

## **Chorzy na najostrzejsze postaci białaczki zostają bez leków**

**Na listopadowej liście leków refundowanych nie pojawił się lek ratujący życie osób chorych na przewlekłą białaczkę szpikową i ostrą białaczkę limfoblastyczną. Aktualnie wygaszany jest Program Darowizn finansowany przez producenta leku, a pacjenci wciąż proszą Ministerstwo Zdrowia o dostęp do innowacyjnych terapii, które w Europie są standardem.**

Od tego, czy pacjent otrzyma innowacyjny lek, bardzo często zależy jego życie. Członkowie Ogólnokrajowego Stowarzyszenia Pomocy Chorym na Przewlekłą Białaczkę Szpikową (PBS) podejmowali wszelkie działania, aby odmienić los osób ciężko chorych na przewlekłą białaczkę szpikową i ostrą białaczkę limfoblastyczną. Problemem zainteresowali media, parlamentarzystów, ekspertów i wiele osób dobrej woli. Na finiszu działań zmierzających do poprawy sytuacji pacjentów, napotkali jednak na niezrozumiały opór ze strony urzędników Ministerstwa Zdrowia.

„Przewlekła białaczka szpikowa” lub „ostra białaczka limfoblastyczna” – taka diagnoza postawiona w naszym kraju jeszcze do niedawna oznaczała wyrok śmierci. Dzięki rozwojowi medycyny pojawiła się przełomowa terapia ratująca życie, a tym samym nadzieja dla pacjentów chorych na nowotwory krwi. Innowacyjny lek mógłby zahamować postęp choroby, pozwolić im powrócić do aktywności życiowej i zawodowej lub doczekać do zabiegu przeszczepienia szpiku. Radość chorych okazała się być ulotna, gdyż miesięczna kuracja lekiem stanowi koszt ok. 28 tysięcy złotych. Do końca życia muszą przyjmować jedną tabletkę dziennie, jednak większości zdiagnozowanych nie stać na taki wydatek, nawet jeśli to cena ich życia.

Stowarzyszenie PBS wielokrotnie apelowało i wysyłało listy do Ministerstwa Zdrowia w sprawie pacjentów, którzy przeszli bezskuteczne kuracje z wykorzystaniem refundowanych preparatów. Dla tej grupy osób jedynym ratunkiem i nadzieją na życie jest Iclusig (ponatynib). To produkt leczniczy posiadający status terapii ratującej życie u chorych, u których wytworzyła się oporność lub istnieją przeciwwskazania do stosowania inhibitorów. 150 – ciu pacjentów może przeżyć, jednak niezbędnym krokiem pozostaje wprowadzenie finansowania leku o udowodnionej skuteczności.

O pomoc zwracano się również do członków Sejmowej Komisji Zdrowia. Interpelację poselską w sprawie chorych na PBSz i OBL wystosowały w 2017 roku do Ministra Zdrowia posłanki Teresa Glenc, Józefa Hrynkiewicz, Jolanta Szczypińska, natomiast we wrześniu br. poseł Małgorzata Zwiercan, która nie otrzymała dotychczas odpowiedzi resortu zdrowia.

Jedyną pomoc, jaką państwo polskie zdecydowało się zaoferować osobom dotkniętym tymi chorobami, to dostęp do leku Iclusig (ponatynib) w ramach procedury Ratunkowego Dostępu do Technologii Lekowych. Miała być ona szybkim ratunkiem dla chorych, którzy potrzebują leków zarejestrowanych w Unii Europejskiej, ale nieobjętych w Polsce refundacją. To pacjenci, u których leki z listy refundacyjnej nie działają, zatem dostęp do nowych terapii to dla nich sprawa życia lub śmierci.

