



RAPORT: II SPOTKANIE RADY EKSPERTÓW DS. CHORÓB AUTOIMMUNOLOGICZNYCH MEDYCZNEJ RACJI STANU

Medyczna Racja Stanu jest think tankiem powstałym

z inicjatywy: Instytutu Studiów Politycznych Polskiej Akademii Nauk, Polskiej Unii Onkologii, Kolegium Lekarzy Rodzinnych w Polsce i Green Communication celem łączenia opiniotwórczych osób, środowisk i instytucji wokół wyzwań związanych z kondycją zdrowotną Polaków i wypracowywania zgody politycznej na niezbędne zmiany w systemie ochrony zdrowia.



Warszawa
30 marca 2023 r.

Raport pt. II Spotkanie Rady Ekspertów ds. Chorób Autoimmunologicznych Medycznej Racji Stanu. Medyczna Racja Stanu, Marzec 2023.

ISBN: 978-83-965731-6-2

Redakcja naukowa: Dr n. med. Jakub Gierczyński, MBA

Autorzy wypowiedzi w kolejności alfabetycznej:

1. Min. Grzegorz Błażewicz, Zastępca Rzecznika Praw Pacjenta
2. Prof. Leszek Czupryniak, Kierownik Kliniki Diabetologii i Chorób Wewnętrznych WUM
3. Dr Jakub Gierczyński, MBA, Ekspert systemu ochrony zdrowia
4. Prof. Brygida Kwiatkowska, Konsultant krajowa w dziedzinie reumatologii, Kierownik Kliniki Wczesnego Zapalenia Stawów Narodowego Instytutu Geriatrii, Reumatologii i Rehabilitacji w Warszawie
5. Prof. Anna Kostera-Pruszczyk, Kierownik Katedry i Kliniki Neurologii UCK WUM
6. Prof. Paweł Kowal, Poseł, Profesor ISP PAN, polityk i politolog, historyk i publicysta
7. Dr Janusz Meder, Prezes Polskiej Unii Onkologii, Narodowy Instytut Onkologii w Warszawie
8. Mec. Piotr Mierzejewski, Dyrektor Zespołu Prawa Administracyjnego i Gospodarczego, współprzewodniczący Komisji Ekspertów do Spraw Zdrowia, współprzewodniczący Komisji Ekspertów ds. Ochrony Zdrowia Psychicznego przy Rzeczniku Praw Obywatelskich
9. Prof. Ewa Mojs, Kierownik Katedry i Zakładu Psychologii Klinicznej UM im. Karola Marcinkowskiego w Poznaniu
10. Prof. Ewelina Nojszewska, Katedra Ekonomii Stosowanej SGH, Centrum Badań nad Funkcjonowaniem Systemu Ochrony Zdrowia w Kolegium Zarządzania i Finansów SGH
11. Prof. Witold Owczarek, Kierownik Kliniki Dermatologii Wojskowy Instytut Medyczny
12. Prof. Konrad Rejdak, Prezes Polskiego Towarzystwa Neurologicznego, Kierownik Katedry i Kliniki Neurologii UM w Lubinie
13. Redaktor Iwona Schymalla, Medexpress, Służba Zdrowia
14. Dr Michał Sutkowski, Specjalista Medycyny Rodzinnej i Chorób Wewnętrznych, Rzecznik Prasowy Kolegium Lekarzy Rodzinnych w Polsce
15. Prof. Irena Walecka, Konsultant województwa mazowieckiego w dziedzinie dermatologii i wenerologii, Kierownik Kliniki Dermatologii PIM MSWiA w Warszawie
16. Prof. Zbigniew Żuber, Kierownik Katedry Pediatrii KAAFm, Przewodniczący Rady Ekspertów ds. Chorób Rzadkich Medycznej Racji Stanu.

Organizacja Debaty i koordynacja ze strony Medycznej Racji Stanu: Anna Jasińska, Grażyna Mierzejewska.

Wykorzystanie treści raportu pod warunkiem podania źródła: *Raport pt. II Spotkanie Rady Ekspertów ds. Chorób Autoimmunologicznych Medycznej Racji Stanu. Medyczna Racja Stanu, Marzec 2023.*

Spis treści

1. Medyczna Racja Stanu – misja i działania	2
2. Wprowadzenie, Anna Jasińska, Grażyna Mierzejewska, Medyczna Racja Stanu.....	10
3. Stanowiska ekspertów przedstawione w trakcie spotkania.....	12
Redaktor Iwona Schymalla, Medexpress, Służba Zdrowia	12
Prof. Brygida Kwiatkowska, Konsultant krajowa w dziedzinie reumatologii, Kierownik Kliniki Wczesnego Zapalenia Stawów Narodowego Instytutu Geriatrii, Reumatologii i Rehabilitacji w Warszawie	13
Prof. Irena Walecka, Konsultant województwa mazowieckiego w dziedzinie dermatologii i wenerologii, Kierownik Kliniki Dermatologii PIM MSWiA w Warszawie.....	15
Prof. Witold Owczarek, Kierownik Kliniki Dermatologii Wojskowy Instytut Medyczny.....	16
Mec. Piotr Mierzejewski, Dyrektor Zespołu Prawa Administracyjnego i Gospodarczego w BRPO, Współprzewodniczący Komisji Ekspertów ds. Zdrowia przy Rzeczniku Praw Obywatelskich, Współprzewodniczący Komisji Ekspertów ds. Ochrony Zdrowia Psychicznego przy Rzeczniku Praw Obywatelskich	18
Minister Grzegorz Błażewicz, Biuro Rzecznika Praw Pacjenta	19
Prof. Paweł Kowal, Poseł, Profesor ISP PAN, polityk i politolog, historyk i publicysta.....	20
Dr Janusz Meder, Prezes Polskiej Unii Onkologii, Narodowy Instytut Onkologii w Warszawie, MRS...	21
Prof. Leszek Czupryniak, Kierownik Kliniki Diabetologii i Chorób Wewnętrznych WUM.....	23
Prof. Zbigniew Żuber, Kierownik Katedry Pediatrii KAAFm, Przewodniczący Rady Ekspertów ds. Chorób Rzadkich Medycznej Racji Stanu.....	24
Prof. Konrad Rejdak, Prezes Polskiego Towarzystwa Neurologicznego, Kierownik Katedry i Kliniki Neurologii UM w Lubinie.....	25
Prof. Anna Kostera-Pruszczyk, Kierownik Katedry i Kliniki Neurologii UCK WUM	26
Prof. Ewa Mojs, Kierownik Katedry i Zakładu Psychologii Klinicznej UM im. Karola Marcinkowskiego w Poznaniu	27
Prof. Ewelina Nojszewska, Katedra Ekonomii Stosowanej SGH, Centrum Badań nad Funkcjonowaniem Systemu Ochrony Zdrowia w Kolegium Zarządzania i Finansów SGH	30
Dr Michał Sutkowski, Specjalista Medycyny Rodzinnej i Chorób Wewnętrznych, Rzecznik Prasowy Kolegium Lekarzy Rodzinnych w Polsce	30
Dr Jakub Gierczyński, Ekspert systemu ochrony zdrowia	32
4. Wnioski i rekomendacje	32
5. Kluczowe informacje przygotowane na debatę przez Medyczną Rację Stanu z zakresu chorób autoimmunologicznych.	34
Atopowe zapalenie skóry	34

Łuszczyca	35
Reumatoidalne Zapalenie Stawów i Młodzieńcze Idiopatyczne Zapalenie Stawów	36
Stwardnienie rozsiane	38
Miastenia gravis	38
Nieswoiste zapalenia jelit: wrzodziejące zapalenie jelita grubego oraz choroba Leśniowskiego-Crohna	40
Śródmiąższowa choroba płuc związana z twardziną układową	40
Toczeń Rumieniowaty Układowy	40
Cukrzyca typu 1	45
6. Tezy dla Zdrowia	45
7. Siedem Zasad Doktora Janusza Medera - jak zadbać o wzajemne dobre relacje z pacjentem.....	49

1. Medyczna Racja Stanu – misja i działania

Medyczna Racja Stanu (MRS) jest *think tankiem* powstałym w 2016 r. z inicjatywy: Instytutu Studiów Politycznych Polskiej Akademii Nauk, Polskiej Unii Onkologii, Kolegium Lekarzy Rodzinnych i Green Communication celem łączenia opiniotwórczych osób, środowisk i instytucji wokół wyzwań związanych z kondycją zdrowotną Polaków i wypracowywania zgody politycznej na niezbędne zmiany w systemie ochrony zdrowia. Honorowym patronem MRS jest Ks. Kardynał Kazimierz Nycz.

Dr hab. n. społ. Paweł Kowal, profesor ISP PAN, polityk i politolog, historyk i publicysta

Jako współtwórca Medycznej Racji Stanu bardzo cieszę się z faktu, że ochrona zdrowia stała się jednym z głównych tematów kampanii politycznej, dlatego że w demokratycznych społeczeństwach to jest najlepszy sposób, żeby załatwić jakąś sprawę. Bo niezależnie od wyniku wyborów - każdy będzie musiał coś z tym zrobić. Ochrona zdrowia musi skoncentrować na sobie uwagę szerszych grup społecznych, a także polityków. A to jest najważniejsze, bo na końcu to politycy decydują. O to nam chodziło, by zainteresować polityków i to wszystkich partii. Zrozumiałem, że jeżeli tym tematem będą zajmowali się tylko eksperci od ochrony zdrowia, lekarze, nawet menadżerowie ochrony zdrowia, to zawsze temat ten będzie pozostawał w zamkniętym kręgu, ważnym, ale jednak zamkniętym kręgu specjalistów, i że trzeba rozmawiać o tym inaczej, prostszym językiem, zrozumiałym dla ludzi, którzy na co dzień nie zajmują się ochroną zdrowia, nie leczą, nie kierują szpitalami, ale którym zależy, bo widzą, że jest to najważniejszy program społeczny. I moim zdaniem, jedynym sposobem, by rozwiązać nabrzmiały problem społeczny, jest otwarcie go na inne środowiska, tak żeby zainteresować nim osoby, którym wcześniej nawet do głowy nie przyszłoby zajmować się tym tematem.



Dr n. med. Janusz Meder, Prezes Polskiej Unii Onkologii, Przewodniczący Komisji Bioetycznej Narodowego Instytutu Onkologii w Warszawie

Będąc współzałożycielem Medycznej Racji Stanu mam marzenie, aby zdrowie zakotwiczyło się na stałe w polskiej polityce, bo jest jedną z najważniejszych spraw dla Polaków. Regulamin Sejmu powinien zawierać zapis o corocznym exposé premiera, które będzie poświęcone kwestii szeroko pojętej polityki społecznej. Mogło by być wygłaszane w Światowym Dniu Chorego - 11 lutego. Miałoby się odnosić także do aktualnych wyzwań zdrowotnych. Ideą Medycznej Racji Stanu było rozpoczęcie debaty publicznej o ochronie zdrowia.

Debata prowadzącej m.in. do tego, aby polski pacjent miał dostęp do takiego leczenia, jak inni pacjenci w Unii Europejskiej. Miejmy nadzieję, że "Tezy dla Zdrowia" wypracowane przez Medyczną Rację Stanu oraz cykliczne debaty przy okrągłym stole będą wsparciem dla racjonalnej reformy systemu ochrony zdrowia w Polsce.

**Dr n. med. Michał Sutkowski, Specjalista Medycyny Rodzinnej i Chorób Wewnętrznych, Rzecznik Prasowy Kolegium Lekarzy Rodzinnych w Polsce**

Współtworząc ideę i tezy Medycznej Racji Stanu pragnę, aby dzięki konstruktywnej debacie pomiędzy wszystkimi interesariuszami systemowymi sformułować długoletnią wizję polityki zdrowotnej dla Polski. Z punktu widzenia poczucia misji i postawy obywatelskiej wydaje się zasadne, żeby odpowiedzialność państwa w zakresie ochrony zdrowia obywateli była większa. W Polsce wciąż dominuje medycyna naprawcza i nie ma dobrych programów profilaktycznych, co ma również wpływ na usytuowanie lekarza rodzinnego w systemie. Ludzie w pierwszej kolejności zwracają się właśnie do lekarzy rodzinnych, bo do nich właśnie pacjenci mają największe zaufanie, czerpią wiedzę i informacje na temat własnego zdrowia - to najłatwiejszy i najlepszy kontakt ze służbą zdrowia.

**Prof. dr hab. med. Leszek Czupryniak, Kierownik Kliniki Diabetologii i Chorób Wewnętrznych Uniwersyteckie Centrum Kliniczne WUM**

Jako inicjator działalności Medycznej Racji Stanu chciałbym, aby wspólnie zdefiniować optymalny kształt systemu ochrony zdrowia w Polsce. Ochrona zdrowia powinna stanowić taki obszar, którego konieczności rozwoju się nie kwestionuje, bo jest

on kluczowy dla każdego obywatela. W tym ujęciu staje się racją stanu, mającą charakter ponadpartyjny, ponad środowiskowy i w jakimś sensie ponadczasowy. Gdybyśmy uznali, że zdrowie ma swoją rację stanu, wówczas zmieniające się ekipy rządowe, bez względu na swoją jakość kompetencyjną czy intelektualną, realizowałyby długofalowy plan rozwoju ochrony zdrowia. Inwestycje w tym obszarze muszą być najwyższej jakości i mieć charakter długofalowy. Na początku tego wieku koncentrowano się na tych dziedzinach medycyny, których reforma przynosi szybko zauważalne zmiany — kardiologia inwazyjna, medycyna ratunkowa. Teraz zaś największym wyzwaniem są choroby przewlekłe, cywilizacyjne, a w ich przypadku horyzont działań i strategii musi znacznie przekraczać cztery lata jednej kadencji parlamentarnej. Nie jest możliwe prowadzenie spójnej i racjonalnej polityki w tym zakresie bez zgody na to, co najważniejsze, czyli właśnie bez podejścia rozumianego jako racja stanu. Mówiąc o medycznej racji stanu, mamy na myśli określenie bardzo konkretnych obszarów, które w przewidywalnej przyszłości, na najbliższe 20-30 lat, będą zawsze rozwijane przez kolejne rządy, bez względu na ich barwy polityczne. W 2019 r. powołane zostały przy



Medycznej Racji Stanu: Rada Ekspertów do spraw Chorób Rzadkich oraz Rada Ekspertów ds. Chorób Metabolicznych i Przeciwdziałania Otyłości. W 2020 r. ukonstytuowała się Rada Ekspertów ds. Onkologii. W 2021 r. powołano Radę Ekspertów ds. Chorób Autoimmunologicznych. W latach 2016-2023 Medyczna Racja Stanu zorganizowała i organizuje debaty, których celem było stworzenie platformy dialogu „przy okrągłym stole”, zaproponowanie rozwiązań oraz zainicjowanie konkretnych działań w przestrzeni polityki zdrowotnej w Polsce.

5 grudnia 2016 r. „Zdrowie i Bezpieczeństwo Narodowe” – tak jak niebezpieczeństwa zewnętrzne wymagają czujności i gotowości do działania, tak choroby cywilizacyjne wymagają skutecznych działań systemowych prowadzących do ograniczenia zgonów i inwalidztwa Polaków.



29 czerwca 2018 r. „Tezy dla Zdrowia” - prezentacja wypracowanych przez Radę Ekspertów propozycji pilnych rozwiązań systemowych.

17 kwietnia 2019 r.

„Zdrowie - Kapitał Narodu” - potrzeba traktowania nakładów na zdrowie, jako inwestycji, a nie tylko wydatków, szczególnie w odniesieniu do chorób przewlekłych.



10 października 2019 r. „Czas w Onkologii” - apel o świadomość ryzyka nowotworu każdego z obywateli, czujność onkologiczną lekarzy pierwszego kontaktu, szybki dostęp do nowoczesnej diagnostyki i optymalnych metod terapii.

10 lutego 2020 r. „Ja Pacjent” - wymóg orientacji całego systemu ochrony zdrowia i opieki społecznej na potrzeby pacjentów. W kontekście wyzwań epidemiologicznych, klinicznych i ekonomicznych podkreślano potrzebę solidarności z chorymi oraz empatię i uwagę należną, najmniejszym nawet grupom cierpiących.





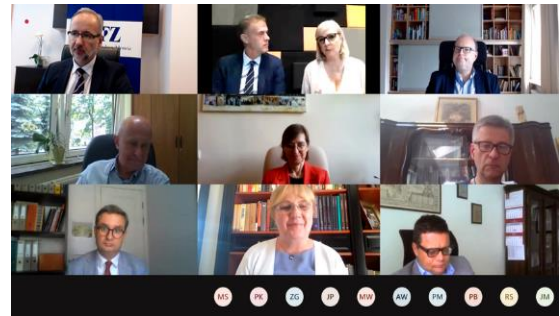
11 grudnia 2019 r. I Spotkanie Rady Ekspertów ds. Chorób Metabolicznych i Przeciwdziałania Otyłości - nadwagę i otyłość ma ponad 20 mln Polaków, na cukrzycę cierpią 3 mln. Najwyższy czas, by wprowadzić system skutecznej profilaktyki i leczenia tych schorzeń w Polsce.

8 kwietnia 2020 r. I Spotkania Online Rady Ekspertów ds. Onkologii Medycznej Racji Stanu – rak nie zna pojęcia kwarantanna. Każdego dnia diagnozuje się w Polsce nowotwór u 450 osób, a umiera z tym rozpoznaniem 270 osób.



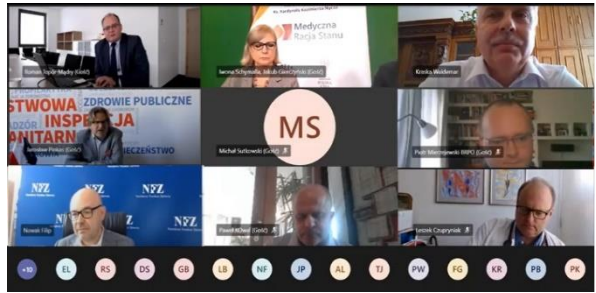
13 maja 2020 r. – III Spotkanie Rady Ekspertów ds. Chorób Rzadkich Medycznej Racji Stanu online – chorzy na choroby rzadkie wymagają szczególnej opieki w dobie pandemii oraz oczekują na Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich.

25 czerwca 2020 r. – II Spotkanie Rady Ekspertów ds. Chorób Metabolicznych i Przeciwdziałania Otyłości Medycznej Racji Stanu online – choroby metaboliczne stają się coraz większym wyzwaniem dla systemów ochrony zdrowia w Polsce i na świecie. Pandemia Covid-19 wpływa na wzrost zapadalności oraz nasila powikłania i złe rokowanie pacjentów.



