁU MEDYCZNEGO
U PSYCHOLOGA / PSYCHOTERAPEUTY LUB PSYCHIATRY

CO NALEŻY POPRAWIĆ W ZAKRESIE OPIEKI NAD PACJENTEM?

To kluczowe pytanie dotyczące propozycji udoskonaleń procesu opieki nad pacjentem z nowotworem krwi zadano wszystkim trzem grupom respondentów. Zarówno pacjenci, opiekunowie i lekarze za najistotniejszy uznali dostęp do nowych leków. Za takim rozwiązaniem opowiedziała się zdecydowana większość respondentów, odpowiednio 87%, 88% i 88% w zależności od analizowanej grupy. Pełna zgodność pomiędzy grupami uzyskana została także w zakresie drugiego priorytetu, na którym uplasował się dostęp do lekarza/ośrodka niedaleko miejsca zamieszkania chorego – pacjenci, opiekunowie i lekarze udzielili takiej odpowiedzi w odpowiednio 56%, 71% i 85% przypadków. Na trzecim miejscu wystąpiły minimalne różnice w typowaniach: opiekunowie i lekarze wskazali na dostępność wsparcia psychoonkologicznego, podczas gdy pacjenci postawili na możliwość uzyskania pełnej rehabilitacji

JAKIE OBSZARY Z ZAKRESU OPIEKI NAD PACJENTEM HEMATOONKOLOGICZNYM POWINNY ULEC POPRAWIE ABY POLEPSZYŁ SIĘ KOMFORT JEGO ŻYCIA?

[% PACJENCI; N=108];
[% OPIEKUNOWIE; N=101];
[% LEKARZE; N=34]





CZĘŚĆ III

WNIOSKI I REKOMENDACJE

Niniejszy raport porusza sytuację pacjentów chorych na nowotwory krwi w ujęciu wieloaspektowym. Do położenia pacjentów odniesiono się globalnie – analizując dostępne metody diagnostyczne, czy dynamiczny rozwój farmakoterapii z uwzględnieniem dostępności do najnowszych osiągnięć medycyny dla polskich pacjentów. Rozważania systemowe uzupełnione zostały badaniem ankietowym przeprowadzonym wśród pacjentów, opiekunów oraz lekarzy na co dzień zajmujących się tematyką nowotworów krwi. Pogłębione wywiady z pacjentami dały odpowiedzi m.in. na pytania: w jaki sposób dowiedzieli się oni o chorobie i jak diagnoza wpłynęła na ich życie zawodowe i społeczne, jak również jak wystąpienie pandemii przełożyło się na proces terapeutyczny. Raport pozwolił na zidentyfikowanie niezaspokojonych potrzeb pacjentów zarówno w ujęciu systemowym, jak i na płaszczyźnie kontaktu między uczestnikami procesu terapeutycznego.

CZĘŚĆ I – HEMATOONKOLOGIA W UJĘCIU KLINICZNYM I SYSTEMOWYM

PROFILAKTYKA WTÓRNA – REGULARNA MORFOLOGIA

W raporcie podkreślono ogromną rolę podstawowych badań, takich jak morfologia krwi. Regularne jej wykonywanie (co najmniej raz w roku) jest najszybszym sposobem zaobserwowania niepokojących zmian. Identyfikacja odstępstw na wczesnym etapie może pozwolić na wcześniejsze wdrożenie leczenia, a tym samym przełożyć się na sukces terapeutyczny. Biorąc pod uwagę stosunkowo łatwy dostęp do podstawowych badań diagnostycznych konieczne jest zwiększenie udziału podstawowej opieki zdrowotnej w tym zakresie. Aby zwiększyć skuteczność wczesnego wykrywania nowotworów krwi, należy położyć większy nacisk na działania prewencyjne i promocję zdrowia pierwotną oraz wtórną.

WCZESNA DIAGNOSTYKA – EDUKACJA SPOŁECZEŃSTWA ORAZ LEKARZY POZ W ZAKRESIE SPECYFIKI OBJAWÓW

Nieodłącznym elementem wszelkich działań związanych z wczesną diagnostyką pozostaje intensywna edukacja pacjentów na temat objawów, często niespecyficznych, ale wartych poświęcenia uwagi. Również kampanie skierowane do lekarzy podstawowej opieki zdrowotnej mogą przynieść poprawę w odniesieniu do wczesnych wykryć tej grupy chorób.

LECZENIE – NAJLEPSZE LECZENIE NA POCZĄTEK

Przechodząc do kwestii dostępności terapii, należy zaznaczyć, iż pomimo poprawy w porównaniu do sytuacji obserwowanej w latach 2017-2019 oraz systematycznie uzupełnianej listy terapii refundowanej w ramach koszyka świadczeń gwarantowanych, wciąż polscy pacjenci muszą czekać na publiczne finansowanie najbardziej innowacyjnych częsteczek. Ekspertki kliniczni zauważają, że dostęp do wysoce skutecznych terapii w pierwszej linii może przynieść najwięcej korzyści. Co więcej, może być kluczowy dla kolejnych etapów leczenia. Czas trwania remisji po nawrocie zmniejsza się z każdą kolejną linią leczenia, dlatego tak ważne jest zapewnienie dostępu do najskuteczniejszych terapii już na początku ścieżki pacjenta. W tym właśnie obszarze zauważane są też największe ograniczenia w dostępie do świadczeń. Zarówno praktycy kliniczni jak i organizacje pacjenckie postulują zwiększenie dostępności, a wybrane terapie znajdują się w czołówce wskazywanych potrzeb.

WPŁYW PANDEMII COVID-19 – PREFERENCJA TERAPII DOUSTNYCH ORAZ PODSKÓRNYCH DO SAMODZIELNEJ INIEKCJI

W następstwie pandemii COVID-19 część pacjentów z dnia na dzień zostało pozbawionych możliwości kontaktu z lekarzem prowadzącym, w przypadku innych terminy wizyt były przekładane. Również sami pacjenci zaniepokojeni możliwością zakażenia odkładali decyzję o zgłoszeniu się na wizytę u specjalisty czy wizytę monitorującą. W dobie pandemii istotną rolę zaczęły odgrywać terapie, które minimalizują konieczność przebywania pacjenta w szpitalu – terapie podawane podskórnie oraz doustne postacie leków. Taka forma terapii przynosi korzyści zarówno dla pacjentów (bezpieczeństwo i wygoda stosowania), jak również dla personelu medycznego, umożliwiając ograniczenie liczby pacjentów wymagających bezpośredniego udziału wyspecjalizowanej kadry. Zmiana sposobu podania przekłada się również na obniżenie ponoszonych kosztów.