Dopuszczony do obrotu, jednak nieobjęty refundacją Iclusig (ponatynib) jest ostatnią szansą na dalsze życie dla pacjentów, co potwierdzają opinie lekarzy prowadzących terapie chorych na PBSz i OBL. Za pilną potrzebą udostępnienia leku chorym przemawiają wnioski wysyłane przez szpitale do Ministerstwa Zdrowia w ramach tej procedury. Ministerstwo wydało w ciągu roku funkcjonowania ustawy 10 pozytywnych decyzji o sfinansowaniu terapii lekiem w ramach RDTL. Nie jest to wystarczające, aby zaspokoić potrzeby najsłabszych.

Niestety procedura RDTL ma słabości. Pacjenci zostali narażeni na długie, czasami dwumiesięczne oczekiwanie na decyzję ministerstwa, co dla chorych na OBL stanowi zagrożenie życia. Istnieje ryzyko zakłócenia ciągłości leczenia, gdyż zapisy RDTL wymagają potwierdzenia skuteczności po 3 miesiącach, przy czym zgoda na leczenie także obejmuje 3 miesiące. Chorzy na PBSz zostaną zmuszeni przerwać terapię w oczekiwaniu na wynik oraz kolejną decyzję resortu zdrowia, co będzie miało wpływ na skuteczność leczenia oraz jego efektywność. Ze względu na brak wydzielonego budżetu na finansowanie RDTL i bariery ekonomiczne, nie wszystkie szpitale będą mogły zapewnić finansowanie leczenia, nawet jeśli już otrzymają pozytywną decyzję Ministerstwa Zdrowia.

Głos w sprawie zabrał prof. Tomasz Sacha z Katedry i Kliniki Hematologii Collegium Medicum Uniwersytetu Jagiellońskiego w Krakowie podczas XIV Forum Rynku Zdrowia. *„Przykładem, że jest to bardzo potrzebne, jest program lekowy dla pacjentów z przewlekłą białaczką szpikową. Brakuje tam dwóch ważnych leków. Pierwszy, ponatynib, lek trzeciej generacji, stosowany jest u pacjentów opornych na pierwszy i drugi rzut leczenia. Jest skuteczny i pozwala doprowadzić chorych do remisji.*

*Nie jest on jednak dostępny w programie lekowym, ale w programie ratunkowego dostępu do terapii, co obciąża kliniki, a ponadto program formułuje wymóg, aby po trzech miesiącach ocenić leczenie i wystąpić kolejny wniosek do MZ. Czym w tym czasie ma być leczony pacjent?” – zadał pytanie prof. Sacha.*

Czekanie na wsparcie w leczeniu ratującym życie chorym, brak decyzji urzędników, czy przewlekłość procedur można nazwać w Polsce standardem. Strach, bezsilność, rozgoryczenie i złość – to emocje najlepiej, do niedawna, opisujące chorych. Szczęśliwie ci, którzy produkują lek, zdecydowali się pomóc. Chociaż państwo powinno dawać swoim obywatelom szansę na dalsze życie, robił to producent leku Iclusig (ponatynib). Przez ostatnie 2 lata bezzwrotną pomoc najbardziej potrzebującym polskim pacjentom zapewniał producent leku, Angelini Pharma Polska w ramach Programu Darowizn. Dzięki dobrej woli producenta, leczeniem Iclusigiem (ponatynibem) objęto 74 pacjentów cierpiących na przewlekłą białaczkę szpikową i ostrą białaczkę limfoblastyczną. Od września 2016 r. do sierpnia 2018 r. firma przekazała nieodpłatnie 388 opakowań leku Iclusig (ponatynib) o wartości 9 milionów złotych.