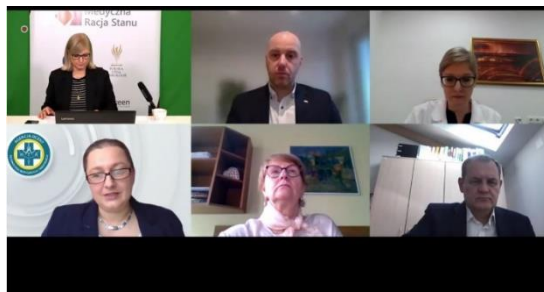
27 lipca 2020 r. – I Spotkanie Rady Ekspertów ds. Chorób Zakaźnych Medycznej Racji Stanu online – choroby zakaźne atakują i od odpowiedzialności obywatelskiej, szczepień profilaktycznych oraz dostępu do skutecznego leczenia zależy zdrowie i życie wszystkich Polaków.

25 września 2020 r. Wartości w medycynie - czego uczy nas światowy kryzys zdrowia - zdrowie jest jedną z największych wartości człowieka i społeczeństwa. Kluczowe jest budowanie świadomości wartości zdrowia oraz inwestycja w system ochrony zdrowia.



7 grudnia 2020 r. Bezpieczeństwo pacjenta onkologicznego: profilaktyka, diagnostyka, terapie, czas odchodzenia - sytuacja epidemiologiczna nie powinna być przesłanką do zahamowania diagnostyki i procesu leczenia nowotworów. Dlatego najwyższym priorytetem jest zachowanie ciągłości wielospecjalistycznego leczenia chorych na raka.

4 lutego 2021 r. Światowy Dzień Walki z Rakiem - Otwarcia dla pacjenta. Otwarcia na pacjenta - debata ekspercko-systemowa odnosząca się do wyzwań onkologii w drugim roku pandemii Covid-19.



IV Spotkanie Rady Ekspertów ds. Chorób Rzadkich

26 lutego 2021 r. IV Spotkanie Online Rady Ekspertów ds. Chorób Rzadkich Medycznej Racji Stanu - skupiło się na sytuacji chorych na choroby rzadkie w czasie pandemii Covid-19 oraz szanse poprawy opieki dzięki wprowadzeniu Narodowego Planu dla Chorób Rzadkich oraz Funduszu Medycznego.

19 marca 2021 r. I Spotkanie Online Rady Ekspertów ds. Chorób Autoimmunologicznych Medycznej Racji Stanu - było poświęcone sytuacji chorych autoimmunologicznych w dobie pandemii Covid-19





„POSTĘP TERAPEUTYCZNY – SZANSE DLA PACJENTÓW. WYZWANIA DLA SYSTEMU. PERSPEKTYWA CZASU PANDEMII”

23 kwietnia 2021 r. Debata Medycznej Racji Stanu Postęp terapeutyczny – szansa dla pacjentów. Wyzwanie dla systemu. Perspektywa czasu pandemii Covid-19 - debata ekspercko-systemowa odnosząca się do nowych możliwości terapeutycznych w medycynie.

17 czerwca 2021 r. I Spotkanie Rady Ekspertów MRS ds. Neurologii i Psychiatrii - debata ekspercko- systemowa odnosząca się do nowych możliwości terapeutycznych oraz poprawy modelu opieki w chorobach mózgu.



Spotkanie Rady Ekspertów ds. Neurologii i Psychiatrii



III Spotkanie Rady Ekspertów ds. Onkologii

10 sierpnia 2021 r. III Spotkanie Rady Ekspertów ds. Onkologii Medycznej Racji Stanu - chorzy na nowotwory złośliwe powinni mieć zagwarantowany dostęp do profilaktyki, diagnostyki, terapii, rehabilitacji oraz opieki paliatywnej

28 września 2021 r. III Spotkanie Rady Ekspertów Medycznej Racji Stanu ds. Chorób sercowo-naczyniowych, Metabolicznych i przeciwdziałania Otyłości - choroby sercowo-naczyniowe, metaboliczne i otyłość stają się coraz większym wyzwaniem dla systemów ochrony zdrowia w Polsce.



Spotkanie Rady ds. Chorób Naczyniowo-Sercowych, Metabolicznych i Przeciwdziałania Otyłości



15 listopada 2021 r. Debata Medycznej Racji Stanu Zdrowie Kobiety - Bezpieczeństwo Rodziny - kobiety stanowią 52% polskiej populacji. Przeciętna długość życia Polki wynosi 82 lata, z czego w zdrowiu 64, a to oznacza 18 lat życia z chorobą. Zaledwie 26% pań po 50 roku życia jest aktywnych zawodowo.

2 grudnia 2021 r. Sprawdzam - Wygrywam. Diagnostyka i leczenie wirusowego zapalenia wątroby typu C w Polsce - wirusowe zapalenie wątroby typu C jest jednym z kluczowych wyzwań polityki zdrowotnej w Polsce. Dzięki szybkiej diagnostyce i skutecznemu leczeniu może być wyeliminowane do 2030 r.



Rada Ekspertów ds. Onkologii Medycznej Racji Stanu

1 lutego 2022 r. IV spotkanie Rady Ekspertów ds. Onkologii Medycznej Racji Stanu - eksperci Medycznej Racji Stanu zastanawiali się, jak poradzić sobie z długiem zdrowotnym i finansowym w onkologii, który powstał w wyniku pandemii Covid-19. Spowodowała ona realizację Narodowej Strategii Onkologicznej (NSO), czyli programu na lata 2020-2030, wprowadzającego kompleksowe zmiany w polskiej onkologii.

15 lutego 2022 r. V Spotkanie Rady Ekspertów ds. Chorób Rzadkich Medycznej Racji Stanu - pandemia Covid-19 prowadzi do utrudnionego dostępu chorych na choroby rzadkie do diagnostyki, terapii i rehabilitacji. Rekomendowane jest wdrażanie Planu dla Chorób Rzadkich w życie i rozpoczęcie realizacji założonych celów.



V Spotkanie Rady Ekspertów ds. Chorób Rzadkich Medycznej Racji Stanu



25 marca 2022 r. Debata Medycznej Racji Stanu pt. Zdrowie Kobiety w Obliczu Wyzwań Geopolitycznych - II etap kampanii informacyjno-systemowej „Zdrowie Kobiety – Bezpieczeństwo Rodziny”

30 maja 2022 r. Debata Medycznej Racji Stanu pt. Bezpieczeństwo zdrowotne Polski - nowe wyzwania dla idei solidarności Europy. Zdrowie jest podstawową wartością w życiu ludzi, a prawo do zdrowia należy do katalogu podstawowych praw człowieka. Realizacja tego prawa w stopniu gwarantującym bezpieczeństwo zdrowotne obywateli musi być wspierana skuteczną polityką państwa.





30 maja 2022 r. Debata Medycznej Racji Stanu pt. Aktualne wyzwania w leczeniu nowotworów kobiecych – III etap kampanii informacyjno-systemowej „Zdowie Kobiety – Bezpieczeństwo Rodziny”

22 sierpnia 2022 r. V Spotkanie Rady Ekspertów ds. Onkologii Medycznej Racji Stanu - Chorzy na nowotwory złośliwe powinni mieć zagwarantowany szybki i nielimitowany dostęp do profilaktyki, diagnostyki, terapii, rehabilitacji oraz opieki paliatywnej



22 września 2022 r. Wspólne cele w realizacji idei Europejskiej Unii Zdrowia - I debata ekspercka Medycznej Racji Stanu.

26 września 2022 r. VI Spotkanie Rady Ekspertów ds. Chorób Rzadkich Medycznej Racji Stanu - Rekomendowane jest wdrażanie Planu dla Chorób Rzadkich w życie oraz kontynuacja refundacji publicznej leków stosowanych w chorobach rzadkich.



14 listopada 2022 r. Bezpieczeństwo zdrowotne kobiet w Polsce w ramach kampanii Bezpieczeństwo Rodziny - Zdrowie kobiety powinno być traktowane priorytetowo w polskim systemie ochrony zdrowia.

16 grudnia 2022 r. Debata Medycznej Racji Stanu pt. Wyzwania zdrowia - poczucie bezpieczeństwa. Perspektywa 2022/2023 - W czasach pandemii COVID-19 i wojny w Ukrainie wyzwania zdrowia powinny być traktowane priorytetowo we wszystkich aspektach funkcjonowania kraju.





2 lutego 2023 r. Specjalna Debata Rady Ekspertów ds. Onkologii Medycznej Racji Stanu pt. Wiedza, Determinacja, Współpraca - Cancer Moonshot - Dzięki współpracy, możemy zmniejszyć śmiertelność z powodu raka, o co najmniej 50% w ciągu następnych 25 lat poprawiając przeżycie oraz jakość życia chorych na raka.

2 marca 2023 r. VII Spotkanie Rady Ekspertów ds. Chorób Rzadkich Medycznej Racji Stanu - Choroby rzadkie w Polsce są traktowane priorytetowo, co pokazuje rozporządzenie ministra Zdrowia, uchwalony i wdrażany Plan dla Chorób Rzadkich 2021-2023 oraz Fundusz Medyczny



Zapraszamy Państwa do lektury raportu, wszystkich opublikowanych raportów na stronie www.medycznaracjastanu.pl oraz współpracy w ramach projektów Medycznej Racji Stanu.



Anna Jasińska



Grażyna Mierzejewska

2. Wprowadzenie, Anna Jasińska, Grażyna Mierzejewska, Medyczna Racja Stanu

Rada Ekspertów ds. Chorób Autoimmunologicznych Medycznej Racji Stanu zbiera się po raz drugi w trzy lata po rozpoczęciu pandemii COVID-19. Choroby autoimmunologiczne to grupa ponad 80 chorób, w których układ immunologiczny (odpornościowy) organizmu niszczy własne komórki i tkanki. Istotne są w ich przypadku predyspozycje genetyczne oraz mutacje powodujące upośledzenie działania układu odpornościowego. Czynnikiem wpływającym na rozwój chorób autoimmunologicznych jest również zakażenie bakteryjne lub wirusowe. Objawy mogą być ledwo zauważalne, ale też mogą prowadzić do zagrożenia życia. Zależy to od tego, jak zaawansowana jest choroba oraz czy dotyczy jednego narządu, czy też jest uogólniona. Konsekwencją wielu z tych chorób jest postępująca niepełnosprawność. Szacuje się, że choroby te dotyczą ok. 3,5 proc. populacji. Choroby te dotyczą kobiet aż 2-3 razy częściej niż mężczyzn, czyli ok. 75% chorych to kobiety. Cechą chorób autoimmunologicznych jest to, że pojawiają się przed 30. rokiem życia. Wg. raportu Parlamentu Europejskiego pt. „Autoimmune Diseases – Modern Diseases” odnotowuje się znaczny wzrost chorób autoimmunologicznych

zdiagnozowanych w ciągu ostatniej dekady, spowodowanych czynnikami genetycznymi lub środowiskowymi. Skala problemu zdrowia publicznego jest znacząca, więc lepsze zrozumienie przyczyn tych chorób ma kluczowe znaczenie dla poprawy ich diagnozowania, profilaktyki i leczenia.¹

Do chorób autoimmunologicznych należy wiele jednostek chorobowych, które mogą obejmować różne narządy i układy w organizmie: przewód pokarmowy, układ nerwowy, tkankę łączną, skórę czy też gruczoły wydzielania wewnętrznego. Do chorób autoimmunologicznych z zakresu gastroenterologii zalicza się nieswoiste zapalenia jelit - chorobę Leśniowskiego-Crohna oraz wrzodziejące zapalenie jelita grubego. Chorobami autoimmunologicznymi, które dotyczą układu nerwowego są miastenia gravis, stwardnienie rozsiane, zespół Guillaina-Barrego oraz ostre rozsiane zapalenie mózgu i rdzenia. Endokrynologia i diabetologia jest reprezentowana przez niedoczynność tarczycy (ch. Hashimoto), nadczynność tarczycy (ch. Gravesa-Basedova), pierwotną niedoczynność kory nadnerczy (ch. Addisona) oraz cukrzycę typu 1 (insulinozależną). Łuszczycyca oraz łysienie plackowate dotyczą skóry. Choroby autoimmunologiczne, które obejmują tkankę łączną, to między innymi toczeń rumieniowaty układowy, twardzina, układowe zapalenie naczyń, reumatoidalne zapalenie stawów, młodzieńcze idiopatyczne zapalenie stawów, zeszywniające zapalenie stawów kręgosłupa oraz tłuszczycowe zapalenie stawów. Do chorób autoimmunologicznych należą również niedokrwistość Addisona-Biermera oraz sarkoidoza.

Leczenie chorób autoimmunologicznych ma na celu odbudowę systemu odpornościowego (leki biologiczne), ograniczenie aktywności układu odpornościowego i złagodzenie objawów choroby (leki immunosupresyjne), leczenie niedoborów (insulina – cukrzyca, kortyzol i aldosteron - niedoczynność kory nadnerczy, lewotyrosyna- niedoczynność tarczycy) lub pobudzanie układu odpornościowego (leki immunomodulujące). W ostatnich latach dokonał się prawdziwy przełom w leczeniu chorób autoimmunologicznych szczególnie w aspekcie dostępu do biologicznych oraz syntetycznych celowanych leków modyfikujących przebieg choroby. Wg. raportu PhRMA, „Medicines in Development for Autoimmune Diseases” w 2016 r. było ok. 300 opracowywanych nowych leków na choroby autoimmunologiczne w różnych fazach badań klinicznych - w tym 76 nowych leków stosowanych w autoimmunologicznych zapaleniach stawów; 58 leków w nieswoistych zapaleniach jelit; 39 leków w toczeniu; 34 leki w cukrzycy typu 1 i 32 leki w stwardnienie rozsianym.²

W chorobach autoimmunologicznych niezmiernie istotna jest indywidualizacja terapii uwzględniająca m.in. wiek, choroby współistniejące, czy też płeć pacjenta, a także jego preferencje, plany zawodowe oraz potrzeby np. związane z planowaniem rodziny. Kluczowy dla chorych na choroby autoimmunologiczne jest czas, który mija od pierwszych objawów do rozpoczęcia leczenia. W przypadku przewlekłych chorób autoimmunologicznych kluczowa jest szybka diagnoza i rozpoczęcie leczenia chorego. W tym aspekcie ścieżka diagnostyczno-terapeutyczna pacjenta w Polsce musi ulec optymalizacji w zakresie przyspieszenia diagnozy, dostępu do skutecznego leczenia i pomiaru efektów tych działań. Bardzo ważna w tym procesie jest świadomość społeczeństwa i wiedza o chorobach

¹ Autoimmune Diseases – Modern Diseases. European Parliament's Committee on Environment, Public Health, and Food Safety. 2017 [https://www.europarl.europa.eu/cmsdata/133620/ENVI%202017-09%20WS%20Autoimmune%20diseases%20%20PE%20614.174%20\(Publication\).pdf](https://www.europarl.europa.eu/cmsdata/133620/ENVI%202017-09%20WS%20Autoimmune%20diseases%20%20PE%20614.174%20(Publication).pdf)

² <https://catalyst.phrma.org/new-phrma-report-new-medicines-in-development-for-autoimmune-diseases-offer-patients-hope-for-brighter-futures>

autoimmunologicznych. Fundamentalnym jest, aby w procesie diagnostyczno-terapeutycznym traktować pacjenta jak partnera. Po rozpoznaniu choroby, która będzie towarzyszyła choremu przez całe życie, lekarz powinien opracować wspólnie z pacjentem plan leczenia. Musi wytłumaczyć pacjentowi, dlaczego na określonych etapach należy włączać konkretne terapie, które gwarantują zachowanie sprawności i remisję choroby. Często pomijanym aspektem przewlekłych chorób zapalnych są szczególne wyzwania i różnice w leczeniu związane z płcią. Przykładowo, niektóre kobiety z określonymi schorzeniami są znacznie później, niż mężczyźni trafnie zdiagnozowane pod kątem ich choroby, co może wpłynąć na wynik ich leczenia. Niektóre przewlekłe choroby zapalne mogą również powodować u kobiet większy ból, stres i zmęczenie niż u mężczyzn z takimi samymi schorzeniami. Ponadto, kobiety cierpiące na przewlekłe choroby zapalne mogą mieć różne obawy zdrowotne, np. dotyczące planowania rodziny, a jednocześnie mogą nie czuć się wystarczająco pewnie, by zadać właściwe pytania swojemu lekarzowi prowadzącemu. Należy pamiętać, że pacjenci chorujący na takie choroby jak łuszczyca, łuszczycowe zapalenie stawów, reumatoidalne zapalenie stawów, czy spondyloartropatie osiowe często borykają się ze stygmatyzacją i wykluczeniem. Choroby autoimmunologiczne to problem nie tylko medyczny, ale również społeczny. Z racji na postępujący przebieg, choroby te nie leczone prowadzą do inwalidztwa i śmierci. Biorąc pod uwagę, że diagnoza dotyczy ludzi młodych prawidłowe leczenie pozwala na zahamowanie choroby i utrzymanie aktywności rodzinnej, zawodowej i społecznej. Z punktu widzenia interesu społecznego skuteczne leczenie osób w wieku produkcyjnym chorujących na przewlekłe choroby autoimmunologiczne to uzasadniona inwestycja po stronie systemu ochrony zdrowia. Dzięki zahamowaniu progresji choroby pacjenci są skutecznie leczeni, utrzymują wysoką jakość życia, wykazują mniej absencji w pracy oraz nie przechodzą na rentę, co przekłada się na mniejsze wydatki państwa. Na przewlekłe choroby autoimmunologiczne chorują młode osoby, które nie chcą wypadać z rynku pracy i swoich ról społecznych. Gospodarce nie opłaca się „tracić” tych obywateli, dlatego ich leczenie powinno być traktowane jako inwestycja. Należy więc na problemy zdrowotne chorych na przewlekłe choroby autoimmunologiczne spojrzeć szerzej, nie tylko przez pryzmat wydatków na ich leczenie, ale również korzyści klinicznych i ekonomicznych wynikających z wcześniejszego rozpoczęcia terapii i zahamowania dalszego postępu choroby.

3. Stanowiska ekspertów przedstawione w trakcie spotkania

W trakcie wirtualnej debaty wypowiedzieli się eksperci kliniczni, urzędnicy, politycy i eksperci systemowi. Poniżej przedstawiono stanowiska ekspertów w kolejności ich wypowiedzi.

Redaktor Iwona Schymalla, Medexpress, Służba Zdrowia

Witam na spotkaniu Rady Ekspertów do spraw Chorób Autoimmunologicznych Medycznej Racji Stanu. Będziemy mówić o sytuacji pacjentów z chorobami autoimmunologicznymi, oczywiście jak zawsze w czasie Medycznej Racji Stanu patrzymy na problem z różnych perspektyw: klinicystów, systemu, pacjentów. Dziś też usłyszymy głos psychologa, ponieważ stan psychiczny pacjentów z chorobami autoimmunologicznymi jest niezwykle istotny. Poruszymy temat perspektywy ekonomicznej oraz optymalizacji leczenia, która wpływa na oszczędności systemowe.