REJESTR ONKO-HEMATOLOGICZNY – NIEZBĘDNE GROMADZENIE DANYCH O PRZEBIEGU CHOROBY

Wzorem krajów europejskich, priorytetem stało się dążenie do poprawy jakości opieki onkologicznej. Taki cel może zostać osiągnięty między innymi poprzez systematyczne monitorowanie świadczonych usług oraz wyników leczenia. Formujący się Polski Rejestr Onko-Hematologiczny (PROH) daje szansę na usprawnienie zbierania danych, a dzięki temu możliwość lepszego dopasowania terapii dla konkretnego pacjenta. Niezbędne jest jednak dokładne i przemyślane dopracowanie szczegółów funkcjonowania rejestru, aby zapewnić jego najwyższą jakość oraz użyteczność. Przede wszystkim powinien on uwzględnić międzynarodowe wytyczne dotyczące dobrej praktyki rejestrowej (GRP, ang. good registry practice).

CZĘŚĆ II – HEMATOONKOLOGIA W UJĘCIU KLINICZNYM I SYSTEMOWYM

Wyniki ankiet przeprowadzanych wśród pacjentów, opiekunów oraz lekarzy pozwalają na spojrzenie na trudności wynikające ze zmaganiem się z chorobami układu krwiotwórczego i chłonnego z różnych perspektyw. Wspólna analiza kluczowych wyników pozwoliła odnieść się zarówno do kwestii komunikacji, wsparcia psychologicznego, ale również zmiany jakości życia oraz sytuacji ekonomicznej, które pojawiają się wraz z wystąpieniem choroby.

SYTUACJA EKONOMICZNA

W sferze ekonomicznej zarówno u pacjentów (32%) i opiekunów (46%) na pierwszy plan wysuwają się z jednej strony redukcja godzin pracy (średnio o 15-20 h tygodniowo), a z drugiej wzrost kosztów w związku z wystąpieniem choroby i dodatkowymi wydatkami na leczenie (w większości do 1000 zł miesięcznie, choć istnieją przypadki nawet większych wydatków).

Uwzględniając łączną liczbę pacjentów korzystających z programów lekowych i katalogu chemioterapii w 2020 (najnowsze dostępne informacje), oraz zestawiając niniejsze dane z wynikami ankiety, oszacować można, że niemal 5,5 tysiąca pacjentów podejmuje decyzje o redukcji godzin pracy. Co więcej, biorąc pod uwagę przeciętne wynagrodzenie w drugim kwartale 2021 r. (5504,52 zł) możliwe jest skalkulowanie straty w zarobkach.

Przekładając odpowiedzi pacjentów nt. wzrostu wydatków w ujęciu miesięcznym możliwa jest ocena skali wydatków w odniesieniu do wszystkich pacjentów uwzględnionych w raporcie.

WPŁYW CHOROBY NA STATUS EKONOMICZNY PACJENTA



niemal

5,5 TYS.

pacjentów zmuszonych jest zredukować godziny pracy w związku z wystąpieniem u nich choroby

średnia redukcja czasu pracy osiągnęła wymiar

POŁOWY ETATU

STRATY W ZAROBKACH W SKALI ROKU

z powodu zmniejszenia wymiaru etatu



33 TYS. ZŁ

w przeliczeniu na 1 pacjenta

178 MLN ZŁ

w przeliczeniu na wszystkich pacjentów hematologicznych

WZROST MIESIĘCZNYCH WYDATKÓW PACJENTÓW HEMATOLÓGICZNYCH



niemal

10 MLN ZŁ MIESIĘCZNIE

JAKOŚĆ ŻYCIA

Jakość życia jest istotnym elementem oceny stanu zdrowia pacjentów z chorobami z układu krwiotwórczego i chłonnego. Aż 89% z nich wskazuje niestety, że diagnoza i proces terapeutyczny przyczyniły się do pogorszenia ich jakości życia.

KOMUNIKACJA

W relacji pomiędzy lekarzem a pacjentem należy dążyć do partnerskiego układu. Ograniczeniem jest jednak czas, jaki lekarz może poświęcić na rozmowę z pacjentem, ponieważ w niektórych przypadkach to zaledwie 5 minut. Trudności w komunikacji zgłaszane są zarówno ze strony pacjentów, jak i lekarzy. W relacji pacjentów i ich opiekunów największą trudność sprawia rozmowa, a choć dzielenie się emocjami jest niezwykle ważne, to znaczna część ankietowanych nie porusza tego tematu. Warto także zwrócić uwagę na źródła poszukiwania metod komunikacji z chorą osobą i mały udział specjalistów zajmujących się obszarem psychoonkologii. Pomimo istotnej roli opiekunów pacjentów z nowotworami krwi w kontakcie z lekarzem, wciąż istnieją przypadki samotnego mierzenia się z chorobą i nowymi informacjami w trakcie wizyt. Od lekarzy oczekuje się przede wszystkim dostępności czasowej, zrozumiałej odpowiedzi na wszystkie pytania i udzielania informacji na temat opcji leczenia w partnerskiej postawie. Istotną rolę w kontakcie pomiędzy pacjentami odgrywają organizacje pacjenckie gromadzące osoby, które obecnie doświadczają, bądź wcześniej zmagaly się z chorobą. Warto wspomnieć o możliwości dołączenia do rozmów pomiędzy innymi pacjentami i opiekunami, które pozwalają na podzielenie się emocjami i rozwiązaniami trudności dnia codziennego.

CO POPRAWIĆ, ABY POLEPSZYĆ KOMFORT ŻYCIA PACJENTA?

	 PACJENCI	 OPIEKUNOWIE	 LEKARZE
1	DOSTĘPNOŚĆ DO NOWYCH LEKÓW	DOSTĘPNOŚĆ DO NOWYCH LEKÓW	DOSTĘPNOŚĆ DO NOWYCH LEKÓW
2	DOSTĘPNOŚĆ DO LEKARZĄ / OŚRODKA NIEDALEKO MIEJSCA ZAMIESZKANIA	DOSTĘPNOŚĆ DO LEKARZĄ / OŚRODKA NIEDALEKO MIEJSCA ZAMIESZKANIA	DOSTĘPNOŚĆ DO LEKARZĄ / OŚRODKA NIEDALEKO MIEJSCA ZAMIESZKANIA
3	DOSTĘPNOŚĆ DO REHABILITACJI MEDYCZNEJ	DOSTĘPNOŚĆ DO WSPARCIA PSYCHOLOGICZNEGO	DOSTĘPNOŚĆ DO WSPARCIA PSYCHOLOGICZNEGO



Hematologia to dziedzina, w której obserwuje się bardzo dynamiczny rozwój nauki i nowych technologii, w tym diagnostycznych i lekowych. Ponad 70 proc. metod terapeutycznych stosowanych w hematologii opiera się na lekach, pozostałe 30 proc. to przeszczepienia krwiotwórczych komórek macierzystych, dlatego też zwiększenie dostępności do nowoczesnych leków dla pacjentów hematologicznych pozostaje najważniejszym wyzwaniem dla polskiej hematologii.