*„W ramach uruchomionego przez Angelini Programu Darowizn, pacjenci byli leczeni w 22 ośrodkach klinicznych w Warszawie, Białymstoku, Gdańsku, Toruniu, Szczecinie, Lublinie, Łodzi, Olsztynie, Gdańsku, Zamościu, Krakowie, Katowicach, Poznaniu, Wrocławiu. Pierwotnie pomoc przewidziano na rok, jednak dzięki naszym staraniom, program dla polskich pacjentów został wydłużony do dwóch lat. Po upływie tego okresu następuje jego wygaszanie - zapewniamy kontynuację leczenia Iclusigiem dotychczasowym chorym, jednak dalsze działania nie obejmują włączania nowo diagnozowanych pacjentów” – powiedziała Agnieszka Miąsek, Dyrektor ds. Polityki Cenowej i Refundacji w Angelini Pharma Polska.*

Z administracyjnego punktu widzenia, proces refundacyjny dla leku Iclusig został wznowiony przez producenta i na obecnym etapie dalsze kroki zależą od ministerstwa. Firma Angelini Pharma Polska w kwietniu 2018 r. złożyła wniosek o podjęcie zawieszonych postępowań w sprawie objęcia refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Iclusig (ponatynib) stosowanego w ramach programów lekowych: „Leczenie przewlekłej białaczki szpikowej (ICD-10 C.92.1) ponatynibem” i „Leczenie ponatynibem ostrej białaczki limfoblastycznej z chromosomem Filadelfia (Ph+) (ICD-10 C91.0)”. Wniosek ten został przez Ministerstwo Zdrowia zaakceptowany. Niestety od tego czasu nie wydarzyło się nic, co mogłoby przyspieszyć proces refundacji leku i pomóc chorym. Pomimo wyznaczenia dwóch terminów spotkań z producentem leku, oba z nich zostały odwołane przez resort bez podania nowego terminu. Producent zgłaszał Ministerstwu Zdrowia gotowość do rozmów, aby doprowadzić proces refundacyjny do pozytywnego rozwiązania, jednak to państwo musi wziąć odpowiedzialność za życie i zdrowie swoich obywateli.

Chorzy na PBSz i OBL nie rozumieją, dlaczego w Polsce wciąż nie gwarantuje się niezbędnego leczenia osobom najuboższym. Iclusig (ponatynib) został dopuszczony do obrotu w Unii Europejskiej w 2013 r. Obecnie jest refundowany we wszystkich krajach UE, z wyjątkiem Polski, Węgier i Słowenii. Osoby potrzebujące leku nie są w stanie zaakceptować także innej kwestii - czym różnią się od pacjentów w Rumunii, w Bułgarii, Francji, Hiszpanii, Belgii, Portugalii i wielu innych krajach, które objęły swoich pacjentów bezpłatnym leczeniem. Państwa Unii Europejskiej refundują skuteczną terapię lekiem, Polska natomiast pozostaje w ogonie Europy, mimo faktu, że liczba chorujących na nowotwory krwi stale wzrasta.

*„To, czego pacjenci onkologiczni z reguły nie mają, to czas – zanim nowy lek zostanie w Polsce objęty refundacją, części pacjentom nie będzie dane doczekać możliwości skorzystania z nowoczesnej terapii. Zapewnienie szybkiej dostępności do nowego leku w ramach systemu refundacyjnego dla pacjentów z nowotworami krwi jest więc niezmiernie ważne. A dla systemu zdrowia winno być priorytetem” – powiedział Jacek Gugulski, Prezes Ogólnokrajowego Stowarzyszenia Pomocy Chorym na Przewlekłą Białaczkę Szpikową.*

### **Stowarzyszenie PBS**

Ogólnokrajowe Stowarzyszenie Pomocy Chorym na Przewlekłą Białaczkę Szpikową wspiera osoby chore na PBS, ich rodziny i bliskich. Organizuje szkolenia i akcje informacyjne związane z chorobą i nowoczesnymi metodami leczenia białaczki. Bierze udział w pracach krajowych i międzynarodowych organizacji, których celem jest zwalczanie chorób nowotworowych. Przede wszystkim jednak stara się, by pacjenci mieli pełny, równy i bezpłatny dostęp do najlepszych metod i lekarstw pomagających im wygrać z chorobą.