*Prof. Brygida Kwiatkowska, Konsultant krajowa
w dziedzinie reumatologii, Kierownik Kliniki
Wczesnego Zapalenia Stawów Narodowego
Instytutu Geriatrii, Reumatologii i Rehabilitacji
w Warszawie*



Jest kilka prawd oczywistych, które trzeba sobie uświadomić, jeżeli chodzi o choroby autoimmunologiczne. Mówiąc to, mam na myśli szeroki aspekt, niekoniecznie tylko w odniesieniu do części, którą stanowią autonomiczne choroby reumatyczne. Na choroby autoimmunologiczne chorują dużo częściej kobiety, bo 80-90% wszystkich zachorowań dotyczy kobiet, szczególnie młodych. Kobiety rodzą i wychowują dzieci, prowadzą dom, są aktywne zawodowo. Wobec powyższego, powinniśmy dokonać wszelkich starań, żeby kobiety mogły te zadania bez przeszkód wykonywać. W sytuacji, kiedy dzietność się zmniejsza, a kobiety z chorobami autoimmunologicznymi chcą pracować, warto byłoby sięgnąć po możliwości wczesnej diagnostyki leczenia, tak, aby te kobiety utrzymać na rynku pracy. Drugim aspektem, niestety dla nas kobiet niedobrym, jest fakt, że choroby autoimmunologiczne, nie tylko dotyczą częściej kobiet, ale do tego dochodzi osteoporoza i choroby zwyrodnieniowe. Widzimy więc, że obciążenie kobiet, jeżeli chodzi o choroby układu ruchu jest gigantyczne. U kobiet występuje również możliwość występowania naraz wielu chorób autoimmunologicznych. Dla przykładu podam, że w tej chwili hospitalizuję pacjentkę, która ma pięć poważnych schorzeń tego typu. Kobiety gorzej też odpowiadają na leczenie. W związku z powyższym widzimy gigantyczną potrzebę współpracy interdyscyplinarnej pomiędzy lekarzami wielu specjalności. Często pacjent choruje na dwie niezależne choroby, z różnych układów i narządów, leczonych przez różnych specjalistów, więc współpraca między specjalistyczna jest niezwykle ważna tak, by pacjenta traktować holistycznie. Bardzo dobrze układa się współpraca z dermatologami. Zaczęła nam się układać współpraca z pulmonologami, co zaowocowało wspólnymi rekomendacjami leczenia zmian śródmiąższowych płuc w przebiegu chorób reumatycznych. Współpracujemy również z gastroenterologami, ale jeszcze wiele w zakresie współpracy z lekarzami innych specjalizacji jest do zrobienia. Cukrzyca typu 1 i 2, to choroby, które są również skorelowane z tymi chorobami. Wiadomo już w tej chwili, że w cukrzycy typu 1. pięciokrotnie częściej kobiety narażone są na współistnienie innych schorzeń autoimmunologicznych, a trzykrotnie częściej występuje reumatoidalne zapalenie stawów. Cukrzyca typu 2. z kolei rozwija się wśród naszych chorych, jako jedno z najczęstszych schorzeń współistniejących. Współpraca interdyscyplinarna i patrzeć na pacjenta szerzej z optyki ryzyka zaburzeń dotyczących różnych układów jest niezwykle ważna.

Bardzo ważnym krokiem w optymalizacji opieki nad chorymi jest pilotaż kompleksowej opieki specjalistycznej nad pacjentami z wczesnym zapaleniem stawów. Bardzo dziękuję panu Ministrowi Maciejowi Miłkowskiemu, któremu udało się sfinalizować ten projekt, przygotowany i wdrożony we współpracy z klinicystami. Pilotaż pokazuje ten problem, że w chorobach reumatycznych, które mogą być diagnozowane i leczone w warunkach ambulatoryjnych istniały gigantyczne opóźnienia diagnostyczne. Wynikały one, po pierwsze z małej świadomości społecznej tych chorób w młodym wieku, a po drugie, z trudnej dostępności do diagnostyki. W sytuacji długich kolejek do specjalistów, ci chorzy albo późno trafiali do lekarza, bo nie wiedzieli, że mogą chorować na tą chorobę oraz po prostu stali w kolejkach. W związku z powyższym został przygotowany projekt na bazie doświadczeń już finansowanego projektu z funduszy unijnych. Przez okres jednego roku będą zagwarantowane ambulatoryjne konsultacje innych specjalistów. To jest rewolucyjne, bo do tej pory wyglądało to tak,

że pacjent dostawał nawet parę skierowań na konsultacje ze specjalistą, co absolutnie mijało się z celem. W pilotażu będzie koordynator, który będzie monitorował pacjenta, czyli pomagał mu w znalezieniu się w systemie ochrony zdrowia. Udało się zaprojektować pilotaż do realizacji w 15. ośrodkach na terenie całej Polski, obejmując 11 województw. Pilotaż będzie dość szeroki i będziemy mogli dobrze ocenić jego efektywność zdrowotną i ekonomiczną. Na bazie tego pilotażu będzie stworzona baza chorych. Lekarze nie będą obciążeni nanoszeniem danych do oddzielnego rejestru, tylko będzie zestandaryzowana dokumentacja medyczna, a dane automatycznie zasysane do rejestru. To zmniejszy generowanie dodatkowej pracy lekarskiej. Dodatkowo będzie solidnie skoordynowane z innymi danymi dotyczącymi pacjenta.

Toczeń rumieniowaty układowy nie jest najczęstszą chorobą reumatyczną, ale jest jedną z najcięższych. Po pierwsze, jest to choroba, która dotyczy głównie kobiet. Dodatkowo, podobnie jak choroba Sjögrena, może dotyczyć wszystkich narządów. Aktualnie, jako reumatolodzy jesteśmy zmuszeni badać każdy narząd oceniając aktywność choroby. Tu są bardzo skomplikowane procedury, które czasami zajmują nam półtorej godziny dlatego, że mierzy się każde zmiany narządowe i na tej podstawie ocena się aktywność choroby. Te zmiany narządowe przyczyniają się do pogorszenia stanu pacjentów z jednej strony, a z drugiej występują powikłania po kortykosteroidoterapii. Do tej pory leczenie opierało się głównie na glikokortykosteroidoterapii, a zwiększona śmiertelność i krótsze życie pacjentów spowodowane były bardzo dużymi opóźnieniami diagnostycznymi. Takim przykładem była pacjentka u nas hospitalizowana, która miała zmiany śródmiąższowe w płucach i niewydolność oddechową, jako pierwszy objaw. Okazało się, że rozwija się już u niej toczeń rumieniowaty układowy, wcześniej nie zdiagnozowany przez innych specjalistów. Te zmiany świadczą, jak długo choroba się rozwijała zanim postawiono rozpoznanie. To co jest najważniejsze, to fakt, że dzięki postępowi medycyny i wprowadzeniu nowych leków, możemy redukować stosowane glikokortykosteroidy i możemy działać terapeutycznie na wiele narządów. Sytuacja jest nadal niezbyt dobra, bo o ile kilka lat temu jedyny lek, który starał się o refundację - belimumab, który wtedy miał wskazania głównie w toczeniu nerkowym, nie został zrefundowany. Rituksymab jest nier refundowany i stosowany w terapii toczenia *off-label*, czyli leczymy nim pozarejestrowanie w ramach finansowania przez nasz szpital. Trzeci lek, który w tej chwili stara się o refundację to aniflorumab. Bardzo liczymy na jego refundację. Każdy lek, który spowoduje zredukowanie, albo odstawienie glikokortykosteroidoterapii w tej grupie chorych, to jest ratowanie pacjentek młodych, które mogą żyć normalnie i mogą zachodzić w ciążę. To jest bardzo ważny aspekt dla naszych chorych.

Odnosnie długu zdrowotnego w wyniku pandemii COVID-19 wydaje mi się, że w tej chwili jeszcze nie jesteśmy w stanie w pełni ocenić jego skali. Teraz wiadomo już, że koronawirus jest wirusem, który działa immunizująco i na pewno będzie wywoływał szereg chorób autoimmunologicznych. Ja osobiście hospitalizowałam już czterech pacjentów, gdzie choroby typu twardzina, zapalenie naczyń, reumatoidalne zapalenie stawów były ewidentnie wyindukowane przebyłym zakażeniem koronawirusem. Natomiast piśmiennictwo mówi o tym, że musimy się spodziewać coraz większej liczby chorych wynikającej właśnie z przebytych zakażeń. Z tym się trzeba liczyć. W chorobach autoimmunologicznych czynniki infekcyjne, wirusowe pełnią kluczową rolę. W okresie pandemii COVID-19 większość placówek reumatologicznych była przekwalifikowana na oddziały covidowe. W związku z powyższym, do tej pory spotykamy zaniedbanych pacjentów, którzy przez 2-3 lata nie pokazywali się na kontrolę. I teraz dopiero wracają na kontrolę z bardzo już posuniętymi do przodu schorzeniami typu twardzina czy zapalenie naczyń. Dodatkowo mamy wyzwania z leczeniem zaburzeń psychicznych w przebiegu choroby autoimmunologicznej. Wszystkie choroby reumatyczne

zwielokrotniają szansę na rozwój depresji. Pacjenci w żaden sposób nie są temu winni. Dochodzą do tego czynniki obiektywne, takie jak utrata pracy, czy niesprawność. Na to nakłada się jeszcze fibromialgia, która jest średnio 10-krotnie częstsza w chorobach autoimmunologicznych. Fibromialgia to zespół bólowy charakteryzujący się przewlekłym, uogólnionym bólem mięśni i stawów oraz występowaniem tzw. punktów tkliwych, czyli miejsc ciała o nadmiernej wrażliwości na ucisk.

Podsumowując, pacjenci z chorobami autoimmunologicznymi w tej chwili giną w systemie. Choroby autoimmunologiczne są chorobami o wielu twarzach i dotyczą wielu dziedzin medycznych. Obecnie nie ma wypracowanych ścieżek diagnostyczno-terapeutycznych. Staramy się te ścieżki wypracowywać oddolnie, a najpilniejszą kwestią jest współpraca lekarza POZ ze specjalistami. To jest sprawa, którą na pewno trzeba jak najszybciej rozwiązać. Bardzo ważny jest dostęp do innowacyjnych terapii. Umożliwia to szybkie i skuteczne leczenie, które pozwala chorym uczyć się, pracować i normalnie żyć z chorobą. Bardzo ważne jest budowanie świadomości i wiedzy na temat chorób autoimmunologicznych w społeczeństwie. W tym procesie olbrzymią rolę pełnią organizacje pacjentów i media.

Prof. Irena Walecka, Konsultant województwa mazowieckiego w dziedzinie dermatologii i wenerologii, Kierownik Kliniki Dermatologii PIM MSWiA w Warszawie



Choroby autoimmunologiczne łączą lekarzy wielu specjalności i jeżeli pacjent korzysta z tej możliwości, to dopiero wtedy możemy powiedzieć, że jest leczony interdyscyplinarnie i nowocześnie. Łuszczyca to nie tylko choroba skóry, to choroba, w przebiegu której ponad 25 % pacjentów ma łuszczycowe zapalenie stawów i inne choroby współwystępujące takie jak choroby sercowo-naczyniowe, cukrzyca, otyłość, niealkoholowe stłuszczenie wątroby czy depresja. Dlatego też, skutecznie kontrolując skórę nie dopuszczamy do rozwoju chorób współistniejących lub ten proces spowalniamy. Jeżeli chodzi o program lekowy leczenia łuszczycy umiarkowanej do ciężkiej B47, to ewaluował on bardzo dynamicznie przez 10 ostatnich lat, aż doszliśmy do etapu, w którym w zasadzie osiągnęliśmy wszystko to, co jest konieczne by skutecznie i efektywnie leczyć pacjentów z umiarkowaną i ciężką łuszczyką i to czym dysponowali już wcześniej reumatolodzy i gastroenterolodzy. Po pierwsze, mamy do dyspozycji już 11 refundowanych leków, gdyż w nowym programie pojawił się kolejny inhibitor IL-17 Bimekizumab. Duża liczba leków umożliwia swobodne ich dobieranie w zależności od potrzeb każdego pacjenta, chorób współistniejących i wyników badań dodatkowych. Od 1 marca 2023 r. obniżono również wartość kryterium nasilenia zmian skórnych PASI, wymaganą do włączenia niektórych leków, z PASI>18 (łuszczyca ciężka), do PASI>10 (łuszczyca umiarkowana). Długo dopominaliśmy się o poprawę sytuacji dzieci, gdyż w grupie wiekowej 6-18 lat mieliśmy do dyspozycji tylko jeden lek - etanercept. W chwili obecnej możemy leczyć najmłodszych już od 4. roku życia adalimumabem, poza alimumabem i etanerceptem mamy jeszcze od 6 r.ż. iksekizumab, sekukinumab, ustekinumab. Lekarze dermatolodzy mają więc wreszcie pełne portfolio leków do dyspozycji by skutecznie i efektywnie leczyć najmłodszych pacjentów. Bardzo istotną kwestią jest sytuacja kobiet z łuszczyką planujących ciążę, będących w ciąży i karmiących piersią. Poprzednie zapisy w programie lekowym B47, w zasadzie uniemożliwiały włączenie do niego takich pacjentek i był to dla nas ogromny problem, Teraz dzięki nowemu zapisowi mamy usankcjonowane leczenie tej grupy pacjentów i zarówno my jak i pacjentki czujemy się bezpiecznie. Od marca 2023 w Klinice którą mam zaszczyt zarządzać włączyliśmy już do programu lekowego cztery kobiety, dwie w ciąży, i dwie

karmiące piersią. Kolejna bardzo korzystna dla pacjentów zmiana, która pojawiła się w zapisie tego programu to możliwość zdalnych konsultacji oraz możliwość ograniczenia do dwóch osobistych wizyt w roku. Nowy program lekowy jest bardzo przyjazny zarówno dla lekarza, jak i dla pacjenta, jest po prostu świetny. Oczywiście mamy nadzieję, że z czasem nowe leki do leczenia łuszczycy umiarkowanej do ciężkiej zarówno u dzieci jak i dorosłych płynnie wejdą do programu lekowego B47.

***Prof. Witold Owczarek, Kierownik Kliniki Dermatologii
Wojskowy Instytut Medyczny***

Sytuacja pacjentów z ciężką postacią atopowego zapalenia skóry (AZS) poprawia się systematycznie. Od dwóch lat funkcjonuje program lekowy terapii atopowego zapalenia skóry o przebiegu ciężkim. AZS, to kolejna z chorób, która pokazuje konieczność długoterminowego leczenia i kontrolowania objawów choroby u pacjentów chorujących na przewlekłe choroby zapalne. Problem w leczeniu pacjentów z AZS polega na tym, że jest to choroba bardzo chimeryczna, a grupa chorych,



którą leczymy bardzo heterogenna. Warto zwrócić uwagę, że my często mówimy tylko i wyłącznie o objawach skórnych, które należy kontrolować. Natomiast, często zapominamy o chorobach współistniejących, takich jak astma oskrzelowa, alergiczne zapalenie spojówek, alergiczne zapalenia błony śluzowej nosa, czy różnego rodzaju nietolerancje bądź alergię pokarmowe. Są wśród nich choroby wynikające „z marszu choroby zapalnej skóry”, takie jak większa skłonność do chorób sercowo-naczyniowych i zaburzenia psychiczne. Warto zwrócić uwagę na nasilony świąd, który towarzyszy pacjentom chorującym na atopowe zapalenia skóry o przebiegu umiarkowanym i ciężkim. Nasilony świąd powoduje wiele problemów psychicznych, związanych z różnymi rozmiarów zaburzeniami lękowymi, nerwicami, depresjami oraz próbami samobójczymi w tej grupie chorych. To, co jest istotne, sama choroba pojawia się często w młodym wieku, a bezsenne noce spowodowane przez świąd i nasilone zmiany skórne odbijają się nie tylko na samym chorym, ale także na rodzicach, opiekunach i osobach mieszkających z tymi chorymi. Nie wspomnę już o kosztach pośrednich, czy bezpośrednich samej choroby. Program lekowy B. 124 ewoluje, ponieważ AZS to choroba, na którą rozwiązania terapeutyczne znaleziono nie tak dawno. Pojawiły się leki innowacyjne, takie jak leki biologiczne oraz małe cząsteczki. Ten postęp w porównaniu do zmian, które obserwujemy w leczeniu łuszczycy jest opóźniony o dekadę. Obecnie budujemy świadomość konieczności leczenia AZS i kontrolowania objawów, po to, żeby ci pacjenci mogli normalnie funkcjonować. Program uległ pewnym modyfikacjom. Wprowadzone zostały nowe leki i tak naprawdę mamy trzy substancje dostępne refundacyjnie. Mamy lek biologiczny, który blokuje podjednostkę alfa dla receptora interleukiny czwartej, czyli dupilumab. Lek jest dostępny od 6 roku życia dla pacjentów chorujących na atopowe zapalenie skóry w przebiegu ciężkim. Mamy małą cząsteczkę - upadacytynib dla pacjentów chorujących od 12 roku życia i barycytynib dla pacjentów dorosłych powyżej 18 roku życia. W procesie negocjacyjnym są jeszcze dwie cząsteczki mam nadzieję, że będą możliwe do zastosowania u naszych chorych: tralokinumab i abrocycytynib. Należy zwrócić uwagę na to, że program wymaga pewnych zmian ewolucyjnych, dlatego że dostępność w zakresie kryteriów kwalifikacji jest jednak trudna. Na przykład, u młodzieży powyżej 12 roku życia nadal wymaga się dwóch terapii immunosupresyjnych w przypadku efektu terapeutycznego. Stąd też są pewne trudności w kwalifikacji tej grupy pacjentów. Warto zwrócić uwagę, że w aspekcie kontroli choroby za pomocą nowych innowacyjnych terapii dajemy pacjentowi możliwość skutecznego leczenia i powrotu do funkcji społecznych. Są to również leki, które w przypadku chorób, których nie umiemy jeszcze wyleczyć, ale potrafimy je skutecznie kontrolować

w terapii długoterminowej powinny wykazywać się dużym bezpieczeństwem dla samych chorych. Terapie innowacyjne w przeciwieństwie do terapii klasycznych, stosowanych w takiej chorobie, jak atopowe zapalenia skóry mają dużo mniej działań niepożądanych i nadają się, jako leki kontrolujące długoterminowo tę chorobę. Wydaje się, że jest kluczowy rozwój w tej grupie pacjentów konkretnych leków, ale także sam rozwój programu lekowego, który mam nadzieję, będzie bardziej przyjazny dla naszych pacjentów. Oprócz nowych substancji, które pojawiły się na świecie i czekamy na nie, żeby też weszły do tego programu, mamy również nowe rejestracje, ponieważ niektóre leki, jak dupilumab mają również rejestrację u pacjentów od 6 miesiąca życia. Nie chodzi o to, żeby te leki otrzymywali pacjenci wszyscy w takim wieku, natomiast w przypadku pacjentów chorujących ciężko, u których nie można kontrolować tych zmian za pomocą klasycznych terapii, warto zastanowić się nad tym leczeniem. Taka terapię warto wdrożyć, dlatego że skutki pozytywne prawidłowego leczenia są naprawdę długoterminowe i dotyczą nie tylko samego chorego, ale także rodzin, oraz mają wymierne, pozytywne skutki ekonomiczne. W przypadku barycyny, badania kliniczne dotyczące samego leczenia i charakterystyka produktu leczniczego mówią o możliwości zastosowania u dorosłych pacjentów leku również w postaci umiarkowanej AZS, czyli wymagającej leczenia ogólnego. To istotne, dlatego że my często patrzymy na tych pacjentów przez pryzmat chimeryczności choroby. Sam przebieg tej choroby jest wyjątkowo trudny, więc wydaje się, że kontrola przez małe cząsteczki, bo jest to lek doustny, który może być przyjmowany przez pacjenta takiego, który nawet nie toleruje tych form iniekcyjnych wydaje się dość dobra, więc w aspekcie samego leczenia to nie dotyczy tylko barycyny, ale również upadacytyny, które mamy możliwość stosowania w programie. Postać umiarkowana jest tą, do której będziemy dążyć w aspekcie czasu, aby można było objąć prawidłowym leczeniem również tą grupę pacjentów. Korzyści z wczesnego leczenia AZS o mniejszym stopniu zaawansowania przekładają się tak naprawdę na adekwatną, efektywną i długotrwałą odpowiedź w czasie u tych chorych.