Na naszych oczach zmieniają się standardy leczenia w hematologii, do których wchodzi nowe leki tzw. terapie celowane, takie jak inhibitory szlaków sygnałowych w komórce czy szeroko rozumiana immunoterapia. Leki celowane bardziej precyzyjnie, w porównaniu z klasycznymi cytostatykami, niszczą komórki nowotworowe, a także mają mniejszą toksyczność, a więc są bezpieczniejsze dla pacjentów. Co ważne, nowoczesne terapie, w tym leki celowane, jeszcze kilka lat temu były stosowane głównie u chorych na nawrotowe i oporne nowotwory krwi, a obecnie stają się standardem również w leczeniu pierwszej linii. Im skuteczniejsze leczenie zastosujemy na początku choroby, tym większa jest szansa na wydłużenie czasu wolnego od nawrotu choroby i wydłużenie całkowitego przeżycia.

Corocznie rejestrowanych jest w Europie kilka nowych cząsteczek w różnych wskazaniach hematologicznych. W ciągu ostatnich lat istotnie poprawił się dostęp do nowoczesnych terapii przeciwnowotworowych w Polsce, bo o ile w latach 2017-2019 nowe substancje czynne były refundowane średnio po około 3,5 roku od ich rejestracji przez Europejską Agencję Leków (EMA), to od 2019 roku proces ten znacznie przyspieszył i skrócił się o ponad rok.

W ciągu ostatnich trzech lat Minister Zdrowia wydał wiele pozytywnych decyzji refundacyjnych, dzięki którym istotnie poprawił się dostęp do nowoczesnych leków dla polskich pacjentów hematologicznych chorujących na szpiczaka plazmocytoowego (pomalidomid, daratumumab w połączeniu z bortezomibem i deksametazonem, karfilzomib w połączeniu z lenalidomidem i deksametazonem oraz karfilzomib w połączeniu z deksametazonem), a także icksazomib w połączeniu z lenalidomidem i deksametazonem), przewlekłą białaczkę limfocytową (wenetoklaks - przy obecności delecji 17p/mutacji TP53, wenetoklaks z rytuskymabem lub ibrutynib - bez obecności delecji 17p/mutacji TP53), chłoniaka grudkowego (obinutuzumab w połączeniu z chemioterapią w pierwszej linii oraz w nawrocie lub oporności), chłoniaka Hodgkina z wysokim ryzykiem nawrotu po przeszczepieniu szpiku (brentuksymab wedotyny), ziarniniaka grzybia-stego i zespół Sezary'ego (brentuksymab wedotyny), pierwotne chłoniaki skórne T-komórkowe (pegylowany interferon), ostrą białaczkę limfo-blastyczną (blinatumomab, inozutumab ozogamycyny, ponatynib), przewlekłą białaczkę szpikową (ponatynib), nowotwory mieloproliferacyjne (pegylowany interferon), ostrą białaczkę promielocytową (trójtlenek arsenu w skojarzeniu z kwasem all-trans retinowym), ostre białaczki szpikowe lub agresywną mastocytozę układową, mastocytozę układową ze współistniejącym nowotworem układu krwiotwórczego oraz białaczkę mastocytarną (midostauryna). Na tegorocznej wrześniowej liście refundacyjnej znalazła się długo wyczekiwana przez polskich pacjentów i ich lekarzy terapia CAR-T w postaci leku - tisagenlecleucel (Kymriah). Tisagenlecleucel jest dostępny w ramach programu lekowego dla dzieci i młodych dorosłych w wieku do 25 lat z ostrą białaczką limfoblastyczną z komórek B, którzy są oporni na leczenie lub mają drugi bądź kolejny nawrót choroby. Umożliwienie dostępu do terapii CAR-T dla chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną jest niewątpliwie bardzo dużym sukcesem refundacyjnym, do którego przyczyniło się wiele osób, w tym przede wszystkim Ministerstwo Zdrowia, eksperci kliniczni i systemowi oraz organizacje pacjenckie. Kolejnym wyzwaniem refundacyjnym w najbliższym czasie będzie zapewnienie dostępu do terapii CAR-T dla chorych na agresywne chłoniaki z dużych komórek B. Dla chorych z tymi rozpoznaniem zarejestrowane są już dwie technologie CAR-T, tj. tisagenlecleucel (Kymriah) i axicabtagene ciloleucel (Yescarta). Proces refundacyjny w tym wskazaniu klinicznym aktualnie się toczy. Wszyscy czekamy z nadzieją na jego pozytywne rozstrzygnięcie.

Oprócz terapii CAR-T, należy wspomnieć o kilku nowych i bardzo skutecznych terapiach, zarejestrowanych w ciągu ostatnich dwóch lat przez EMA. Dla chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową jest to terapia wenetoklaksem w połączeniu z obinutuzumabem stosowana w pierwszej linii leczenia. Jest to terapia pozbawiona klasycznych cytostatyków, a więc bezpieczna, dobrze tolerowana, ograniczona w czasie, tj. stosowana przez 12 miesięcy i skuteczna (mediana przeżycia wolnego od progresji choroby nie została osiągnięta po czterech latach). Kolejnym ważnym lekiem jest polatuzumab wedotyny dla pacjentów z nawrotowym lub opornym chłoniakiem rozlanym z dużych komórek B, którzy nie kwalifikują się do przeszczepienia autologicznych krwiotwórczych komórek macierzystych. Zastosowanie tego leku przedłuża całkowite przeżycie chorych w porównaniu do pacjentów leczonych standardową immuochemioterapią. Nowoczesną terapią, która również wydłuża całkowite przeżycie chorych na ostre białaczki szpikowe niekwalifikujących się do intensywnej chemioterapii jest wenetoklaks z azacytydyną. Kolejną, niezwykle pilną potrzebę refundacyjną stanowi letermowir, czyli lek zalecany w zapobieganiu reaktywacji cytomegalowirusa (CMV) i rozwojowi choroby CMV u seropozytywnych, względem CMV, biorców allogenicznych krwiotwórczych komórek macierzystych szpiku.

Mówiąc o dostępności do nowych terapii nie można zapomnieć o kilku lekach, które od kilku lat są stosowane i refundowane w innych krajach Unii Europejskiej, ale na które polscy pacjenci ciągle czekają. Pierwszym z nich jest lenalidomid stosowany w pierwszej linii leczenia u chorych na szpiczaka plazmocytozy, którzy nie kwalifikują się do procedury przeszczepienia autologicznych komórek krwiotwórczych. Drugim bardzo potrzebnym lekiem jest ibrutynib dla chorych na opornego lub nawrotowego chłoniaka z komórek płaszczu i pacjentów z makroglobulinemią Waldenstöma. Ibrutynib, podobnie jak inny nowy inhibitor BTK - akalabrutynib, są niezbędne w pierwszej linii leczenia dla chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową z delecją 17p lub mutacją TP53.

Postęp w hematologii w ciągu ostatnich kilkunastu lat jest bardzo znaczny, a dzięki nowoczesnym technologiom lekowym możliwe jest przekształcenie chorób, które kiedyś doprowadzały do śmierci chorego w ciągu kilku lat - w choroby przewlekłe. Nie należy zapominać, że inwestycje w nowoczesne technologie lekowe w hematologii to nie tylko efektywność kliniczna, ale także korzystne efekty społeczne i ekonomiczne, gdyż zastosowanie nowych terapii i uzyskanie długotrwałych remisji choroby umożliwia części pacjentom powrót do aktywnego życia zawodowego i społecznego.