Wróć jeszcze do programu lekowego B.47 terapii łuszczycy plackowatej. Jest to program, który też ulegał ewolucji w czasie, ale trwała ona niestety, aż 10 lat do takiej formuły programu, który dzisiaj w pełni spełnia oczekiwania klinicystów. Dostępność w zakresie kwalifikacji do leczenia powinna być jednak większa. My nie zwracamy uwagi tylko i wyłącznie na aspekty związane z samą dostępnością pacjentów do leków w ramach programu, bo ona jest naprawdę bardzo duża. Zwracamy jednak uwagę na fakt, że program lekowy B.47 leczenia łuszczycy plackowatej o przebiegu umiarkowanym i ciężkim realizuje ponad 40 ośrodków, z czego tylko 10 ośrodków prowadzi leczenie aż 70% pacjentów w Polsce, a 24 ośrodki prowadzi leczenie aż 98% pacjentów w Polsce. Pomimo, że nie ma kolejek do tego programu, dystrybucja i wykorzystanie środków jest bardzo niewielkie. Powinniśmy się zastanowić, co zrobić, w sytuacji, że ponad połowa ośrodków klinicznych posiadających kontrakt na program lekowy B.47 nie wykorzystuje możliwości leczenia chorych. Wydaje się, że powinniśmy zająć się tworzeniem klinicznych centrów doskonałości, które ułatwią leczenie, wspomogą ośrodki dobrze leczące chorych oraz zaktywizują te ośrodki, które nie wykorzystują swojej szansy.

Mec. Piotr Mierzejewski, Dyrektor Zespołu Prawa Administracyjnego i Gospodarczego w BRPO, Współprzewodniczący Komisji Ekspertów ds. Zdrowia przy Rzeczniku Praw Obywatelskich, Współprzewodniczący Komisji Ekspertów ds. Ochrony Zdrowia Psychicznego przy Rzeczniku Praw Obywatelskich



Rzecznik Praw Obywatelskich jest instytucją, która stara się spoglądać na obywatela w sposób kompleksowy. Obywatel, który jest chory, którym się Państwo nie opiekuje we właściwy sposób, nie jest zadowolony z życia, czuje się samotny, popada w depresję. To powoduje, że Rzecznik poprzez pryzmat ochrony zdrowia dostrzega również inne obszary, chociażby społeczne, ekonomiczne czy edukacyjne, które wymagają kompleksowego podejścia i rozwiązania problemu. Potrzeby pacjentów cierpiących na choroby autoimmunologiczne Rzecznik określa przede wszystkim na podstawie sygnałów od samych pacjentów oraz ich organizacji. Dane są uzyskiwane podczas spotkań, konferencji oraz analiz dokonywanych w Biurze Rzecznika na podstawie skarg, które wpływają. Jak doskonale wiemy, choroby autoimmunologiczne charakteryzują się dużą różnorodnością w zależności od płci, charakteru tego, czy dotyczą jednego narządu, czy są wielonarządowe, poprzez co, w różny sposób wpływają na ograniczenie w funkcjonowaniu pacjentów. Niektóre z nich są widoczne, na przykład łuszczyca, natomiast inne poprzez określone zachowania powodują, że chory jest traktowany w sposób niesprawiedliwy. Na przykład, w chorobie Leśniowskiego-Crohna, kiedy osoba często musi korzystać z toalety, w miejscu pracy traktowana jest, jako ktoś, kto nie zawsze się do tej pracy przykłada. To często prowadzi do stygmatyzacji i wykluczenia społecznego, a nawet rodzinnego. Objawy mają istotny wpływ na komfort życia pacjentów oraz ich zdrowie psychiczne. Strefa somatyczna jest ściśle powiązana ze sferą psychiczną i one na siebie w ścisły sposób oddziałują. Mimo tej różnorodności, którą tylko w bardzo dużym skrócie pozwoliłem sobie wskazać, można posilić się na próbę wskazania kilku płaszczyzn chorób autoimmunologicznych o charakterze generalnym, zarówno medycznym, społecznym, rodzinnym i zawodowym. Nie pretendując do wypowiedzi w zakresie płaszczyzny medycznej pragnę się skupić głównie na części społecznej i zawodowej. Wspólne cechy chorób autoimmunologicznych dotyczą przede wszystkim osób młodych, zazwyczaj u progu dorosłego życia. Osoby te powinny wchodzić do społeczeństwa i wypełniać swoje role ojca, matki, pracownika, studenta, kształcić się w określonym kierunku tak, aby potem w ramach społeczeństwa z jednej strony się samorealizować, a z drugiej strony wносить jakąś aktywną wartość. To powoduje, że jest konieczność postawienia szybkiej, dokładnej diagnozy, aby podjąć leczenie, mające na celu hamowanie tej choroby i umożliwienie aktywnego udziału w życiu społecznym, zawodowym i rodzinnym. W związku z tym, polityka zdrowotna Państwa, co już było wielokrotnie podnoszone w szeregu debatach w ramach Medycznej Racji Stanu, powinna być ukierunkowana nie tylko na samo leczenie, ale powinna stanowić inwestycję w obywatela, zmierzać do zwiększenia komfortu jego życia, by umożliwić maksymalnie pełną samorealizację w tych obszarach, o których wspominałem. Taka polityka bez wątpienia przyczyniłaby się do zmniejszenia nieobecności w pracy, opóźniłaby konieczność rezygnacji z życia zawodowego i przejścia na rentę, wydłużyłaby życie pacjenta w komforcie, a z punktu widzenia samego Państwa, zmniejszyłaby koszty pośrednie, następcze dotyczące wypłaty zasiłków chorobowych, wypłaty świadczeń rentowych czy z opieki społecznej. Wiemy, że pacjenci w pewnych sytuacjach, gdy nie mają osób bliskich wymagają społecznego wsparcia. Kolejna istotna kwestia to edukacja, uświadamianie społeczeństwu istoty chorób autoimmunologicznych oraz walka z mitami, czy wręcz

przesądami. Przykładem jest traktowanie osób chorych na łuszczycę, jako współczesnych trędowatych, co wynika z błędnego przeświadczenia, że jest to choroba zakaźna. Innym przykładem, na którym pragnę się bardziej skupić, jest choroba Leśniowskiego-Crohna. Jakiś czas temu jeden z pracowników kierowanego przeze mnie Zespołu wziął udział w eksperymencie zorganizowanym przez Polskie Towarzystwo Wspierania Osób z Nieswoistymi Zapaleniami Jelit (NZJ). Ten eksperyment nazywał się: „Postaw się na ich miejscu”. Eksperyment polegał na tym, że osoba, która brała w nim udział miała się wcielić w rolę pacjenta cierpiącego na tę chorobę. Celem było zrozumienie, z czym chory musi się zmagać każdego dnia, jaki wpływ ma ta choroba na jego sfery życia - osobiste, naukowe, towarzyskie i zawodowe. Osoby te muszą zmieniać swoje nawyki żywieniowe oraz styl życia. Choroba w znacznym stopniu wpływa na życie pacjenta i na jego stan psychiczny. Eksperyment był tak skonstruowany, żeby kilka podstawowych obszarów, w których pacjent ma problemy, było poddanych symulacji. Na przykład poruszono kwestię podróżowania. Wiem, że podróżowanie osób chorych jest bardzo trudne, męczące i może stanowić źródło stresu. Taka osoba na drodze do pracy, czy na drodze do jakiegoś sklepu musi mieć mapę toalet, z których mogłaby skorzystać. To już jest samo w sobie stresem, a do tego dochodzi sytuacja porannego i popołudniowego szczytu komunikacyjnego, czyli różnego rodzaju sytuacji, które są nie do przewidzenia. Ta konieczność częstego korzystania z toalety spotyka się bardzo często ze złym odbiorem w miejscu pracy, bo taka osoba chora nie zawsze będzie gotowa i skłonna, żeby poinformować pracodawcę i współpracowników, że jest na coś chora, bo może się tego wstydzić i obawiać się reakcji środowiska. To powoduje, że z powodu swojej odmienności, takie osoby w miejscu pracy są zwalniane, albo same odchodzą, ponieważ nie ma tam dla nich zrozumienia, a próba ujawnienia się może wiązać się ze stygmatyzacją. Jest również kwestia dotycząca zmiany nawyków żywieniowych. W ramach tego eksperymentu należało w określony sposób spożywać dane rzeczy lub nie można było pewnych rzeczy jeść. Należało przyjmować lekarstwa. Testowano, co zrobić w sytuacji, gdy zapomniano się ich z domu i w związku z tym należało niezwłocznie udać się do apteki i kupić to lekarstwo. Eksperyment trwał dość długo. Puentując, chciałbym powiedzieć, że niezrozumienie chorób autoimmunologicznych ze strony społeczeństwa jest ogromne, a wynika często z niewiedzy. Skoro spotykamy się ze społecznymi akcjami, które mają pokazać młodym osobom, jak wygląda utrudnione życie seniora czy jakie problemy ma osoba niewidoma w codziennym poruszaniu się, to powinniśmy też próbować robić takie akcje uświadamiające w przypadku chorób autoimmunologicznych. W ten sposób damy szansę na zrozumienie społeczne, na wytworzenie empatii, wsparcia, a być może przy okazji, przynajmniej częściowo, ograniczymy wykluczenie społeczne i stygmatyzację osób żyjących z chorobami autoimmunologicznymi.

Minister Grzegorz Błazewicz, Biuro Rzecznika Praw Pacjenta

Sytuacja społeczna pacjentów z chorobami autoimmunologicznymi często bywa trudna. Mówię to z doświadczenia wynikającego z analizy sygnałów wpływających do Rzecznika Praw Pacjenta. Specyfika tych chorób powoduje, że są one w mniejszym, bądź większym stopniu dostrzegalne dla innych. Dotyczy to szczególnie chorób dermatologicznych, takich jak na przykład łuszczycy. Choroby te potęgują często problemy związane ze stygmatyzacją chorych. Pacjenci mogą doświadczać izolacji społecznej i depresji, zwłaszcza jeśli świadomość społeczna na temat danego schorzenia jest niska, bądź bardzo niska. Jest to bardzo niebezpieczne, zwłaszcza w przypadku dzieci. Często choroby te powodują problemy w pracy, co może prowadzić do strat finansowych i trudności w utrzymaniu się. Choroba wpływa na psychikę, obniża poczucie własnej



wartości, może powodować stany lękowe, depresję, a nawet myśli samobójcze. Niektórzy pacjenci wymagają opieki psychologa lub psychiatry. Choroba w znaczący sposób wpływa na jakość życia chorych. Pacjenci mają problemy w nawiązywaniu relacji zarówno przyjacielskich, rodzinnych, czy wykonywaniu pracy zawodowej. Opieka nad pacjentami z chorobami autoimmunologicznymi powinna być holistyczna i uwzględniać zarówno aspekty kliniczne, jak i społeczne. Nie można tych kwestii rozdzielać. Wymaga to koordynacji między specjalistami z różnych dziedzin, a także wsparcia nie tylko pacjenta, ale także jego rodziny. Musimy pamiętać, że na choroby autoimmunologiczne nie choruje sam pacjent, lecz cała rodzina. Aby poprawić sytuację pacjentów z chorobami autoimmunologicznymi konieczne jest zapewnienie szerokiego dostępu do leczenia, rehabilitacji oraz wsparcia psychologicznego. Istotne jest także prowadzenie działań o charakterze edukacyjnym, aby podnosić świadomość społeczną w tym zakresie. To jest niezwykle ważne. Niewątpliwie pacjenci oczekują wprowadzenia opieki koordynowanej. Ważnym i dobrym krokiem jest wprowadzenie programu pilotażowego kompleksowej opieki nad pacjentem z wczesnym zapaleniem stawów. Mam nadzieję, że będzie on stanowił przykład i podstawę do wprowadzenia w przyszłości opieki koordynowanej w innych chorobach autoimmunologicznych. Bardzo ważną rolę w przypadku osób i rodzin osób cierpiących na schorzenie autoimmunologiczne odgrywają organizacje pacjenckie, które są najbliższe problemów pacjentów. Niezwykle istotna jest rola samopomocy, którą te organizacje opanowały do perfekcji. Za to im bardzo dziękujemy. Organizacje pacjentów wskazują przede wszystkim na problem braku ciągłości leczenia w programach lekowych, w tym często konieczności przerywania terapii po upływie kryterium czasowego. W zakresie chorób autoimmunologicznych do Rzecznika Praw Pacjenta wpływa niewiele zgłoszeń indywidualnych. W ostatnim czasie dominowały zgłoszenia dotyczące możliwości zaszczepienia się przeciw COVID-19 osób cierpiących na choroby autoimmunologiczne. W zakresie chorób immunologicznych niezbędne są działania systemowe *de lege lata*, *de lege ferenda*, czyli wypowiedzi przedstawicieli szczegółowych nauk o prawie, w której nakreśla się zmiany, jakie powinno się przeprowadzić w dotychczasowym stanie prawnym, które w znaczący sposób wpłyną na zabezpieczenie potrzeb zdrowotnych pacjentów i podniesienie jakości ich życia. Mimo, że tych sygnałów indywidualnych nie jest dużo, to Rzecznik Praw Pacjenta oraz Biuro Rzecznika Praw Pacjenta, jako instytucja bardzo poważnie traktujemy ten problem. Czy to w ramach Rady Organizacji Pacjentów, czy w ramach Rady Ekspertów, prowadzimy analizy i zgłaszamy postulaty pacjentów z chorobami autoimmunologicznymi do właściwych organów i instytucji.

Prof. Paweł Kowal, Poseł, Profesor ISP PAN, polityk i politolog, historyk i publicysta

Po pierwsze, to co się rzuca w oczy i o czym mówimy zawsze, czyli zwiększenie świadomości społecznej w zakresie chorób autoimmunologicznych. Tutaj mamy dwa aspekty: edukację i informację. Muszę powiedzieć, że w dorosłości dopiero zaczyna się zwracać uwagę na to, że są takie choroby, które powodują, że ktoś zupełnie inaczej funkcjonuje i dlatego mówię edukacja i informacja, bo być może też w niektórych grupach zawodowych można by zaproponować na przykład cykl szkoleń, co moim zdaniem jest konieczne w kilku środowiskach, w których ja się obracam. Konieczne jest uwrażliwienie przynajmniej od strony statystycznej, na najczęstsze tego typu problemy, które też mogą otworzyć oczy. Są dwie drogi - realizacja przez lekcję godziny dla zdrowia, ale też innego rodzaju szkolenia. To także temat dla przedstawicieli kościoła, bo to jest także kwestia religii i miejsce na pokazywanie tolerancji i empatii. Zwiększenie świadomości, jako pierwszy punkt, z rozbiciem na edukację i akcje informacyjne



szczególnie w środowiskach opiniotwórczych. Takim miejscem jest Sejm i Senat, ale też środowiska pracowników naukowych, czy dziennikarskie. Drugi punkt, to finansowanie badań, z wykorzystaniem takich narzędzi, jak Fundusz Medyczny, czy funduszy europejskich. To jest jeden z tematów, który możemy podpiąć pod nasze myślenie o europejskiej polityce zdrowotnej, w sensie prowadzenia pewnych rzeczy w sposób zintegrowany. Trzeci punkt, to dostęp do opieki zdrowotnej. Dostępność wyklarowała się nam podczas poszczególnych posiedzeń Medycznej Racji Stanu, jako jeden z głównych problemów. Jest ona jednym z głównych elementów polityki Komisji Europejskiej, a w kontekście chorób autoimmunologicznych ma szczególne znaczenie. Czwarty punkt w przypadku chorób autoimmunologicznych, to zmniejszenie ryzyka ich rozwoju poprzez zdrowy tryb życia i pokazywanie, że niektóre zachowania, które uważa się za przyjemne i miłe mogą wpływać na aktywizację chorób autoimmunologicznych. To powinno być także dołączone do punktu pierwszego, czyli zwiększenie świadomości. Podsumowując, zwiększenie świadomości z rozbiciem na edukację i informacje, także w grupach osób opiniotwórczych, finansowanie badań, dostępność i zdrowy tryb życia. Jeżeli chodzi o politykę zdrowotną, kluczowe znaczenie ma interdyscyplinarność. Jest to wciągnięcie w dyskusję osób, które co do zasady nie zajmują się polityką zdrowotną, ale są nią zainteresowane ze względów publicznych, na przykład liderów opinii albo polityków. Mówię o tym też na podstawie swojego pobytu w Komisji Zdrowia Sejmu RP. Druga kwestia to fakt, że od strony wyborców zainteresowanie zdrowiem jest ambiwalentne. Ono jest ogromne, ludzie uważają to za najważniejszy temat, ale ze względu na niską skuteczność polityków w dokonywaniu zmiany w tej dziedzinie, uważają to za nieistotne wyborczo w takim rozumieniu, że ludzie nie wierzą, że coś w systemie ochrony zdrowia można zmienić na lepsze. Tak, jak na przykład wierzą, że można zmienić pewne istotne rzeczy w polityce społecznej. Uważają, że tam procesy i reformy są systemowo prostsze. W sprawach zdrowia jest problem dostępności w każdej dziedzinie, szczególnie jeżeli chodzi o diagnostykę i leczenie nowotworów. Ludzie mają poczucie, że jest mała dostępność i opieka zależy od statusu społecznego. Jeżeli, cytując: „masz kogoś w Warszawie”, „znasz jakiegoś lekarza”, to „będzie ci łatwiej”, czyli mają poczucie, że to jest bardzo statusowe, niż gwarantowane systemowo. Po trzecie, obywatele słabo wierzą, że ktokolwiek może to zmienić, nawet nie kwestionując dobrych intencji polityków. Obywatele myślą, że to jest po prostu trudne. I wracamy do tego, że powinniśmy anonsować jakieś punktowe uderzenie tam, gdzie można oraz szybko pokazać efekt zmiany. Moim zdaniem społeczeństwo by się uruchomiło wokół tematu zdrowia, musi zobaczyć efekty konkretnych zmian na lepsze. Wydaje mi się, że taką dziedziną mogą być choroby rzadkie.

Dr Janusz Meder, Prezes Polskiej Unii Onkologii, Narodowy Instytut Onkologii w Warszawie, MRS

Truizmem jest dziś stwierdzenie, że niezależnie od naszej specjalizacji zawsze należy traktować wszystkich chorych w sposób holistyczny: począwszy od edukacji, przez prewencję, profilaktykę, kolejne etapy leczenia, rehabilitację, wsparcie psychologiczne i odpowiednie terapie wspomagające przywracające sprawność, która umożliwia jak najlepsze funkcjonowanie w społeczeństwie. Z punktu widzenia onkologa, chcę tylko przypomnieć, że z problemem chorób autoimmunologicznych spotykamy się na co dzień także w onkologii. Sama choroba nowotworowa powoduje duże zmiany w układzie immunologicznym człowieka. Metody leczenia skojarzonego, w oparciu o zabiegi chirurgiczne, radioterapię, chemioterapię, nowoczesną immunoterapię powodują dalszą destrukcję w układzie immunologicznym. Uczymy się wspólnie, pracując w zespołach interdyscyplinarnych i mając



możliwość konsultacji z kardiologami, neurologami, reumatologami, czy dermatologami. Musimy mieć rozległą wiedzę, w jaki optymalny sposób zastosować nasze metody leczenia. Na przykład, nie można kojarzyć inhibitorów immunologicznych punktów kontrolnych tj. leków anty-PD-1, PD-L1, kiedy mamy do czynienia z pacjentem z jednocześnie współistniejącą chorobą Leśniowskiego-Crohna. Dlatego nieoceniona jest współpraca i wiedza, którą nieustannie uzupełniamy, zgodnie z postępowaniem medycyny. Ważne żeby zdawać sobie sprawę z tego, że jest wiele zespołów immunologicznych, jak zespół Sjögrena, toczень rumieniowaty, reumatologiczne zapalenie stawów, czy choroba Gravesa-Basedowa. Jest wiele przykładów chorób, które są związane z defektem autoimmunologicznym, gdzie na podłożu różnych zmian w układzie immunologicznym, występują m.in. mnogie nowotwory neuroendokrynne. Są to raki, gruczolaki, rakowiaki, dotyczące takich narządów jak: oskrzela, gruczołki, tarczyca, jelita, nadnercza, przysadka. To pokazuje, jak wiele musimy wiedzieć lecząc chorego w sposób holistyczny. Musimy zaplanować w jakiej sekwencji czasowej i jakie metody leczenia będą najbardziej skuteczne. Dzisiaj będzie miało miejsce bardzo ważne historyczne wydarzenie dla polskiej onkologii, a mianowicie Prezydent RP, odwiedzając regionalne Centrum Onkologii w Siedlcach, podpisze Ustawę o Krajowej Sieci Onkologicznej. Bardzo się z tego cieszymy, szczególnie ja, będąc wychowankiem prof. Tadeusza Koszarowskiego, który nauczył nas holistycznego spojrzenia na onkologię. Wpajał nam podejście indywidualne w stosunku do każdego chorego, dbając o to, żeby każdy pacjent był w kręgu naszej uwagi, nie tylko wtedy, kiedy go leczymy, ale również w momencie, gdy zgłasza się na kolejne badania kontrolne i kiedy dochodzi do nawrotów choroby. Będąc lekarzami prowadzącymi stawaliśmy się jednocześnie w sposób naturalny koordynatorami kolejnych etapów diagnostyczno-leczniczo-rehabilitacyjnych, opiekując się powierzonymi nam chorymi praktycznie w okresie ich całego życia. Prof. Koszarowski już we wczesnych latach 70-tych ubiegłego wieku wdrożył interdyscyplinarną opiekę, w której dużą wagę przykładął także do rehabilitacji, dietetyki oraz do opieki psychoonkologicznej. To jest dla mnie bardzo ważne, że dożyłem tego momentu, w którym standard leczenia interdyscyplinarnego, kompleksowego, koordynowanego będzie wreszcie dostępny dla wszystkich pacjentów w Polsce niezależnie od miejsca ich zamieszkania! Dużo teraz zależy od decydentów, dyrektorów i całego personelu szpitali i przychodni, jak będą realizowali to, co zapisane jest w tej ustawie. Myślę, że tym torem pójdą inne dyscypliny medyczne, jak chociażby kardiologia, czy choroby rzadkie i wszyscy pacjenci będą w podobny sposób traktowani. To jest podejście, które daje gwarancję równego dostępu do wysoko jakościowej diagnostyki i leczenia. Na koniec odniosę się do tego, co zostało wyakcentowane przez Rzeczników Praw Obywatelskich oraz Praw Pacjenta. Bardzo ważna jest umiejętność empatii i to, co robimy, kiedy edukujemy całe społeczeństwo. Uczulenie na to, co może czuć człowiek, który choruje na schorzenia autoimmunologiczne nierzadko towarzyszące innym chorobom cywilizacyjnym. Kiedy pracowałem w Stanach Zjednoczonych w latach 80. ubiegłego wieku, byłem zafascynowany, w jaki sposób szkoli się studentów i młodych lekarzy na zasadzie symulacji, co czuje chory człowiek wtedy, kiedy jest na przykład starszy, ma wiele różnych dolegliwości, jest zniedołężniały. Studenci byli ucharakteryzowani, przebrani, mieli okulary na nosie, które zamazano wazeliną, a w uszach korki, które izolują dźwięki świata zewnętrznego, stawy kończyn unieruchomione i musieli przejść ścieżką pacjenta przez rejestrację, gabinet i podpisać szereg dokumentów, ledwo widząc i ledwo słysząc, a jednocześnie rozebrać się i przygotować do badań np. w ciasnej kabine rentgenowskiej. To były kapitalne ćwiczenia symulacyjne, które uczuły studentów medycyny i młodych lekarzy, w jaki sposób nabyć tę empatię, nawet wtedy, kiedy jeszcze się jej nie posiadało, będąc młodym adeptem sztuki lekarskiej. Wyrażam nadzieję, że system leczenia, który polega na kompleksowości oraz koordynacji zaistnieje we wszystkich dziedzinach medycyny na korzyść wszystkich chorych, którzy są pod naszą opieką.

**Prof. Leszek Czupryniak, Kierownik Kliniki
Diabetologii i Chorób Wewnętrznych
WUM**



Dwadzieścia lat temu politykom i klinicytom udało się zreformować pewne obszary w medycynie i wprowadzić rozwiązania, które mogą przynieść szybki efekt. To była medycyna ratunkowa i kardiologia interwencyjna. Medycyna ratunkowa przynosi szybki efekt, bo spada ilość zmarłych w trakcie wypadków. Kardiologia inwazyjna w ciągu paru lat od wprowadzenia reformy na początku XXI wieku zmniejszyła liczbę zgonów z powodu zawału serca o 30 proc. To były reformy, które udało się zrobić w ciągu kadencji jednego Sejmu. Potem stanęliśmy, jako społeczeństwo wobec chorób przewlekłych i tu się zaczęły schody. Dziennikarze nie pytają, a politycy o tym nie mówią. Pomijając, że jest głębokie przekonanie, że „w zdrowiu każde pieniądze można utopić” i „w każdym momencie można wylecieć, jako Minister Zdrowia”. Według wielu opinii, „w zdrowiu” efekt jest niewidoczny. To nie jest coś, co polityków każdej opcji podnieca i co dałoby władzę. Dlatego ustaliliśmy, że Medyczna Racja Stanu wykracza poza jedną kadencję, bo pojęcie „racja stanu” oznacza, że jest jakieś wspólne dobro, któremu każdy rząd, każda ekipa przez dekady powinna służyć i to jest wielkie wyzwanie, żeby znaleźć zrozumienie. Choroby autoimmunologiczne są na to dobrym przykładem. Powiem jeszcze o jednym, co jeszcze nie padło, że są dwie istotne cechy wszystkich tych chorób. Po pierwsze, rozpoznanie choroby autoimmunologicznej automatycznie oznacza rozpoznanie choroby przewlekłej, co jest eleganckim określeniem faktu choroby nieuleczalnej. Pacjent zostaje z chorobą autoimmunologiczną do końca życia. Bez względu na to, czy to jest łuszczyca, cukrzyca, RZS, czy wrzodziejące zapalenie jelita grubego. To jest częściej kobieta, niż mężczyzna i to jest częściej człowiek młody, który ma przed sobą dekady życia, a nie człowiek starszy. Druga rzecz to ta, że gdybyśmy badali pacjentów z jakąś chorobą autoimmunologiczną, to byśmy znaleźli jeszcze jakąś jedną z tych chorób. Skaza w układzie odpornościowym, która powoduje, że on atakuje własne komórki wykracza zwykle poza jedną chorobę. My się zwykle koncentrujemy, jako lekarze, na tej jednej, wiodącej chorobie. Leczymy np. cukrzycę, bo jakbyśmy jej nie leczyli, to ludzie po prostu umrą. Bez insuliny nie da się żyć. Natomiast choroby współistniejące są bardzo częste. Zwykle są to choroby tarczycy, potem choroby otrzewnej, czyli celiakie, a potem niezdolność kory nadnerczy. Są też takie choroby autoimmunologiczne, które nie są specjalnie chorobami, ale są widoczne, np. bielactwo. Czyli coś, co nie upośledza, ale zostawia defekt estetyczny - zwłaszcza latem. Czyli, mówimy o pacjentach, którzy chorują przewlekłe, nieuleczalnie i zwykle na więcej niż jeden problem zdrowotny. Mimo, że podobne mechanizmy prowadzą do tych chorób, są one bardzo różne. Choroba trzewna, a cukrzyca typu 2, to zupełnie różne choroby, wymagające różnego podejścia, ale też nasilające siebie wzajemnie i na siebie nawzajem wpływające. To są te trzy elementy chorób autoimmunologicznych, które warto podkreślać. To czyni z tych pacjentów szczególną grupę, zwłaszcza że jak powiedziałem, to są ludzie młodzi oraz wymagający stałego leczenia i kontroli, aby przeciwdziałać postępowi choroby, inwalidztwu i śmierci. Na szczęście mamy bardzo duży postęp w medycynie, a zwłaszcza w immunologii. Kiedy kończyłem studia, to o lekach biologicznych prawie w ogóle się nie mówiło. W tej chwili mamy wysyp tych terapii w wielu obszarach, które są bardzo skuteczne i powodują daleko posuniętą personalizację medycyny. Za to ktoś musi zapłacić, a system mamy taki, że płacimy my wszyscy jako Państwo, a nie obywatel ze swojej kieszeni. To jest bardzo duże wyzwanie, do czego żaden rząd do tej pory nie był do końca przygotowany. Projekcja ile trzeba będzie wydać na ochronę zdrowia, nie za pół roku, ale za 5 lat, praktycznie nie istnieje.

Cukrzyca jest chorobą niezwykłą, po pierwsze dlatego, że jest to najczęstsza choroba w populacji wieku rozwojowego w pediatrii. Szczyt zachorowań rozpoczyna się od 6 r.ż., aż po okres dojrzewania. Pacjentów pediatrycznych z cukrzyca typu 1 jest w Polsce ok. 20 tys. co nie jest dużo, ale dzięki temu są to pacjenci leczeni na poziomie absolutnie światowym. Diabetologia wieku rozwojowego, jeszcze raz powtarzam, to jest „diament w koronie diabetologii”. To jest grupa oddanych pediatrów, oddanych pielęgniarek i dostęp refundacyjny do najnowszych technologii. Leczenie jest zcentralizowane, a pediatria diabetologiczna koncentruje się w dziesięciu ośrodkach w Polsce. Kiedy mówimy o dorosłych z cukrzyca typu 1, to dotyczy to ok. 180 tys. osób. (dorosłych z cukrzyca typu 2 mamy w Polsce ok. 3 mln pacjentów, a leczonych insuliną ok. 800 tys. pacjentów). Optymalizując dostęp chorych na cukrzyca typu 1 do diagnostyki i terapii powinniśmy pamiętać, że pompy insulinowe są refundowane do 26 r.ż. Pompa insulinowa pełni w połowie funkcje sztucznej trzustki, gdzie poza okresem posiłku pompa sama nadzoruje podaż insuliny, opierając się na danych z czujników glikemii. Staramy się przekonać Ministra Zdrowia, że pacjenci, którzy kończą 26 lat, powinni mieć zapewnioną kontynuację refundacji pomp insulinowych. Chociaż tak naprawdę powinni ją mieć wszyscy dorośli, którzy do takiego leczenia się nadają. Szacujemy, że mniej niż połowa pacjentów do 26 r.ż., którzy mają w tej chwili refundowane pompy insulinowe, mogłoby mieć kontynuację tego leczenia, gdyby pompy były refundowane powyżej 26 r.ż. W krajach, gdzie jest największe zasycenie leczenia pompami insulinowymi wśród dorosłych chorych na cukrzyca typu 1, odsetek je używających chorych stanowi ok. 30-40 proc. Jeśli chodzi o dostęp do insuliny, bo w zasadzie mówimy tylko o tej terapii w cukrzyca typu 1, to wszystko jest refundowane. Mogłoby być trochę lepiej refundowane (dopłaty do limitu), ale z tym pacjenci jakoś sobie dają radę. Największym przełomem w tym obszarze są systemy ciągłego monitorowania glikemii, które od stycznia 2023 r. zostały zrefundowane dla wszystkich pacjentów z cukrzyca typu 1 i części pacjentów z cukrzyca typu 2 – bez ograniczeń wiekowych. Trzy miesiące temu, kiedy to było wprowadzane, była to najbardziej daleko idąca refundacja w Europie, bo w Europie mamy tylko refundowane te systemy w cukrzyca typu 1, a w Polsce mamy też refundację w cukrzyca typu 2. To jest coś, co jakościowo zmieni nam optykę w diabetologii w najbliższych latach. Decyzje Ministra Zdrowia są racjonalne i konsekwentne. Bardzo nas to cieszy, bo odnotowujemy wzrost zapadalności na cukrzyca typu 1, czego się nie spodziewaliśmy. Uważaliśmy, że raczej ten trend opanujemy. Natomiast rozpoznajemy coraz więcej cukrzyca typu 1 wśród dorosłych, u których wydawało się, że może mają typ 2. Warto o tym wiedzieć, że na cukrzyca typu 1 można zachorować w każdym wieku. Ostatnio mieliśmy 76-letnią pacjentkę, u której rozpoznaliśmy cukrzyca typu 1. Będziemy zatem mieli grupę pacjentów nieuleczalnie i przewlekle chorych, wymagających opieki i z dużym ryzykiem wielochorobowości. Tutaj taka czujność autoimmunologiczna jest potrzebna również lekarzom. To jest cicha grupa chorób, bo one nie są spektakularne, jak np. nowotwory, ale jednak ich liczba rośnie i myślę, że nie jest to nasza ostatnia debata poświęcona tym chorobom.

***Prof. Zbigniew Żuber, Kierownik Katedry Pediatrii
KAAFM, Przewodniczący Rady Ekspertów ds.
Chorób Rzadkich Medycznej Racji Stanu***

We wszystkich zapalnych chorobach reumatycznych istotne jest jak najwcześniejsze rozpoznanie i włączenie skutecznego leczenia. W reumatoidalnym zapaleniu stawów (RZS) i młodzieńczym idiopatycznym zapaleniu stawów (MIZS)



staramy się, żeby opieka pediatryczna była jak najlepsza. W populacji wieku rozwojowego młodzieńcze idiopatyczne zapalenie stawów stanowi zespół chorobowy, który gromadzi w sobie wiele innych

podjednostek, które ewoluują. Pacjentów z MIZS jest około 17-18 tys., czyli podobnie, ilu jest pacjentów pediatrycznych z cukrzycą typu 1. Staramy się ich objąć, jak najlepszą opieką i doprowadzić do dorosłości, w jak najlepszym stanie. Naszym problem jest fakt, że tylko część leków jest zarejestrowana dla populacji wieku rozwojowego. Nam zależy na tym, żeby nasi pacjenci dzięki nowoczesnej terapii byli nieodróżnialni od swoich rówieśników, czyli żeby ich stan funkcjonalny był na dobrym poziomie. Celem terapeutycznym w chorobach reumatycznych jest uzyskanie stanu remisji choroby. Choroby autoimmunologiczne pozostają z pacjentem na całe życie, ale nie wszystkich pacjentów musimy leczyć przez cały czas i przez całe życie. Choroba Stilla to rzadka autoimmunologiczna choroba układowa atakująca tkanki miękkie stawów, co prowadzi do powstawania stanów zapalnych w ich obrębie. Choroba Stilla dotyka przeważnie dzieci i młodzież poniżej 16. roku życia, choć mogą na nią chorować także dorośli. W chorobie Stilla możemy leczyć pacjenta w okresie zaostrzenia, a nie musimy jej leczyć przez cały czas. W młodzieńczym idiopatycznym zapaleniu stawów szczyt zachorowań przypada między 2. a 6. rokiem życia. Proszę sobie wyobrazić, że nim pacjent dojdzie do osiemnastu lat, to choruje, co najmniej kilkanaście lat. Tych pacjentów musimy leczyć, a zakres możliwości leczenia powinien być, jak najszerszy i jak najlepszy. Jest to problem, który trzeba szeroko rozpatrywać, zarówno w sensie diagnostyki i leczenia, a także w zakresie dostępu do ośrodków specjalistycznych. W tej chwili możemy się pochwalić, że w Polsce mamy znakomicie wyposażone ośrodki z dostępem do badań immunologicznych i obrazowych. Brakuje nam refundacji nowych leków i dostępu do skutecznego leczenia. Zmienia się także profil chorób, a pandemia COVID-19 przyniosła nam nowy zespół chorobowy, czyli zespół PIMS. Wieloukładowy zespół zapalny u dzieci po przechorowaniu COVID-19, nazywany PIMS (z ang. pediatric inflammatory multisystem syndrome temporally associated with SARS-CoV-2), to powikłanie po przebytych COVID-19. Jego przyczyną jest reakcja immunologiczna na COVID-19, pojawiająca się po dwóch–czterech tygodniach od zakażenia. Występuje ona również wtedy, gdy zakażenie było bezobjawowe. Innymi słowy, jest to mieszanka objawów tych jednostek chorobowych, które znamy i potrafimy leczyć, ale tutaj też potrzebujemy nowoczesnych leków. Zarówno brokerów interleukiny, jak interferonu gamma. W miarę rozwoju nauki nasze potrzeby też wzrastają, bo zmienia się obraz chorobowy. Pandemia pokazała, że mamy do czynienia z nowymi wyzwaniami, z którymi nie zawsze dobrze sobie radzimy.