MARIUSZ KORDECKI

EKSPERT I PRAKTYK W OBSZARZE PROJEKTÓW MEDYCZNYCH, CRO, EBM I HTA.
WSPÓŁAUTOR PUBLIKACJI NAUKOWYCH, WYKŁADOWCA ZEWNĘTRZNY CMUJ,
EKSPERT KLINICZNY TÜV NORD, AKTYWNY SZKOLENIOWIEC.



Istotą optymalnego podejścia do systemowego leczenia pacjentów hematologicznych jest dostępność do innowacyjnych i wysoce skutecznych terapii. Jest to kluczowy czynnik z punktu widzenia pacjenta, jego opiekuna, ale również lekarza, który powinien zapewnić możliwie jak najlepsze schematy leczenia zgodne z aktualnymi wytycznymi klinicznymi.

W takiej sytuacji problemem staje się oczywiście dostęp do pełnego spektrum leczenia zarówno w pierwszej jak i kolejnej linii leczenia. Wykaz technologii lekowych oraz poszczególnych, refundowanych wskazań, jest publikowany w ramach obwieszczenia MZ. Jednocześnie nie zawsze wskazania rejestracyjne pokrywają się ze wskazaniami refundacyjnymi. Zazwyczaj refundacja jest zawężona w stosunku do wskazania produktu leczniczego i ogranicza dostęp dla pełnej populacji.

Obecnie dodatkowym mechanizmem wczesnego dostępu do innowacyjnych terapii jest Fundusz Medyczny powołany w 2020 r. Celem Funduszu jest wsparcie działań zmierzających do poprawy zdrowia i jakości życia przez zapewnienie dodatkowych źródeł finansowania:

- Profilaktyki, wczesnego wykrywania, diagnostyki i leczenia chorób cywilizacyjnych, w tym chorób nowotworowych i chorób rzadkich,*
- Infrastruktury ochrony zdrowia wpływającej na jakość i dostępność oraz bezpieczeństwo udzielanych świadczeń opieki zdrowotnej,*
- Dostępu do wysokiej jakości świadczeń opieki zdrowotnej,*
- Rozwoju systemu opieki zdrowotnej przez koncentrację działań wokół pacjenta i jego potrzeb, ze szczególnym uwzględnieniem poprawy jakości życia pacjentów i ich rodzin,*
- Świadczeń opieki zdrowotnej udzielanych osobom do ukończenia 18 roku życia,*
- Świadczeń opieki zdrowotnej udzielanych świadczeniobiorcom poza granicami kraju.*

Zaletą takiego rozwiązania i zarazem szansą dla pacjentów może być wcześniejsza dostępność do terapii innowacyjnych m.in. w chorobach nowotworowych oraz rzadkich, uzupełniając w ten sposób system refundacji.

Jak dotąd Fundusz Medyczny nie poprawił dostępu do leczenia innowacyjnymi technologiami lekowymi w onkologii. Mimo obietnic nie uzupełnia również znacząco klasycznej ścieżki refundacji. Sytuacja pacjenta hematoonkologicznego w dobie pandemii COVID-19 jeszcze bardziej skomplikowała dostępność do świadczeń gwarantowanych w szczególności w powiatach z wysokim wskaźnikiem zachorowań. W ujęciu ogólnopolskim, w porównaniu do początku 2019 roku zaobserwowano wzrost czasu oczekiwania na wizytę u hematologa, który obecnie wynosi ok. 2 miesiące. [110] Uwzględniając znaczne obciążenie pracą personelu medycznego oraz obawy pacjentów hematoonkologicznych, szczególnie w dobie pandemii, jednym z kluczowych rozwiązań dla systemu opieki zdrowotnej mogą być terapie prowadzone w warunkach ambulatoryjnych (pozwalające na podanie podskórne) lub w domu pacjenta (terapię doustne).

Przy obecnych, ograniczonych zasobach szczególnie istotne wydaje się monitorowanie wyników leczenia pacjentów hematoonkologicznych za pomocą dedykowanych rejestrów. Gromadzenie wiarygodnych danych RWE umożliwia porównanie skuteczności poszczególnych technologii wpływając jednocześnie na optymalizację kosztów terapii. Tego typu dane pozwalają w przyszłości oceniać długofalowe wyniki procesów diagnostyczno-terapeutycznych i ulepszać tym samym procedury zgodnie z potrzebami pacjentów. Rejestry zyskują coraz większą wagę nie tylko ze względu na możliwość pozyskania danych w celach naukowych oraz klinicznych, ale również ze względu na ich potencjalną rolę w kształtowaniu polityki lekowej oraz procesu decyzyjnego (ang. decision-making).

W związku z postępującymi zmianami demograficznymi warto zwiększać bieżące koszty leczenia, aby w przyszłości koszty pośrednie i straty w gospodarce były niższe. Koszty pośrednie w największym stopniu składają się ze strat z powodu: przedwczesnych zgonów, niezdolności do pracy, związanych z opieką nad chorymi.



PROF. SEBASTIAN GIEBEL

WICEPREZES POLSKIEGO TOWARZYSTWA HEMATOLOGÓW I TRANSFUZJOLOGÓW,
PREZES POLSKIEJ GRUPY BADAWCZEJ CHŁONIAKÓW (PLRG), SEKRETARZ GRUPY
ROBOCZEJ EUROPEJSKIEGO TOWARZYSTWA PRZESZCZEPIANIA KRWI I SZPIKU
(EBMT) ORAZ KOORDYNATOR BADAŃ KLINICZNYCH PROWADZONYCH W RAMACH
POLSKIEJ GRUPY DS. LECZENIA BIAŁACZEK U DOROSŁYCH (PALG), EUROPEJSKIEJ
SIECI BIAŁACZKOWEJ I ŚRODKOWOEUROPEJSKIEJ GRUPY BIAŁACZKOWEJ.



Współpraca środowiska medycznego z decydentami, przy udziale organizacja pacjenckich jest warunkiem optymalizacji systemu opieki nad chorymi na nowotwory układu krwiotwórczego. Wiedza ekspercka oraz rozpoznanie oczekiwań pacjentów są podstawą przy podejmowaniu racjonalnych decyzji. Raport "HematoKoalicja" jest znakomitym dokumentem, przedstawiającym w przystępny sposób informacje dotyczące epidemiologii, diagnostyki, leczenia i organizacji opieki zdrowotnej, ale też wyniki badań ankietowych pozwalających spojrzeć na problem z perspektywy chorego. To świetny materiał dla wszystkich, którzy działają na rzecz hematoonkologii.