***Prof. Konrad Rejdak, Prezes Polskiego
Towarzystwa Neurologicznego, Kierownik
Katedry i Kliniki Neurologii UM w Lubinie***

Stwardnienie rozsiane (SM), to jedna z najczęściej występujących w światowej populacji chorób układu immunologicznego dotycząca ośrodkowego układu nerwowego. SM to choroba autoimmunologiczna, która niestety częściej dotyczy kobiet. W Polsce mamy ok. 50 tys. pacjentów zdiagnozowanych na SM, gdzie zdecydowana większość to kobiety. Musimy pamiętać, że w ostatnim czasie bardzo poprawiła się sytuacja pacjentów, dzięki decyzjom Ministra Zdrowia, w wyniku współpracy środowiska pacjentów i klinicystów, w tym Konsultanta Krajowego i Polskiego Towarzystwa Neurologicznego. Udało się skonsolidować i uprościć program lekowy B.29, który realizuje ok. 130 ośrodków klinicznych w Polsce. Zgodnie z programem lekowym stosujemy różne leki, w ramach eskalacji, czyli przechodzenia na drugą linię wówczas gdy leczenie nie jest skuteczne lub indukcji, czyli leki dedykowane tuż po rozpoznaniu choroby leczenia. Nowością jest wprowadzenie



leków o wyższej skuteczności w pierwszej linii leczenia. Pacjenci, którzy mają aktywną postać stwardnienia rozsianego mają szansę skorzystać z leku o wyższej skuteczności. To jest ogromny atut programu lekowego i to nas zbliża do krajów europejskich, bo możemy korzystać z różnych terapii. Nadal jednak, obserwujemy wydłużoną ścieżkę diagnostyczną niektórych chorych. W ostatnim czasie pacjenci już zdiagnozowani musieli czekać z powodów budżetowych, aż terapia będzie dostępna. Polskie Towarzystwo Neurologiczne opracowało strategię i postuluje o to, aby stworzyć poradnie SM z rozszerzonym pakietem diagnostycznym. To skróci i przyspieszy ścieżkę diagnostyczną dla tych pacjentów, którzy od razu będą kwalifikowani do leczenia, a nie przekierowani z jednej poradni neurologicznej do drugiej, aby mieć szansę na to leczenie. To jest nasz główny postulat. Co do realizacji programu lekowego B.29, to owszem mamy dostęp do nowych leków, ale niestety finansowanie za obsługę programu znacząco się nie zwiększyło. Doszło do pewnych zmian w zakresie ryczałtu ambulatoryjnego, tzn. może być mniej wizyt, a ryczałt pozostaje ten sam, ale nadal widzielibyśmy modyfikację tego systemu, żeby pacjenta nie zmuszać do wizyt wtedy, gdy klinicznie nie jest to uzasadnione. Wtedy możemy wydawać leki z wyprzedzeniem, po to aby w warunkach domowych pacjent je przyjmował. Zdejmujemy wówczas ciężar z personelu medycznego, który musi te wizyty obsługiwać. W związku z rosnącą liczbą pacjentów w programie lekowym, która obecnie sięga ok. 21 tys. chorych obciążenie ośrodków klinicznych będzie coraz większe. Dlatego postulujemy o wzrost wycen świadczeń - szczególnie w warunkach AOS. Wnioskujemy również o refundację leków, w pierwszej linii leczenia (okrelizumab) oraz tych, które będą mogły być podawane w warunkach domowych, np. w formie podskórnej (natalizumab). Wnioskujemy również o refundację toksyny botulinowej w nowych wskazaniach do leczenia objawowego spastyczności w przebiegu stwardnienia rozsianego, urazów, paraplegii, czy udarów. Leczenie toksyną botulinową jest od wielu lat znane i stosowane w neurologii. Poszerzenie wskazań w terapii spastyczności o różnej etiologii, to ważny element poprawy skuteczności leczenia i jakości życia pacjentów. To są kolejne wyzwania, które są przed nami. Należy się spodziewać, że ciągle będą się pojawiać nowe leki, jeszcze lepsze, jeszcze doskonalsze, więc neurologia cały czas będzie aktywna w procesie nadrobienia ogromnych zaległości sprzed lat, bo większość chorób neurologicznych zarejestrowanego skutecznego leczenia po prostu nie miało.

Prof. Anna Kostera-Pruszczyk, Kierownik Katedry i Kliniki Neurologii UCK WUM

Miastenia gravis, to kolejna choroba autoimmunologiczna. Jest to schorzenie o zróżnicowanym i zmiennym przebiegu. Zmienny przebieg oznacza bardzo szerokie spektrum objawów: od objawów ocznych, pod postacią np. uporczywego, podwójnego widzenia, przez chorych z niedowładem czterokończynowym, z problemami z gryzieniem, z mówieniem, czy połykaniem, po stany zagrożenia życia, które nazywamy przetłosem miastenicznym, a więc sytuacją w której osłabienie mięśni czasowo staje się tak duże, że pacjent wymaga wsparcia respiratora oraz intensywnego leczenia. W chwili obecnej dysponujemy w Polsce nie do końca nowoczesnym zestawem metod leczenia farmakologicznego. Pierwszą linią leków immunosupresyjnych w miastении nadal są glikokortykosteroidy. Znane są działania niepożądane przewlekłej terapii lekami z tej grupy, a inne leki immunosupresyjne, do których możemy sięgać w drugiej linii, to również są leki znane i stosowane od lat 80-tych ubiegłego wieku. Wiemy, że w populacji ok. 9 tys., chorych z aktywną miastenią gravis w Polsce są pacjenci dorośli i pediatryczni.



Pojawiają się chorzy po 60-tym, a nawet 80-tym roku życia. Ok. 40 -50 proc. chorych dzięki leczeniu uzyskuje remisję choroby. Pozostała grupa pacjentów ustabilizowanych przewlekłe wymaga dosyć intensywnego leczenia starymi lekami immunosupresyjnymi lub wielokrotnych hospitalizacji. Stąd nadzieja, którą jako środowisko neurologiczne wiążemy z rejestracją dwóch leków, które w badaniach klinicznych wykazały się bardzo dobrą skutecznością i dobrym profilem bezpieczeństwa. Trwa jeszcze kilka badań klinicznych, które sprawiają, że chcielibyśmy pewnej grupie pacjentów z miastenią móc zaproponować nowoczesną terapię o dużo lepszym profilu bezpieczeństwa, niepowodujących tych odległych następstw terapii, które mamy dzisiaj do dyspozycji. Pierwszy z nich, rawulizumab został zarejestrowany w Europie w drugiej połowie września 2022 r. Jest to humanizowane przeciwciało monoklonalne, będące inhibitorem składowej dopełniacza C5, a ten dopełniacz jest takim elementem, który uruchamia kaskadę nieprawidłowych zjawisk w miastenii i prowadzi do znaczącego uszkodzenia mięśni. Przerwanie tej nieprawidłowej kaskady zjawisk poprzez podanie leku, który jest inhibitorem tejże składowej dopełniacza C5 chroni mięsień pacjenta przed zmasowanym atakiem przeciwciał, który doprowadza do realnego zniszczenia ważnego fragmentu mięśnia. A więc to terapia celowana, która w przeciwieństwie do kortykosteroidów, działa bardzo precyzyjnie, poprzez co, jej skuteczność jest wysoka. Rawulizumab jest wskazany do stosowania jako terapia dodatkowa do standardowego leczenia dorosłych pacjentów z uogólnioną postacią miastenii (tzw. seropozytywną), u których występują przeciwciała przeciw receptorowi acetylocholino (ang. anti-acetylcholine receptor, AChR). Nieco inaczej działa drugi z zarejestrowanych leków - efgartigimod alfa, który przyspiesza usuwanie patogennych przeciwciał. Z wielką nadzieją oczekuję na możliwość podawania tych leków polskim pacjentom, ale również tego, że będzie nam przybywało terapii, które będą w celowany sposób przerywały łańcuch patogenez choroby, takiej jak miastenia. Jeśli pomyślimy o tym, że miastenia jest chorobą, która może zacząć się w dowolnym okresie życia, na każdym jego etapie, powinniśmy popatrzeć na dalszą perspektywę życia chorego. Nowoczesne schematy leczenia powinny proponować leczenie skuteczne, a zarazem bezpieczne. Skuteczne leczenie miastenii pozwala na uczestniczenie w życiu społecznym, podobnie jak ludziom zdrowym. Pacjenci uczą się, studiują, zakładają rodziny. Moje doświadczenie pokazuje, że często w drugiej połowie życia mimo własnych problemów zdrowotnych, przejmują funkcje opiekunów swojego chorego rodzica, czy małżonka. Mówimy o populacji chorych, którzy mogą realnie funkcjonować w społeczeństwie i pracować. Tu spojrzenie na koszty pośrednie związane z leczeniem jest niezwykle istotne.

*Prof. Ewa Mojs, Kierownik Katedry i Zakładu
Psychologii Klinicznej UM im. Karola
Marcinkowskiego w Poznaniu*

Bardzo ważna jest kondycja psychiczna pacjentów z chorobami autoimmunologicznymi. Warto podkreślać w tym zakresie potrzebę holistycznego patrzenia na tych pacjentów. Mechanizmy biologiczne decydują o tym, że pojawiają się zmiany somatyczne, ale towarzyszą im zmiany psychiczne. Zaburzenia depresyjne lub depresyjno-łękowe pojawiają się u ok. 50 proc. chorych. Czasem jest tak, że pojawia się zmęczenie, które może być objawem choroby reumatycznej i możemy nie zauważyć, że rozwija się depresja, która wymaga diagnozy i odpowiedniego leczenia. Oprócz tego mamy wiele innych problemów z którymi zmagają się chorzy, w tym stygmatyzacji i trudności znoszenia samej choroby. Idealnie by było, gdyby można było podpisać umowy z psychologami w ramach publicznej służby zdrowia, z poradniami zdrowia psychicznego po to, aby już na samym początku choroby i na kolejnych jej etapach, zwiększyć



dostępność opieki psychologicznej. To nie dotyczy tylko pacjentów z depresją, czy zaburzeniami lęgowymi, ale również z tymi, którzy zmagają się na co dzień z kwestią wielu przeszkód, czy stygmatyzacją. Sprawa jest jeszcze bardziej istotna w przypadku dzieci, bo u dzieci problemy związane z chorobami przewlekłymi skupiają się, jak w soczewce. Młodzież populacyjnie sobie z nimi nie radzi. A do tego dochodzą post pandemiczne problemy, takie jak osamotnienie, problemy szkolne, itd. Rzeczywiście w tej grupie dzieci chorych przewlekłe tych problemów jest bardzo dużo. Rekomendacje Polskiego Towarzystwa Diabetologicznego też są takie, żeby w opiece nad dzieckiem z cukrzycą uczestniczył psycholog. Z drugiej strony wiemy doskonale, że mamy bardzo duży niedobór psychologów w publicznej służbie zdrowia. Działają poradnie zdrowia psychicznego oraz poradnie na oddziałach szpitalnych, ale pomiędzy nimi jest pustka. To jest właśnie moja prośba, aby w ośrodkach referencyjnych, tam gdzie leczy się dzieci z różnymi chorobami przewlekłymi do zespołu terapeutycznego został dołączony psycholog. Poza tym, psycholog potrafi przygotować rodzinę na to, jakiego rodzaju trudności będą się pojawiać jeszcze w trakcie leczenia. Rodzice wiedząc, z jakimi problemami będą musieli się borykać, zostają niejako „zaszczepieni”, będą wiedzieć, z czym będą się mierzyć, ale też będą mieli od początku budowane pewne zasoby, jak sobie z tymi problemami radzić. To jest nasza rekomendacja. W nowej ustawie myślimy o tym, że dobrze by było, żeby opieka psychologiczna nad chorym przewlekłe dzieckiem była realizowana na drugim poziomie referencyjnym. Ponieważ psychologowie pracujący z dziećmi, czy osobami dorosłym muszą mieć odpowiednie kompetencje diagnostyczne i pomocowe. Przygotowaliśmy projekt edukacyjny dla psychologów, którzy mają się zająć pacjentami z łuszczycą. Rozwijamy zatem na poziomie kształcenia podyplomowego wysokospecjalistyczne kompetencje psychologów. Rozmawiamy podczas tego spotkania o nowoczesnych lekach i bardzo się cieszę, że portfolio terapii w każdej z tych chorób o podłożu immunologicznym się poszerza. Proszę jednak zobaczyć, że na przestrzeni wielu lat cele leczenia też bardzo się zmieniły. Teraz nie tylko, aby łagodzić objawy, aby stawy były mniej obrzęknięte, ale mówimy o tym, że patrzymy na potrzeby pacjentów. Żeby kobiety, które są w wieku prokreacyjnym mogły bezpiecznie rodzić zdrowe dzieci. Żeby chorzy mogli jak najdłużej utrzymywać się w swoich rolach zawodowych, żeby najzwyczajniej w świecie nie biednieli tylko dlatego, że chorują. Terapie w programach lekowych powinny także umożliwić nam rozmowę i wsparcie chorych, który przez całe życie muszą z tego leczenia korzystać. W tym momencie możliwe jest personalizowanie tej opieki, żeby jak najdłużej utrzymać wysoką jakość życia, dbając o to, żeby ludzie nie wypadali ze swoich ról życiowych. Poruszam jeszcze jeden ważny temat, który może być przekonujący, jeśli chodzi o to, że warto jest włączyć psychologów w zespół specjalistyczny. Myślę o pojęciu *adherence*, czyli współpracę chorego z lekarzem. *Adherence* na dobrym poziomie zmniejsza koszty, zarówno dla systemu, jak i dla pacjentów. My psychologowie, potrafimy rozpoznać te osoby, które cechuje wysoki poziom ryzyka *non-adherence*. Wówczas konieczna jest współpraca lekarza i psychologa, żeby *adherence* wzmocnić, zbudować większe zaufanie, a w efekcie zapewnić utrzymanie chorego w terapii, bez przerywania przyjmowania leków na własne życzenie przez pacjenta. Zwiększy to skuteczność leczenia oraz doprowadzi do oszczędności związane z wprowadzaniem kolejnych (drogich) leków, z których stosowania przy *non adherence* niewiele wynika. To też jest nasza rola, aby rozpoznawać takich pacjentów, których postawy względem leczenia mogą mieć charakter nieadaptacyjny, co może niweczyć proces leczenia.

Moja ogromna prośba jest taka, żeby zwiększyć dostępność, być może dzięki osobnym umowom, aby zapewnić obecność psychologa w tych poradniach dziecięcych, w których leczy się przewlekłe chore dzieci. Dzięki temu unikniemy problemu, z którym się teraz borykamy, czyli że usługi psychologiczne, czy psychoterapeutyczne przechodzą z bardzo wielką dynamiką do sektora usług prywatnych.

Kompleksowa opieka nad pacjentami z chorobami autoimmunologicznymi powinna uwzględnić rolę psychologa w zespole, który pacjentem się opiekuje. Pandemia COVID-19 niestety spowodowała, że dzieci i młodzież są zostawione same sobie. Przed pandemią przyjeżdżały do mnie do gabinetu rodziny. Zastanawialiśmy się, czy przypadkiem u dziecka nie rozwija się uzależnienie behawioralne, bo popołudniami siedzi w domu przy komputerze. Przyszła pandemia COVID-19 i co? Dzieci spędzały 8-12 godzin przy komputerze, a rodzice cieszyli się, że dziecko się uczy, siedzi w domu, nie sprawia żadnych problemów i niejako zwolnili się z obowiązku, żeby w ogóle się o to martwić. Pomimo, że pandemia jest w odwrocie, a tego typu zachowania i siedzenie przy komputerze zostały. I nikt na to nie zwraca uwagi. Nie chcę tutaj mówić o uzależnieniach behawioralnych, tylko mówię o tym, że pandemia zatrzymała rozwój kompetencji osobistych dzieci i niestety uszkodziła więzi rodzinne. Doprowadziło to do tego, że dzieci i młodzież nie mają wystarczającego wsparcia w tym, żeby sobie radzić z różnego rodzaju problemami życiowymi, które powstały wskutek pandemii, czy doświadczenia wojny w Ukrainie. A są to wydarzenia traumatyczne dla wszystkich, niezależnie od wieku, płci i wykształcenia. I na to jeszcze mamy nałożenie się choroby autoimmunologicznej, co wyjaśnia nam, dlaczego w tej grupie dzieci i młodzieży z chorobami o podłożu immunologicznym, tak dużo w tej chwili pojawia się różnego rodzaju zaburzeń sfery psychicznej. Drugą grupą w której pojawia się wiele problemów, osoby w wieku podeszłym. To są też takie osoby, które mają w swojej pamięci żywe doświadczenia swoich rodziców, czyli pokolenia wojennego. Niestety, to też wiemy, że wiele grup ludzi żeruje na ich lękach, bo starsze osoby kupują na zapas różnego rodzaju dziwne urządzenia, bo przychodzi do nich firma i mówi, że mają się zabezpieczyć, bo na pewno przyjdzie wojna. Ale to też jest grupa chorująca na choroby o podłożu immunologicznym. U większości osób, które zachorowały na COVID-19, objawy ustępują po kilku tygodniach, jednak u niektórych, zwłaszcza wymagających hospitalizacji, występowanie symptomów choroby może przedłużać się o kilka tygodni, co określane jest mianem "Long COVID". To są też pacjenci, którzy do nas trafiają z zaburzeniami uwagi, pamięci, trudności z koncentracją, w wykonywaniu codziennych obowiązków. Tych czynników obciążających zdrowie psychiczne w tej chwili jest tak dużo, jak nigdy w okresie powojennym nie było.