STRONA KOŃCZĄCA

Dokument prezentuje unikalne i kompleksowe podejście do obszaru nowotworów układu krwiotwórczego i chłonnego z perspektywy pacjenta, opiekuna oraz klinicysty, uwzględniając rolę i miejsce każdego z uczestników w systemie opieki zdrowotnej, a także realia opieki nad pacjentem chorym na nowotwory krwi i układu chłonnego w czasie pandemii COVID-19. Raport koncentruje się na osobach chorujących na szpiczaka plazmocytozowego i przewlekłą białaczkę limfocytową uwzględniając:

- ścieżkę pacjenta z nowotworem krwi w polskim systemie opieki zdrowotnej z uwzględnieniem potrzeby jak najwcześniejszej diagnostyki i dostępu do nowoczesnych terapii,
- diagnostykę genetyczną,
- kształcenie i organizacja opieki nad pacjentami z nowotworami krwi,
- rejestr hematoonkologiczny,
- aktywność społeczno-zawodową pacjentów 65+ (będących w grupie największego ryzyka zachorowalności na choroby krwi): próba określenia profilu pacjenta.

HEMATOKOALICJA

HematoKoalicja to wspólna inicjatywa czterech organizacji pacjenckich zmierzająca do poprawy jakości życia i leczenia pacjentów hematoonkologicznych w Polsce. Do tej pory każda z organizacji działała w tym kierunku indywidualnie, obecnie jednoczymy nasze starania dla zainicjowania szerokiego dialogu pomiędzy instytucjami, który pozwoli na rzetelną analizę sytuacji i wypracowanie propozycji systemowych rozwiązań, które pozwolą m.in. na szybszą niż dotychczas diagnostykę, dostęp pacjentów do nowoczesnych sposobów leczenia i poprawią komunikację pomiędzy pacjentem a lekarzem.

HematoKoalicję tworzą: Fundacja Onkologiczna Alivia, Fundacja Carita im. Wiesławy Adamiec, Fundacja OnkoCafe Razem Lepiej, PARS - Polskie Amazonki Ruch Społeczny.

Prace HematoKoalicji obejmują 3 podstawowe obszary:

- **Komunikacja i media** – zespół zajmujący się tematyką komunikacji medycznej, obrazu leczenia chorób hematoonkologicznych przedstawianego w mediach,
- **Ujęcie systemowe** – osoby odpowiedzialne za zbadanie i kwestie ekonomiki zdrowia i rejestrów hematoonkologicznych,
- **Potrzeby pacjentów hematoonkologicznych** – grupa monitorująca potrzeby pacjentów i ich możliwości w zakresie leczenia z wykorzystaniem nowoczesnych metod oraz zajmująca się tematyką przeciwdziałania niestosowaniu się pacjentów do zaleceń medycznych.

UCZESTNICZY PROJEKTU HEMATOKOALICJA



Fundacja OnkoCafe Razem lepiej

Fundatorem i pomysłodawczynią utworzenia Fundacji "OnkoCafe - Razem lepiej" jest Anna Kupiecka, która w 2010 roku zachorowała na nowotwór piersi, a w 2012 roku, na portalu społecznościowym Facebook stworzyła grupę wzajemnego wsparcia pod nazwą Fakraczki. Na niej osoby dotknięte chorobą nowotworową podzieliły się swoimi doświadczeniami napotkanymi w procesie leczenia. Poruszały także ważne problemy związane z chorobą oraz dzieliły się zdobytą wiedzą. Pierwsze spotkanie w ramach działalności fundacji, odbyło się w maju 2013 roku. Szeregi fundacji zrzeszają ludzie, którzy aktywnie działając, z oddaniem reagują na potrzeby pacjentów. Obecnie są to wolontariusze, niekiedy sami zmagający się ze swoją chorobą, wykluczeniem lub po przebytej chorobie.



dodajemy odwagi

Fundacja Alivia

Misją Fundacji Alivia jest mobilizowanie i aktywizowanie chorych na raka do bycia odważnym, aktywnym pacjentem, poszukującym najlepszych terapii, lekarzy i ośrodków, najkrótszych kolejek do badań diagnostycznych i wszelkich innych informacji, które mogą poprawić ich wyniki leczenia i stan zdrowia. Fundacja Alivia edukuje i reprezentuje pacjentów onkologicznych w debacie publicznej oraz daje narzędzia, dzięki którym mogą oni odważniej decydować o swoim zdrowiu, miejscu i sposobie leczenia.



Fundacja Carita im. Wiesławy Adamiec. Żyć ze szpiczakiem

Misją Fundacji jest wszechstronne działanie na rzecz chorych na szpiczaka mnogiego, a także prowadzenie działań w zakresie opieki, pomocy społecznej oraz ochrony zdrowia.

Ze względu na ciągły postęp w medycynie, przybywa nowych leków, mogących pomóc chorym na szpiczaka, niestety wiele z nich wciąż jest niedostępnych w Polsce. Dlatego Fundacja zamierza aktywnie działać na rzecz wprowadzania takich leków na polski rynek, by każdy chory mógł otrzymać optymalne leczenie.



Polskie Amazonki Ruch Społeczny

Polskie Amazonki Ruch Społeczny to stowarzyszenie wywodzące się z dobrze znanej organizacji Amazonek, działającej na rzecz raka piersi. W 2009 r. postanowiliśmy pójść o krok dalej i stworzyć ruch społeczny skupiający pacjentów onkologicznych, zarówno kobiety jak i mężczyzn, a także wszystkich, dla których znacząca jest sytuacja polskiej onkologii. Polskie Amazonki Ruch Społeczny to platforma szerokiego dialogu i współpracy, której celem jest wywarcie pozytywnego wpływu na standard diagnostyki, leczenia i rehabilitacji wszystkich rodzajów nowotworów.

BIBLIOGRAFIA

1. Gierczyński J. et al. Wyzwania systemowe stojące przed hematologią onkologiczną w aspekcie starzejącego się społeczeństwa w Polsce. *Hematology in Clinical Practice* Vol 6, No 3 (2015)
2. Główny Urząd Statystyczny, <https://bdl.stat.gov.pl/BDL/dane/podgrup/tablica>
3. Gajewski P. (red.) et al.: Interna Szczeklika 2021. Medycyna Praktyczna; Kraków 2021
4. Zierhut M., Hematological Neoplasms, Intraocular Inflammation pp 1493-1510
5. Giebel S. Current status and achievements of Polish haemato-oncology. *Acta Haematol Pol* 2021;52(1):4-17
6. AOTMiT: Kompleksowa opieka hematologiczna – model organizacji diagnostyki i leczenia nowotworów układu krwiotwórczego i chłonnego u osób dorosłych. WS.4320.3.2019
7. Nowotwory złośliwe w Polsce w 2018 r. Ministerstwo Zdrowia 2020.
8. Cancer.org: What Is Chronic Lymphocytic Leukemia?. American Cancer Society, <https://www.cancer.org/cancer/chronic-lymphocytic-leukemia/about/what-is-ll.html> [dostęp: 23.08.21]
9. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 25 marca 2021 r w sprawie ogłoszenia jednolitego tekstu rozporządzenia Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej. (Dz.U. 2021 poz. 540).
10. Medycyna Praktyczna: Interna: Choroby układu krwiotwórczego. mp.pl [dostęp: 20.07.21]
11. Zimny-Zając A. et al.: Narodowy Test Zdrowia Polaków, 2020.
12. Ministerstwo Zdrowia, <https://www.gov.pl/web/zdrowie/profilaktyka40-plus---pakiet-badan-dla-milionow-polakow>
13. Ministerstwo Zdrowia. <https://www.gov.pl/web/zdrowie/profilaktyka-40-plus>
14. Puls Medycyny. <https://pulsmedycyny.pl/program-profilaktyka-40-plus-potrwa-dluzej-zainteresowanie-nim-polakow-to-potrzebne-wyzwanie-1129229>
15. Puls Medycyny, <https://pulsmedycyny.pl/program-profilaktyka-40-plus-jak-skorzystac-z-badan-11215>
16. Ministerstwo Zdrowia: Program badań profilaktycznych dla osób od 40. roku życia. 2021
17. Giannopoulos K., et al., Wyzwania wczesnej diagnostyki szpiczaka plazmacytowego – algorytm diagnostyczny, *Acta Haematologica Polonica* 50(3), 2019 121–129
18. Zalecenia postępowania diagnostyczno-terapeutycznego w nowotworach złośliwych – 2013 r. Warzocha K. Przewlekła białaczka limfocytowa.
19. EMA, https://www.ema.europa.eu/en/documents/report/human-medicines-highlights-2020_en.pdf
20. EMA, [https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data#european-public-assessment-reports-\(epar\)-section](https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data#european-public-assessment-reports-(epar)-section)
21. Jakubiak K., et al. Rozwój terapii lekowych w leczeniu chorych na nowotwory. Nowości. Innowacje. Przełomy. Development of drug therapies in the treatment of cancer patients. News. Innovations. Breakthroughs, 2020
22. Ministerstwo Zdrowia <https://www.gov.pl/web/zdrowie/obwieszczenia-ministra-zdrowia-lista-lekow-refundowanych>
23. Rogowski W., Zysk R., Krzakowski M., Programy lekowe w onkologii – jak optymalnie wykorzystać ich możliwości, *Via Medica Onkologia w Praktyce klinicznej*, 2018, tom 4, nr. 5
24. Sprawozdanie z działalności NFZ 2016, https://www.nfz.gov.pl/gfx/nfz/userfiles/_public/bip/dzialalnosc_nfz/sprawozdania_z_dzialalnosci_nfz/sprawozdanie_z_dzialalnosci_nfz_za_2016_rok.pdf
25. Sprawozdanie z działalności NFZ 2017, https://www.nfz.gov.pl/gfx/nfz/userfiles/_public/bip/dzialalnosc_nfz/sprawozdania_z_dzialalnosci_nfz/sprawozdanie_z_dzialalnosci_nfz_za_2017_rok.pdf
26. Sprawozdanie z działalności NFZ 2018, https://www.nfz.gov.pl/gfx/nfz/userfiles/_public/zarzadzenia_prezesa/uchwaly_rady_nfz/2019/zal_do_uchwaly_nr_12_sprawozdanie_z_dzialalnosci_nfz_za_2018_rok.pdf
27. Sprawozdanie z działalności NFZ 2019, https://www.nfz.gov.pl/gfx/nfz/userfiles/_public/bip/uchwaly_rady/sprawozdanie_z_dzialalnosci_nfz_za_2019_rok.pdf
28. Sprawozdanie z działalności NFZ 2020, https://www.nfz.gov.pl/gfx/nfz/userfiles/_public/bip/dzialalnosc_nfz/sprawozdania_z_dzialalnosci_nfz/zalacznik_do_uchwaly_nr_12_-sprawozdanie_z_dzialalnosci_nfz_2020_rok-sig.pdf
29. Statystyki NFZ, <https://statystyki.nfz.gov.pl/DrugPrograms>
30. Byrd et al. Acalabrutinib Versus Ibrutinib in Previously Treated Chronic Lymphocytic Leukemia: Results of the First Randomized Phase III Trial. *Journal of Clinical Oncology* 2021, 39, no. 15, suppl
31. Sharman J. Acalabrutinib versus obinutuzumab versus obinutuzumab + chlorambucil in treatment-naïve chronic lymphocytic leukemia: Elevate-TN four-year follow-up. *Journal of Clinical Oncology* > List of Issues > Volume 39, Issue 15, suppl
32. Burger J. et al. Long-term efficacy and safety of first-line ibrutinib treatment for patients with CLL/SLL: 5 years of follow-up from the phase 3 RESONATE-2 study. *Leukemia*. 2020 Mar;34(3):787-798
33. Byrd et al. Ibrutinib versus ofatumumab in previously treated chronic lymphoid leukemia Randomized Controlled Trial *N Engl J Med*. 2014 Jul 17;371(3):213-23.
34. Al-Sawaf O. et al Venetoclax plus obinutuzumab versus chlorambucil plus obinutuzumab for previously untreated chronic lymphocytic leukaemia (CLL14): follow-up results from a multicentre, open-label, randomised, phase 3 trial. *Lancet Oncol*. 2020 Sep;21(9):1188-1200.
35. <https://www.venclextahcp.com/cell/efficacy/pfs.html> [dostęp 28.07.2021]
36. Seymour JF, Kipps TJ, Eichhorst B, D'Rozario J. (2018) Venetoclax-Rituximab in relapsed or refractory chronic lymphocytic leukemia. *N. Engl. J. Med*. 378(12):1107–1120.
37. Facon T. Final analysis of survival outcomes in the phase 3 FIRST trial of up-front treatment for multiple myeloma. *Blood* (2018) 131 (3): 301–310.
38. Bahlis N. et al. Daratumumab plus lenalidomide and dexamethasone in relapsed/refractory multiple myeloma: extended follow-up of POLLUX, a randomized, open-label, phase 3 study. *Leukemia*. 2020 Jul;34(7):1875-1884.
39. Orłowski R. et al. MM-155: Phase 3 MAIA Study: Overall Survival (OS) Results with Daratumumab, Lenalidomide, and Dexamethasone (D-Rd) vs Lenalidomide and Dexamethasone (Rd) in Patients with Transplant-Ineligible Newly Diagnosed Multiple Myeloma (TIE-NDMM). *Clinical Lymphoma Myeloma and Leukemia* Volume 21, Supplement 1, September 2021, Pages S424-S425
40. Fundusz Medyczny – najważniejsze informacje. 2021. <https://www.gov.pl/web/zdrowie/fundusz-med>
41. Zasady i proces tworzenia wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności. AOTMiT. 2021. https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/wykaz_tli/RAPORTY/Zasady_tworzenia_wykazu_TLI_zakreslenia.pdf
42. 42. Opinia Rady Przejrzystości nr 35/2021 z dnia 22 lutego 2021 roku w sprawie technologii lekowych ocenianych pod kątem uwzględnienia na wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności. https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/wykaz_tli/ORP.pdf
43. Ministerstwo Zdrowia. Fundusz Medyczny. <https://www.gov.pl/web/zdrowie/fundusz-medyczny>
44. Budziszewska B. et al.: Zachorowalność i chorobowość na nowotwory układu krwiotwórczego w Polsce (2009–2015) określone na podstawie analizy danych Narodowego Funduszu Zdrowia wykorzystanych w projekcie „Mapy potrzeb zdrowotnych — baza analiz systemowych i wdrożeniowych”
45. Li J et al.: Estimating the prevalence of hematological malignancies and precursor conditions using data from Haematological Malignancy Research Network (HMRN). *Cancer Causes Control*. 2016 Aug;27(8):1019-26.
46. Giebel S. et al.: Current status and achievements of Polish haemato-oncology. *Acta Haematol Pol* 2021;52(1):4-17.
47. AOTMiT, http://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2018/089/RPT/WS.4320.3.2019_RAPORT_hematoonkologia_BIP.pdf
48. <https://naukawpolsce.pap.pl/aktualnosci/news%2C77251%2Ceksperti-nowotwory-krwi-sa-coraz-czesciej-chorobami-przewleklymi.html>