Mówiąc o pacjentach z chorobami autoimmunologicznymi, potrzebny jest wzrost świadomości społecznej. Musimy edukować społeczeństwo, czym są te choroby, z jakimi dolegliwościami się wiążą, żeby tego ostracyzmu, który często zdarza, nie było. Świadomość społeczna, jak przeżywają pacjenci swoją chorobę, nieuleczalną i przewlekłą, musi wzrosnąć. W Polsce, w tym obszarze mamy bardzo duże deficyty w porównaniu z innymi krajami. Są dzieci, które mają zmiany skórne i nie chcą chodzić na basen, nie chcą się rozbierać na lekcjach WF, dlatego że boją się, że ktoś zobaczy to, że mają coś na skórze, co jest pierwszym momentem do tego, żeby pojawił się element izolacji społecznej. Niestety rodzice też w tym nie pomagają, bo jak małe dziecko w naturalny sposób przyjdzie do domu i opowiada: mamo, mamy takiego Jasia, który ma coś na skórze, to mama powie co? Nie baw się z nim. Wiemy o tym, że tego typu uprzedzenia przekazywane są z pokolenia na pokolenie. Dzieci, które są same w sobie ciekawe, są w przedszkolu, mogą być zainteresowane innością. Mogą zapytać: A co to? Dlaczego masz taką skórę? Ale indukują te uprzedzenia niestety osoby dorosłe. Edukacja jest bardzo ważna, szczególnie edukacja, która ma charakter zintegrowany, żeby w jednym czasie obejmowała środowisko nauczycielskie, rodzicielskie oraz dzieci i młodzież. Bo wtedy dopiero takie kompleksowe działanie ma szansę na coś dobrego. W sytuacji, gdy w szkole wyedukujemy nauczycieli, że cukrzyca to naprawdę nic strasznego, a nie zrobimy tego w domu, to naprawdę nasze działanie będzie miało stosunkowo niewielką wartość. Nie chodzi również o to, żeby też obciążać lekarzy zadaniami edukacji. To powinna być wiedza merytoryczna, łatwo przekazana, zrozumiała, ale przede wszystkim powszechna. Uważam, że to jest zadanie przede wszystkim dla organizacji pozarządowych - fundacji,

stowarzyszeń, czy organizacji pacjentów. Te organizacje, współpracując z ekspertami, budują zakres wiedzy, mając dostępne narzędzia do tego, żeby trafić do wielu odbiorców.

Prof. Ewelina Nojszewska, Katedra Ekonomii Stosowanej SGH, Centrum Badań nad Funkcjonowaniem Systemu Ochrony Zdrowia w Kolegium Zarządzania i Finansów SGH

Optymalizacja opieki zdrowotnej powinna przekładać się na optymalizację wydatków budżetowych. Niestety, jeśli chodzi o badania ekonomiczne, szczególnie ilościowe, to my jako ekonomiści zajmujący się tymi zagadnieniami, musimy stwierdzić, że jest coraz gorzej. W procesie optymalizacji dążymy do osiągnięcia skuteczności klinicznej i efektywności ekonomicznej, ani jedno, ani drugie nie jest możliwe bez racjonalnego gospodarowania, bez efektywności finansowej i efektywności ekonomicznej. A żebyśmy mogli liczyć, żebyśmy mogli wspierać te procesy, to musimy mieć dane, a brakuje nam obecnie odpowiednich baz danych i rejestrów medycznych. W ramach instytutu INNOWO zrobiliśmy raport poświęcony ocenie całkowitych kosztów społeczno-ekonomicznych występowania łuszczycy i łuszczycowego zapalenia stawów. Stwierdziliśmy, że koszty pośrednie są wielokrotnością kosztów bezpośrednich. Bardzo się cieszę, że koncepcja kosztów pośrednich już istnieje w świadomości polityków i lekarzy. Niemniej zdecydowanie została zmniejszona liczba takich obliczeń, tak jakby ta świadomość wystarczyła. Bez dostępu do danych nie możemy prowadzić analiz. Mamy także narzędzia ilościowe, m. in. technikę statystyczną Propensity Score Matching (PSM). Przy dostępie do odpowiednich baz, czy rejestrów medycznych, można wykorzystać PSM do porównania skuteczności leczenia danej choroby różnymi metodami leczenia. Dokonałiśmy takiej analizy w zakresie raka płuca, gdzie porównaliśmy skuteczność klasycznej torakotomii i operacji laparoskopowej VATS (Video Assisted Thoracoscopic Surgery). Mam nadzieję, że promując interdyscyplinarność w medycynie, dołączymy do tego zespołu ekonomistów zdrowia. Jestem przekonana, że dostarczy to argumentów w rozmowach z politykami w egzekwowaniu poprawy systemu ochrony zdrowia w Polsce.



Dr Michał Sutkowski, Specjalista Medycyny Rodzinnej i Chorób Wewnętrznych, Rzecznik Prasowy Kolegium Lekarzy Rodzinnych w Polsce

Rola lekarza rodzinnego jest niezwykle istotna w opiece nad pacjentem z chorobami autoimmunologicznymi. Dotyczy to przede wszystkim trzech kluczowych obszarów, takich jak: wiedza, narzędzia i system. Wiedza merytoryczna na temat chorób autoimmunologicznych lekarza rodzinnego, który pracuje blisko pacjenta w danej społeczności jest rzeczą niezbędną. To nie chodzi o to, że lekarz POZ ma inicjować terapię tych chorób, ale powinien wiedzieć, dlatego diagnostyka i przesłanie pacjenta do specjalisty jest kluczowe z punktu widzenia dalszych losów tego pacjenta. W trakcie prowadzenia wywiadu u pacjenta musi się „zapalać czerwona lampka”, że może to być choroba autoimmunologiczna. Lekarz POZ powinien podejrzewać taką chorobę, kiedy mamy



do czynienia z młodą kobietą, dodatnim wywiadem rodzinnym, przechorowaniem COVID-19, spadkiem odporności, dużą liczbą infekcji, zmianami na skórze, na stawach niewiadomego pochodzenia, czy przewlekłym zmęczeniem. Błędy popełnione na samym początku skutkują później dramatycznymi problemami pacjentów. Poza wiedzą, lekarze POZ muszą mieć też narzędzia. Podstawowe narzędzia lekarz rodzinny posiada, ale to nie znaczy, że ich katalogu nie można by było poszerzyć. Nic by nie stało na przeszkodzie, by lekarze POZ w kontrakcie z płatnikiem publicznym mieli możliwości zlecenia określonych badań, takich jak, m.in.: przeciwciała przeciwjądrowe przeciwko peroksydazie i tyreoglobulinie, anty-CCP, czy poziom prokalcytoniny. Jest możliwość wprowadzenia tego typu rozwiązań, bo mamy tak zwany fundusz powierzony diagnostyczny. Czy do tego potrzebna jest opieka koordynowana? Z uporem godnym lepszej sprawy powtarzam, że opieka koordynowana jest tworem, który dopiero powoli startuje. Tylko ok. 14% podmiotów aplikuje lub już jest w opiece koordynowanej. Ale opieka koordynowana dzisiaj jest definiowana, jako opieka nad pacjentem kardiologicznym, nad pacjentem z cukrzycą typu 2, nad pacjentem ze schorzeniami pulmonologicznymi oraz nad pacjentem z częścią chorób tarczycy. A zatem, daleko nam do tego, żeby nawet w tych czterech obszarach terapeutycznych uzyskać coś, co się nazywa efektem skali w opiece koordynowanej. Nie uzyskamy tego nawet przez następne lata. Natomiast to nie oznacza, że mamy siedzieć z założonymi rękoma i nie poszerzać chociażby katalogu badań diagnostycznych. Wystarczy do tego rozporządzenie Ministra Zdrowia i zarządzenie prezesa NFZ. I trzecia rzecz, na którą chciałbym zwrócić uwagę – to system ochrony zdrowia. Wydaje się, że z punktu widzenia lekarza POZ potrzebna by była szybka ścieżka diagnostyczna. Wydaje się dosyć ważne, żeby otworzyć też dyskusję środowiskową, na temat dwóch dróg skierowań z poziomu POZ do poradni specjalistycznych. Jedna droga, to jest sytuacja, kiedy według wszelkiej wiedzy lekarza rodzinnego ten chory może poczekać. Druga droga, to konieczność uzyskania konsultacji specjalisty w bardzo krótkim okresie czasu. Dzisiaj te drogi są wymieszane, a niewątpliwie przyszłość będzie polegała na tym, żeby te ścieżki usprawniać. Stąd niezwykle ważna waga funkcji koordynatora w tej opiece. I ta koordynacja w opiece, chociażby POZ, ale także onkologicznej, wzorem Krajowej Sieci Onkologicznej, która dzisiaj zostaje podpisana oficjalnie, jest istotnym elementem poprawy jakości w systemie ochrony zdrowia w Polsce. Dzisiaj pacjent jest w nim zagubiony i pozostawiony sam sobie. Oczywiście robimy, zarówno koledzy z opieki specjalistycznej, jak i lekarze POZ, co możemy, żeby tak nie było. Natomiast systemowo moglibyśmy tutaj wprowadzić więcej. Jest mechanizm, który daje Ustawa o Podstawowej Opiece Zdrowotnej z 27 października 2017 r., gdzie zdefiniowano zespół lekarza rodzinnego, w którym to zespole poza nim samym, pielęgniarką i położną POZ jest okresowo psycholog, dietetyk i koordynator. Teraz trzeba zapisać w ustawie koordynatora na stałe, a nie okresowo. Bo potrzeby koordynacyjne będą nie tylko w chorobach autoimmunologicznych, ale we wszystkich chorobach. Musimy stopniowo pokonywać bariery dla koordynowanej opieki. Podstawowym problemem jest to, że żeby wprowadzać opiekę koordynowaną, to należałoby także wprowadzić pewne regulacje w ambulatoryjnej opiece specjalistycznej (AOS) w aspekcie współpracy z lekarzem POZ. Bez tego typu regulacji specjaliści niekoniecznie muszą być zainteresowani dobrą współpracą z lekarzem podstawowej opieki zdrowotnej. Wysycenie ambulatoryjnej opieki specjalistycznej jest bardzo różne w zależności od regionu Polski. W dużych miastach ta opieka koordynowana będzie funkcjonowała dobrze. Natomiast poza dużymi miastami, sytuacja wygląda zupełnie inaczej. Tam trudno dostać się do specjalisty. Jako dyrektor sporego podmiotu POZ, który operuje w okolicach Warszawy, spodziewałbym się, że skoro jest wdrażana opieka koordynowana, to wielu kolegów specjalistów będzie zainteresowanych współpracą. Niestety,

takiego zainteresowania nie ma. Ale to jest jedna z przyczyn. Następną przyczyną, to jest nieadekwatna wycena świadczeń w ramach opieki koordynowanej. Bo jeżeli za wizytę specjalistyczną specjalista dostaje jedną trzecią, co uzyska w gabinecie prywatnym, to nie będzie zainteresowany współpracą. Obecnie realizacja koordynacji opieki wynika przede wszystkim z dobrych relacji międzyludzkich, które są przez lata uformowane. Poza tym, jako trzecia i może najważniejsza przeszkoda, to oczywiście obciążenie POZ, braki kadrowe i nieustanne zarządzanie kryzysowe. Obecnie, na wizytę lekarz POZ ma dziesięć-piętnaście minut. Konkludując, uważam, że wprowadzając nowe narzędzia, pewne drobne zmiany systemowe i niewielkie zmiany dotyczące narzędzi, usprawnimy proces diagnostyki chorób autoimmunologicznych na wczesnym etapie. Oczywiście na wczesnym etapie ta choroba się nie kończy i współpraca pomiędzy lekarzem POZ, a specjalistą jest potrzebna.

Dr Jakub Gierczyński, Ekspert systemu ochrony zdrowia

Odnotowujemy wzrost zapadalności na choroby autoimmunologiczne, co implikuje optymalizację opieki nad tymi chorymi. Pacjenci potrzebują poprawy dostępu do wczesnej diagnostyki i skutecznego leczenia. Od lat wzorcem modelu opieki jest opieka pediatryczna nad chorym na cukrzyce typu 1 w Polsce. Widzimy także znaczącą poprawę opieki nad chorymi z łuszczycą i AZS, chorobami reumatologicznymi i zapalnymi jelit oraz stwardnieniem rozsianym. Nowe nadzieje pojawiają się dla chorych na miastenię gravis. W latach 2019-2023 poprawia się sukcesywnie dostęp refundacyjny do terapii lekowych stosowanych w leczeniu chorób autoimmunologicznych. W 2021 r. na zrefundowanych 68 nowych cząsteczko-wskazań ogółem 6 dotyczyło chorób autoimmunologicznych, takich jak: stwardnienie rozsiane, AZS, ŁZS, ZZSK, SpA i łuszczycy. W 2022 r. na zrefundowanych 115 nowych cząsteczko-wskazań leków 25 dotyczyło chorób autoimmunologicznych, takich jak: stwardnienie rozsiane, łuszczycy, AZS, RZS, ZZSK, ŁZS. Od stycznia 2023 r. zrefundowano 42 nowych cząsteczko-wskazań, a w zakresie terapii chorób autoimmunologicznych – 4 nowych cząsteczko-wskazań w łuszczycy. Należy podkreślić, że gwarancją pozytywnych zmian w zakresie chorób autoimmunologicznych jest adekwatne finansowanie systemu ochrony zdrowia w Polsce. Polska przeznaczyła na ochronę zdrowia w 2020 r. 1 600 Euro PPP na głowę mieszkańca, gdy średnia dla Unii Europejskiej wyniosła 3 200 Euro PPP.



Rok 2023 to następny rok aktywnych działań Medycznej Racji Stanu. Na stronie <https://medycznaracjastanu.pl/raporty/> jest już opublikowanych 26 raportów przekrojowych, a ten raport będzie dwudziesty siódmy. W sumie ponad 200 osób z różnych stron sektora ochrony zdrowia i sektora opieki społecznej współtworzyło te opracowania, Pokazuje to ważność i interdyscyplinarność poruszanych tematów i problemów.

4. Wnioski i rekomendacje

Wnioski	Rekomendacje
Choroby autoimmunologiczne to grupa ponad 80 chorób, w których układ immunologiczny organizmu niszczy własne komórki i tkanki. Cechą chorób autoimmunologicznych jest to, że pojawiają	Rekomendowana jest: <ul style="list-style-type: none"> • szybka diagnoza chorób autoimmunologicznych • wczesny dostęp pacjentów do skutecznych terapii zarejestrowanych w Unii

<p>się przed 30. rokiem życia, a 75% chorych to kobiety. Do chorób autoimmunologicznych należy wiele jednostek chorobowych, które mogą obejmować różne narządy i układy w organizmie: przewód pokarmowy, układ nerwowy, tkankę łączną, skórę czy też gruczoły wydzielania wewnętrznego.</p>	<p>Europejskiej zawartych w standardach klinicznych.</p> <ul style="list-style-type: none"> • wprowadzenie modelu opieki kompleksowej sprawowanej przez zespół interdyscyplinarnych specjalistów: lekarzy, pielęgniarek i psychologów.
<p>W 2021 r. na zrefundowanych 68 nowych cząsteczko-wskazań ogółem 6 dotyczyło chorób autoimmunologicznych, takich jak: stwardnienie rozsiane, AZS, ŁZS, ZZSK, SpA i łuszczyca. W 2022 r. na zrefundowanych 115 nowych cząsteczko-wskazań leków 25 dotyczyło chorób autoimmunologicznych, takich jak: stwardnienie rozsiane, łuszczyca, AZS, RZS, ZZSK, ŁZS. Od stycznia 2023 r. zrefundowano 42 nowych cząsteczko-wskazań, a w zakresie terapii chorób autoimmunologicznych – 4 nowych cząsteczko-wskazań w łuszczycy.</p>	<p>Rekomendowane jest utrzymanie szybkiej refundacji rejestrowanych nowych leków oraz nowych wskazań leków w chorobach autoimmunologicznych, przy mniej restrykcyjnych kryteriach programów lekowych oraz właściwej wycenie świadczeń w programach lekowych.</p>
<p>Choroby autoimmunologiczne poprzez progresję i inwalidyzację pacjentów generują znaczące koszty pośrednie wynikające z utraty produktywności.</p>	<p>Rekomendowane jest liczenie kosztów pośrednich każdej z chorób autoimmunologicznych w oparciu o dostęp do aktualnych i wiarygodnych danych.</p>
<p>Toczeń rumieniowaty układowy (TRU) to choroba autoimmunologiczna, która dotyczy chorych w wieku między 16. a 55. r.ż. i prowadzi do przewlekłego stanu zapalnego wielu tkanek i narządów, a umieralność wśród chorych na TRU jest 3 razy większa, niż w populacji ogólnej.</p>	<p>Rekomendowana jest refundacja anifrolumabu, jako leczenie uzupełniające u dorosłych pacjentów z aktywnym, seropozytywnym toczniem rumieniowatym układowym o postaci umiarkowanej do ciężkiej, pomimo stosowania standardowego leczenia.</p>
<p>Nieswoiste zapalenia jelit (NZJ) to choroby zapalne przewodu pokarmowego o przewlekłym charakterze, rozwijające się w jelicie cienkim lub grubym. Za najczęstsze w tej grupie uważa się wrzodziejące zapalenie jelita grubego oraz chorobę Leśniowskiego-Crohna.</p>	<p>Rekomendowane jest wprowadzenie szybszej diagnostyki i włączania do programu lekowego na wcześniejszym etapie choroby oraz kontynuacja programu lekowego tak długo, jak jest to konieczne.</p>
<p>Miastenia gravis jest chorobą autoimmunologiczną, której przebieg kliniczny charakteryzują duża zmienność objawów. Nasilenie objawów waha się od łagodnych objawów ocznych, po zagrażający życiu stan, jakim jest przełom miasteniczny.</p>	<p>Rekomendowana jest refundacja publiczna rawulizumabu, jako terapii dodatkowej do standardowego leczenia dorosłych pacjentów z uogólnioną miastenią gravis (gMG), u których występują przeciwciała przeciw receptorowi acetylocholino.</p>
<p>W leczeniu pacjentów z SM, czas odgrywa kluczową rolę, dlatego istotne jest zatrzymanie rozwoju choroby przez włączenie skutecznego leczenia jak najszybciej po postawieniu diagnozy.</p>	<p>Rekomendowana jest refundacja publiczna okrelizumabu w pierwszej linii leczenia oraz natalizumabu w formie podskórnej w ramach programu lekowego B.29.</p>

<p>We wszystkich zapalnych chorobach reumatycznych istotne jest jak najwcześniejsze rozpoznanie i włączenie skutecznego leczenia. Kompleksowa opieka nad pacjentem z zapaleniem stawów wymaga opracowania przez ekspertów ścieżki diagnostyczno-terapeutycznej pacjenta pozwalającej na wczesną diagnostykę i umożliwienie wczesnego rozpoczęcia skutecznej terapii.</p>	<p>Rekomendowane jest:</p> <ul style="list-style-type: none"> • wdrożenia pilotażu kompleksowej opieki specjalistycznej nad pacjentami z wczesnym zapaleniem stawów • umożliwienie dostępu do terapii w ramach programów lekowych pacjentów z umiarkowaną aktywnością choroby zapalnej stawów.
<p>Atopowe zapalenie skóry (AZS) jest przewlekłą i nawrotową chorobą, która związana jest z szeregiem schorzeń współistniejących i powikłań oraz znacząco obniża jakość życia.</p>	<p>Rekomendowane jest złagodzenie kryteriów programu lekowego o postać umiarkowaną AZS.</p>

5. Kluczowe informacje przy gotowane na debatę przez Medyczną Rację Stanu z zakresu chorób autoimmunologicznych.

Poniżej przedstawiono wybrane obszary terapeutyczne z zakresu chorób autoimmunologicznych w Polsce.