49. Medycyna praktyczna dla pacjentów. Przewlekła białaczka limfocytowa. <https://www.mp.pl/pacjent/hematologia/choroby/170551,przewlekla-bialaczka-limfocytowa> [dostęp 28.07.2021].
50. Cancer Stat Facts: NHL — Chronic Lymphocytic Leukemia/Small Lymphocytic Lymphoma (CLL/SLL). <https://seer.cancer.gov/statfacts/html/cllsll.html>
51. Sant M, Allemani C, Tereanu C, et al. Incidence of hematologic malignancies in Europe by morphologic subtype: results of the HAEMACARE project. *Blood* 2010;116(19):3724-34
52. Agnew KL, Ruchlemer R, Catovsky D, Matutes E, Bunker CB. Cutaneous findings in chronic lymphocytic leukaemia. *Br J Dermatol*. 2004 Jun;150(6):1129-35.
53. Robak E, Robak T. Skin lesions in chronic lymphocytic leukemia. *Leuk Lymphoma*. 2007 May;48(5):855-65.
54. Robak T. Podręcznik Interna: Przewlekła białaczka limfocytowa (CLL) <https://www.mp.pl/interna/chapter/B16.11.15.12> [Data aktualizacji: 12 sierpnia 2019]
55. Shanafelt T. D. et al. Quality of life in chronic lymphocytic leukemia: an international survey of 1482 patients. *British Journal of Haematology*, 139, 255–264
56. Waweru, C., Kaur, S., Sharma, S., & Mishra, N. (2020). Health-related quality of life and economic burden of chronic lymphocytic leukemia in the era of novel targeted agents. *Current Medical Research and Opinion*, 1–1. doi: 10.1080/03007995.2020.1784
57. O'Brien S, Furman RR, Coutre S, et al. Single-agent ibrutinib in treatment-naïve and relapsed/refractory chronic lymphocytic leukemia: a 5-year experience. *Blood*. 2018; 131(17): 1910–1919
58. Jones J, Mato A, Coutre S, et al. Evaluation of 230 patients with relapsed/ refractory deletion 17p chronic lymphocytic leukaemia treated with ibrutinib from 3 clinical trials. *Br J Haematol*. 2018; 182(4): 504–512.
59. Stilgenbauer S, Eichhorst B, Schetelig J, et al. Venetoclax for patients with chronic lymphocytic leukemia with 17p deletion: results from the full population of a phase II pivotal trial. *J Clin Oncol*. 2018; 36(19): 1973–1980
60. Hamblin T.J, Davis Z, Gardiner A, et al. Unmutated Ig V(H) genes are associated with a more aggressive form of chronic lymphocytic leukemia. *Blood*. 1999; 94(6): 1848–1854
61. Lin K, Sherrington PD, Dennis M, et al. Relationship between p53 dysfunction, CD38 expression, and IgV(H) mutation in chronic lymphocytic leukemia. *Blood*. 2002; 100(4): 1404–1409
62. Stilgenbauer S, Bullinger L, Lichter P, et al. German CLL Study Group (GCLLSG). Genetic and chronic lymphocytic leukemia genomic aberrations and V(H) gene mutation status in pathogenesis and clinical course. *Leukemia*. 2002; 16(6): 993–1007
63. Kröber A, Bloehdorn J, Hafner S, et al. Additional genetic high-risk features such as 11q deletion, 17p deletion, and V3-21 usage characterize discordance of ZAP-70 and VH mutation status in chronic lymphocytic leukemia. *J Clin Oncol*. 2006; 24(6): 969–975.
64. Fischer K, Bahlo J, Fink AM, et al. Long-term remissions after FCR chemotherapy in previously untreated patients with CLL: updated results of the CLL8 trial. *Blood*. 2016; 127(2): 208–215
65. Hus I, Giannopoulos K, Jamrozik K, Błoński K, Wołowiec D, Roliński J, Smolewski P, Robak T. Rekomendacje diagnostyczne i terapeutyczne dla przewlekłej białaczki limfocytowej w 2021 roku — Raport Grupy Roboczej PTHIT i PALG-CLL. *Hematologia — Edukacja* 2021, tom 1, nr 1, 1–32
66. Diagnosis - Chronic lymphocytic leukaemia <https://www.nhs.uk/conditions/chronic-lymphocytic-leukaemia/diagnosis/>. [dostęp 28.07.2021]
67. Hus I, Wołowiec D, Przewlekła białaczka limfocytowa. Zalecenia postępowania diagnostyczno-terapeutycznego w nowotworach złośliwych 2019 rok. http://onkologia.zalecenia.med.pl/pdf/zalecenia_PTOK_tom2_2.5.Przewlekla_bialaczka_limfocytowa_200520.pdf
68. Przewlekła białaczka limfocytowa – badania. *Hematoonkologia.pl*. <https://hematoonkologia.pl/info-o-chorobach/przewlekla-bialaczka-limfocytowa-badania> [dostęp: 28.07.2021]
69. Warzocha K. Przewlekła białaczka limfocytowa. *Onkol. Prak. Klin.* 2009; 5, 2: 37–46
70. Eichhorst B, Robak T, Montserrat E, Ghia P, Hillmen P, Hallek M, et al. (2015) Chronic lymphocytic leukaemia: ESMO clinical practice guidelines for diagnosis, treatment and follow-up. *Ann. Oncol.* 26 Suppl 5:v78-84.
71. Prof. Krzysztof Giannopoulos: Największą niezaspokojoną potrzebą w hematoonkologii jest pierwsza linia leczenia PBL. *Hematoonkologia.pl* [11.03.2021]
72. <https://www.mzdrowie.pl/leki/top-10-hemato-hematoonkolodzy-wskazuja-priorytety-refundacyjne/> [dostęp: 23.08.2021]
73. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 21 października 2021 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 listopada 2021 r.
74. Giannopoulos K. et al.: Zalecenia Polskiej Grupy Szpiczakowej dotyczące rozpoznawania i leczenia szpiczaka plazmocytozowego oraz innych dyskracji plazmocytozowych na rok 2021
75. Serghianis TN, Zagouri F, Tsimlidis G, Tsiagianni A, Tseliou M, Dimopoulos MA, Psaltopoulou T. Risk Factors for Multiple Myeloma: A Systematic Review of Meta-Analyses. *Clin Lymphoma Myeloma Leuk*. 2015 Oct;15(10):563-77.e1-3.
76. ChPL: DARZALEX 20 mg/ml koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji. EU/1/16/1101/001
77. <https://innowo.org/userfiles/Raport%20Covid-19%20PL.pdf>
78. Barański K, et al., Impact of COVID-19 Pandemic on Total Mortality in Poland, *Int. J. Environ. Res. Public Health* 2021
79. Kim JS, et al.: Clinical characteristics and mortality of patients with hematologic malignancies and COVID-19: a systematic review. *Eur Rev Med Pharmacol Sci*. 2020 Nov;24(22):11926-11933.
80. Wang Q, Berger NA, Xu R. When hematologic malignancies meet COVID-19 in the United States: Infections, death and disparities. *Blood Rev*. 2021 May;47:100775.
81. Yigenoglu TN, et al.: The outcome of COVID-19 in patients with hematological malignancy. *J Med Virol*. 2021 Feb;93(2):1099-1104.
82. García-Suárez J. et al.; Impact of hematologic malignancy and type of cancer therapy on COVID-19 severity and mortality: lessons from a large population-based registry study. *J Hematol Oncol*. 2020 Oct 8;13(1):133.
83. Hus I, Salomon-Perzyński A, Tomaszewicz K, Robak T. The management of hematologic malignancies during the COVID-19 pandemic. *Expert Opin Pharmacother*. 2021 Apr;22(5):565-582.
84. Chen M, Zhao Y, Xu C, Wang X, Zhang X, Mao B. Immunomodulatory drugs and the risk of serious infection in multiple myeloma: systematic review and meta-analysis of randomized and observational studies. *Ann Hematol*. 2018;97:925–44.
85. Hilal T, Gea-Banacloche JC, Leis JF. Chronic lymphocytic leukemia and infection risk in the era of targeted therapies: Linking mechanisms with infections. *Blood Rev*. 2018 Sep;32(5):387-399.
86. Percival MM, Lynch RC, Halpern AB, Shadman M, Cassaday RD, Ujjani C, Shustov A, Tseng YD, Liu C, Pergam S, Libby EN, Scott BL, Smith SD, Green DJ, Gopal AK, Cowan AJ. Considerations for Managing Patients With Hematologic Malignancy During the COVID-19 Pandemic: The Seattle Strategy. *JCO Oncol Pract*. 2020 Sep;16(9):571-578.
87. Zeidan A. et al.: Special considerations in the management of adult patients with acute leukaemias and myeloid neoplasms in the COVID-19 era: recommendations from a panel of international experts. *Lancet Haematol*. 2020 Aug;7(8):e601-e612.
88. Finelli C, Parisi S. The clinical impact of COVID-19 epidemic in the hematologic setting. *Adv Biol Regul*. 2020 Aug;77:100742.
89. „Szpiczak plazmocytozowy. Doświadczenia i oczekiwania w stosunku do metod leczenia”. Raport z badań. 2020
90. Radecka B., Przestrzeganie zasad przyjmowania leków doustnych jako warunek powodzenia terapii doustnej. 2012. *Onkologia w Praktyce Klinicznej* 2012; 8: 2: 52-56
91. *Hematoonkologia*, <https://hematoonkologia.pl/informacje-dla-chorych/news/id/4613-nadzieja-na-kolejne-refundacje-dla-pacjentow-ze-szpiczakami-plazmocytozym>
92. Maluchnik M. et al. Decreasing access to cancer diagnosis and treatment during the COVID-19 pandemic in Poland. *ACTA ONCOLOGICA* 2021, VOL. 60, NO. 1, 28-31
93. Kufel-Grabowska J. et al. Impact of the COVID-19 pandemic on patients with cancer. *POLISH ARCHIVES OF INTERNAL MEDICINE* 2021; 131 (5).
94. Ruiz-Medina S. ET AL. Significant Decrease in Annual Cancer Diagnoses in Spain during the COVID-19 Pandemic: A Real-Data Study. *Cancers* 2021, 13, 3215.
95. Styczyński J, Białwierz W, Dembowska-Bagińska B, et al. Paediatric oncology and haematology in Poland: position paper. *Pediatrics Polska - Polish Journal of Paediatrics*. 2018;93(6):451-461. doi:10.5114/polp.2018.82653

96. Karagiannidis C., et al. Case characteristics, resource use, and outcomes of 10 021 patients with COVID-19 admitted to 920 German hospitals: an observational study. *Lancet Respir Med*. 2020 Sep; 8(9):853-862. *JAMA*. 2020 May 26; 323(20):2052-2059.
97. Richardson S., Presenting Characteristics, Comorbidities, and Outcomes Among 5700 Patients Hospitalized With COVID-19 in the New York City Area.
98. Vijenthira A., et al., Outcomes of patients with hematologic malignancies and COVID-19: a systematic review and meta-analysis of 3377 patients, *Blood*. 2020 Dec 17; 136(25): 2881–2892.
99. Problemy pacjentów w obliczu epidemii choroby COVID-19, Raport Rzecznika Praw Pacjenta, październik 2020
100. <http://onkologia.org.pl/proh/>
101. Opis założeń projektu informatycznego: Budowa nowoczesnej platformy gromadzenia i analizy danych z Krajowego Rejestru Nowotworów oraz onkologicznych rejestrów narządowych, zintegrowanej z bazami świadczeniodawców leczących choroby onkologiczne (e-KRN+).
102. Studium wykonalności projektu: Budowa nowoczesnej platformy gromadzenia i analizy danych z Krajowego Rejestru Nowotworów oraz onkologicznych rejestrów narządowych, zintegrowanej z bazami świadczeniodawców leczących choroby onkologiczne (e-KRN+).
103. Załącznik do uchwały nr 10 Komitetu Rady Ministrów do Spraw Cyfryzacji z dnia 16 kwietnia 2020 r.: Raport z postępu rzeczowo-finansowego projektu informatycznego za II kwartał 2021 roku.
104. http://programedukacionkologicznej.pl/wp-content/uploads/2014/06/2019_PEO_Poradnik13_www.pdf
105. Jakubiak K., et al. Rozwój terapii lekowych w leczeniu chorych na nowotwory. *Nowości. Innowacje. Przelomy*. Development of drug therapies in the treatment of cancer patients. *News. Innovations. Breakthroughs*, 2020
106. Alivia, <https://alivia.org.pl/wiedza-o-raku/jak-dbac-o-siebie-gdy-wspieramy-bliska-osobe-w-chorobie-onkologicznej/>
107. http://www.psychiatrapolska.pl/uploads/images/PP_5_2016/1065Zielazny_PsychiatrPol2016v50i5.pdf
108. http://www.psychiatrapolska.pl/uploads/images/PP_5_2016/1065Zielazny_PsychiatrPol2016v50i5.pdf
109. <https://www.termedia.pl/onkologia/Adrianna-Sobol-Psychoonkolog-jest-wsparciem-dla-pacjenta-i-systemu,36374.html>
110. Barometr Fundacji Watch Health Care nr 01/10/2021.