Atopowe zapalenie skóry

Atopowe zapalenie skóry (AZS) jest przewlekłą, nawrotową i nieuleczalną dermatozą, która występuje zarówno u dzieci, jak i dorosłych. Do rozwoju tej choroby dochodzi wskutek współdziałania czynników genetycznych, środowiskowych, uszkodzenia bariery skórnej i zaburzeń układu immunologicznego. AZS związane jest z szeregiem schorzeń współistniejących i powikłań, do których zalicza się m. in. się m. in. wyprysk rąk i powiek, częste i nawracające zakażenia skóry (bakteryjne, wirusowe, grzybicze), alergiczny nieżyt nosa, astmę, nietolerancję pokarmową czy choroby oczu, w tym zaćmę oraz zapalenia spojówek i rogówki. Te ostatnie, jeśli mają charakter przewlekły, mogą prowadzić do upośledzenia wzroku.

Atopowe zapalenie skóry to choroba, która upośledza funkcjonowanie zarówno w życiu społecznym, jak i zawodowym. W najtrudniejszej sytuacji są dorośli pacjenci z ciężkim przebiegiem AZS, którzy doświadczają uczucia świądu i bólu przez 24 godziny na dobę, 7 dni w tygodniu. Wyczerpali oni już wszystkie możliwości terapeutyczne dostępne w Polsce, czyli leczenie objawowe polegające na stosowaniu miejscowych glikokortykosteroidów (mGKS) lub miejscowych inhibitorów kalcyneuryny (mIK), które w ich przypadku okazały się nieskuteczne, a choroba powróciła ze zdwojoną siłą. Jedynym ratunkiem dla tej grupy chorych jest dupilumab, wysoce skuteczne przeciwciało monoklonalne, które w krótkim czasie pozwala zredukować uciążliwy świąd i przejąć kontrolę nad chorobą. Na tę terapię czekają w Polsce zarówno pacjenci jak i lekarze. Istnieje wyraźna potrzeba indywidualizacji leczenia chorych z AZS. Choroba ta odznacza się wysokim stopniem stygmatyzacji społecznej i dodatkowo ma swoje potężne konsekwencje finansowe w związku z dodatkowymi kosztami pośrednimi. Dostosowanie odpowiedniej terapii dla każdego pacjenta ma tutaj kluczowe znaczenie.

Koszty leczenia chorych na AZS są istotne. Na podstawie danych NFZ szacować można, że roczny koszt leczenia jednego chorego wynosił w 2017 roku od 155 PLN do 394 PLN (w zależności od województwa). Wskazane koszty zostały przedstawione z perspektywy NFZ, nie obejmuje ona kosztów ponoszonych przez pacjentów, w tym przykładowo kosztu emolientów, prywatnych konsultacji z lekarzami. Główną kategorię kosztową stanowi ambulatoryjna opieka specjalistyczna, jednak koszt hospitalizacji można uznać za porównywalny. Zgodnie z raportem European Federation of Allergy and Airways (EFA) z 2018 r., jedynie 5% pacjentów z AZS nie ponosi dodatkowych kosztów związanych z chorobą. Średni koszt ponoszony przez pacjenta wynosił aż 927,12 EUR rocznie. W Polsce należy zwrócić uwagę na kolejny problem – związany z dostępem do lekarzy. Do wskazanych kosztów należy zatem dodać koszt wizyt lekarskich finansowanych przez chorych z powodu utrudnionego dostępu do świadczeń ambulatoryjnych finansowanych z budżetu płatnika publicznego. W raporcie oceniającym sytuację chorych na AZS wskazano, że aż 35% badanych korzystało wyłącznie z leczenia prywatnego, zaś 7% z abonamentów lub dodatkowych ubezpieczeń. Leczenie mieszane częściowo na NFZ, a częściowo prywatnie realizowało 40% respondentów. Zaledwie 20% badanych korzystało wyłącznie z opieki finansowanej przez płatnika publicznego.³ W chwili obecnej, dostęp do terapii innowacyjnej mają pacjenci z ciężką postacią choroby, natomiast korzyści kliniczne z terapii mogłyby odnieść również pacjenci z umiarkowaną postacią choroby, gdyby można było zastosować u nich terapię innowacyjną. Najnowszą opcją terapii AZS jest barycytynib, selektywny inhibitor kinaz JAK1 i JAK2. Barycytynib został zarejestrowany w Unii Europejskiej w leczeniu AZS o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego w dniu 16 września 2020 r.⁴ Jest to pierwszy celowany lek syntetyczny w formie doustnej, co jest bardzo ważne w dobie pandemii COVID-19 oraz ambulatoryzacji opieki medycznej w Polsce. Jego skuteczność i bezpieczeństwo zostały potwierdzone w badaniach randomizowanych. Od listopada 2022 r. barycytynib i upadacitinib zostały zrefundowane w ramach programu lekowego B.124. LECZENIE CHORYCH Z CIĘŻKĄ POSTACIĄ ATOPOWEGO ZAPALENIA SKÓRY (ICD-10: L20) dla pacjentów od 18. roku życia z ciężką postacią atopowego zapalenia skóry (EASI \geq 20), upadacitinib dla młodzieży w wieku 12-17 lat, a dupilumab dla dzieci w wieku 6-11 lat. Klinicyści i pacjenci wnioskuje o złagodzenie kryteriów programu lekowego o postać umiarkowaną AZS, tak jak to wprowadzono od 1 marca 2023 r. w programie lekowym B.47. LECZENIE UMIARKOWANEJ I CIĘŻKIEJ POSTACI ŁUSZCZYCY PLACKOWATEJ (ICD-10: L40.0).

Łuszczyca

Łuszczyca plackowata, jako przewlekła ogólnoustrojowa choroba zapalna, związana jest z występowaniem chorób współistniejących takich jak: łuszczycowe zapalenie stawów, zespół metaboliczny, otyłość czy depresja. Co ważne, każde zaostrzenie występujące w przebiegu łuszczycy wiąże się u chorych również z pogorszeniem chorób współistniejących. Łuszczyca ma zatem wpływ na cały organizm. Ma też bardzo negatywny wpływ na zdrowie psychiczne pacjentów, ponieważ ze względu na zmiany skórne i niepełnosprawność, która może być wynikiem ŁZS, jest chorobą silnie stygmatyzującą. Choroba u większości pacjentów ma ogromny wpływ na wszystkie obszary życia – od rodzinnego po zawodowe. Jest chorobą, która determinuje całe życie chorego. Ważne zatem, aby w leczeniu łuszczycy lekarze mieli możliwość indywidualizacji terapii i dostosowania jej do potrzeb

³ <https://e-medycyna.pl/wp-content/uploads/2021/04/Atopowe-Zapalenie-Skory-Raport.pdf>

⁴ <https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/h1170.htm>

danego chorego, tak aby w możliwie największym stopniu wyeliminować wpływ choroby na życie pacjenta. Aktualnie w programie lekowym B.47. LECZENIE UMIARKOWANEJ I CIĘŻKIEJ POSTACI ŁUSZCZYCY PLACKOWATEJ (ICD-10: L40.0) refundowanych jest 11 substancji czynnych, a od 1 marca 2023 r. nastąpiły szerokie zmiany realizujące w pełni postulaty klinicystów i pacjentów. Rozszerzono wskazania refundacyjne o umiarkowaną postać łuszczycy plackowatej dla leków dotychczas dostępnych w ciężkiej postaci łuszczycy, zniesiono limit czasu leczenia oraz obniżono wiek leczenia adalimumabem do pacjentów powyżej 4 roku życia i leczenia ustekinumabem, iksekizumabem, sekukinumabem do pacjentów powyżej 6 roku życia. Dodatkowo wprowadzono monitorowanie skuteczności leczenia przez Zespół Koordynacyjny, możliwość przeprowadzenia wizyty w programie w formie zdalnej konsultacji oraz uregulowano sprawę leczenia w warunkach domowych.

Reumatoidalne Zapalenie Stawów i Młodzieńcze Idiopatyczne Zapalenie Stawów

Autorzy raportu pt. „Mapa najgroźniejszych zapalnych chorób reumatycznych. Droga pacjenta od objawów do rozpoznania” sygnalizują, że jeszcze w tym roku – pacjent, którego lekarz po raz pierwszy skieruje do reumatologa z podejrzeniem jednej z 15 zapalnych chorób reumatycznych przebiegających z objawami wczesnego zapaleniem stawów – skorzysta – z „szybkiej ścieżki” realizowanej w ramach kompleksowej opieki. Tym samym pacjent skróci swoją drogę od momentu pojawienia się pierwszych objawów rozpoznania choroby o wiele miesięcy, a niekiedy nawet o kilka do kilkunastu lat. Wśród 15 chorób, które zostały zakwalifikowane do nowego projektu świadczenia zdrowotnego „kompleksowej opieki nad pacjentem z wczesnym zapaleniem stawów KOWZS” należy wymienić: odczynowe zapalenie stawów (zespół Reitera), serododatnie reumatoidalne zapalenie stawów, inne reumatoidalne zapalenie stawów, artropatie łuszczycowe i towarzyszące chorobom jelit, łuszczycę stawową, dnę moczanową, inne zapalenie stawów, guzkowe zapalenie tętnic i chorób pokrewnych, zapalenie skórno-mięśniowe, twardzinę układową, tocznia rumieniowatego układowego, inne układowe zajęcia tkanki łącznej, zeszywniające zapalenie stawów kręgosłupa, inne zapalne choroby kręgosłupa i zapalenie mięśni. Na zapalne choroby reumatyczne chorują ludzie młodzi, którzy często łączą pierwsze objawy choroby z niewielkim urazem związanym z ich normalną aktywnością fizyczną, a zapalne bóle kręgosłupa z jego przeciążeniem. W ciągu pierwszych tygodni trwania objawów zapalenia stawów znaczna część chorych nie spełnia kryteriów kwalifikacyjnych i diagnostycznych dla konkretnej choroby reumatycznej. Zapalenie takie określa się jako: wczesne zapalenie stawów, które może rozwinąć się w reumatoidalne zapalenie stawów (RZS) lub inne określone.⁵ Ministerstwo Zdrowia oczekuje, że zmiana pozwoli na szybszą diagnostykę pacjentów, a także poprawi koordynację opieki nad chorymi. Do konsultacji skierowano właśnie projekt rozporządzenia w sprawie pilotażu. Z szacunków resortu wynika, że z modułu diagnostycznego skorzysta nawet 4,5 tys. pacjentów, natomiast z modułu opieki 2,5 tys. Zmiana spojrzenia na organizację opieki nad chorymi z zapalnymi chorobami reumatycznymi - to główny cel wdrożenia pilotażu kompleksowej opieki specjalistycznej nad pacjentami z wczesnym zapaleniem stawów. Pacjenci uczestniczący w pilotażu będą mogli liczyć na trwającą rok opiekę wielospecjalistycznego zespołu. W ramach programu pilotażowego diagnozowani będą wszyscy świadczeniobiorcy z określonym rozpoznaniem ICD-10 oraz z objawami

⁵ Mapa najgroźniejszych zapalnych chorób reumatycznych. Droga pacjenta od objawów do rozpoznania. Raport opracowany przez Narodowy Instytut Geriatrii, Reumatologii i Rehabilitacji w Warszawie, Konsultanta Krajowego w dziedzinie reumatologii, Fundację Eksperti dla Zdrowia. Warszawa, 8 lipca 2022 roku

zapalenia stawów. Program pilotażowy KOWZS składa się z dwóch modułów (Moduł I etap diagnostyczny i Moduł II etap kompleksowej opieki). Do modułu opieki kwalifikowani będą pacjenci jedynie z łuszczycowym zapaleniem stawów (ŁZS), zeszywniającym zapaleniem stawów kręgosłupa (ZZSK), reumatoidalnym zapaleniem stawów (RZS) oraz chorzy z spondyloartropatią (SpA). Pozostali chorzy zostaną skierowani na dalszą diagnostykę i leczenie poza programem pilotażowym.⁶

We wszystkich zapalnych chorobach reumatycznych istotne jest jak najwcześniejsze rozpoznanie i włączenie skutecznego leczenia. Zła organizacja opieki nad pacjentem z zapalną chorobą reumatyczną powoduje opóźnienia diagnostyczne.⁷ Zgodnie z rekomendacjami towarzystw naukowych choroby zapalne stawów powinny być diagnozowane w jak najkrótszym czasie. W przypadku reumatoidalnego zapalenia stawów (RZS) zaleca się postawienie diagnozy maksymalnie w ciągu 12 tygodni od wystąpienia objawów, a w przypadku łuszczycowego zapalenia stawów (ŁZS) - maksymalnie w ciągu 6 miesięcy.⁸ Tyle czasu wynosi tzw. okno możliwości terapeutycznych - *window of opportunity*, pozwalające na zahamowanie postępującej choroby, przy jednoczesnym zachowaniu sprawności pacjenta. Tymczasem w Polsce RZS jest diagnozowane średnio po upływie 35 tygodni, a tylko 10-20% chorych ma ustalone rozpoznanie i włączone leczenie w ciągu 12 tygodni. W przypadku chorych na ŁZS postawienie rozpoznania trwa nawet 7-8 lat. Dlatego istotne jest, aby system ochrony zdrowia promował wczesne rozpoznanie chorób zapalnych stawów. Dzięki takim standardom młodzi ludzie mogą pozostać na rynku pracy i co najważniejsze, nie umierają przedwcześnie z powodu zawałów, udarów i innych schorzeń rozwijających się na podłożu nieleczzonego procesu zapalnego.

Kompleksowa opieka nad pacjentem z zapaleniem stawów wymaga opracowania przez ekspertów ścieżki diagnostyczno-terapeutycznej pacjenta pozwalającej na wczesną diagnostykę i umożliwienie wczesnego rozpoczęcia skutecznej terapii. Indywidualizacja terapii ma tu ogromne znaczenie. Dlatego tak istotne było ujednoczenie i uproszczenie zapisów odpowiednich programów lekowych z udostępnieniem podobnych schematów leczenia. Barycetynyb, selektywny inhibitor kinaz JAK1 i JAK2 jest zarejestrowany w leczeniu czynnego reumatoidalnego zapalenia stawów o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego u dorosłych pacjentów, u których odpowiedź na terapię lekami modyfikującymi przebieg choroby (DMARDs) jest niewystarczająca, lub którzy nie tolerują takiego leczenia.⁹ Barycetynyb jest refundowany publicznie od 1 września 2019 r. w I linii terapii, a od 1 stycznia 2022 r. w II i kolejnych liniach terapii w ramach programu lekowego B.33. LECZENIE AKTYWNEJ POSTACI REUMATOIDALNEGO ZAPALENIA STAWÓW I MŁODZIEŃCZEGO IDIOPATYCZNEGO ZAPALENIA STAWÓW. Duża aktywność choroby powinna być udokumentowana w trakcie dwóch badań lekarskich w odstępie 1-3 miesięcy. Dużą aktywność choroby stwierdza się, gdy jest spełnione jedno z poniższych kryteriów: wartość DAS 28 – większa niż 5,1 albo wartość DAS – większa niż 3,7 albo wartość SDAI – większa niż 26. Jest kluczowe, aby pacjenci mieli dostęp do innowacyjnych metod leczenia już w niskim stopniu zaawansowania chorób zapalnych stawów. Jest duże ryzyko, że pacjenci z umiarkowaną aktywnością choroby, nieleczeni lekami innowacyjnymi (leki biologiczne oraz leki syntetyczne celowane) w niedługim czasie rozwiną bardziej zaawansowane stadium chorobowe z dużą aktywnością

⁶ <https://cowzdrowiu.pl/aktualnosci/post/pilotaz-opieki-nad-pacjentami-z-zapaleniem-stawow-juz-wkrotce>

⁷ <https://www.mzdrowie.pl/medycyna/reumatologia-raport-otwarcia-i-plany-zmian-systemowych/>

⁸ Wczesna diagnostyka chorób reumatycznych – ocena obecnej sytuacji i rekomendacje zmian. IRGiR, 2014
https://spartanska.pl/wp-content/uploads/raport_wczesna_diagnostyka_ChR.pdf

⁹ https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2017/20170213136870/anx_136870_pl.pdf

choroby. Gdy zastosuje się u nich leczenie innowacyjne możliwe jest zatrzymanie choroby i normalne funkcjonowanie. Dlatego klinicyści i pacjenci wnioskuje o umożliwienie dostępu do tych terapii pacjentów z umiarkowaną aktywnością choroby zapalnej stawów.

Stwardnienie rozsiane

Stwardnienie rozsiane (SM) to jedna z najczęściej występujących w światowej populacji chorób układu immunologicznego, która dotyka ośrodkowego układu nerwowego (czyli mózgu i rdzenia kręgowego). Stwardnienie rozsiane ma trzy główne postaci: rzutowo-remisyjną (ang. relapsing-remitting MS, RRMS), pierwotnie postępująca (ang. primary progressive MS, PPMS) oraz wtórnie postępująca (ang. secondary progressive MS, SPMS). SM charakteryzuje się dużą różnorodnością objawów, u każdej osoby z SM mogą pojawiać się inne z nich, o różnym nasileniu i czasie wystąpienia.¹⁰ W Polsce wg szacunków NFZ na SM choruje ok. 45 tys. osób, a co roku przybywa ok. 2 tys. nowych pacjentów.

W leczeniu pacjentów z SM, czas odgrywa kluczową rolę, dlatego istotne jest zatrzymanie rozwoju choroby przez włączenie skutecznego leczenia jak najszybciej po postawieniu diagnozy. Obecnie w ramach programu lekowego B.29 jest leczonych ok. 20 tys. pacjentów w 129 ośrodkach klinicznych, W programie lekowym B.29.LECZENIE CHORYCH NA STWARDNIENIE ROZSIANE (ICD-10: G35) od 1 listopada 2022 r. jest refundowane publicznie leczenie stwardnienia rozsianego 15 substancjami czynnymi: postać rzutowo - remisyjna (RRMS) w I linii leczenia: interferon beta-1a, interferon beta-1b, peginterferon beta-1a, octan glatirameru, fumaran dimetylu, teryflunomid, ozanimod, ponesimod, ofatumumab; postać rzutowo - remisyjna (RRMS) w II linii leczenia: okrelizumab, fingolimod, natalizumab, alemtuzumab, kladrybina; szybko rozwijająca się, ciężka postać choroby (RES RRMS): fingolimod, natalizumab, alemtuzumab, kladrybina; postać pierwotnie postępująca (PPMS): okrelizumab; postać wtórnie postępująca (SPMS): interferon beta-1b, siponimod. Istnieje potrzeba refundacji publicznej okrelizumabu od I linii leczenia postaci rzutowo - remisyjnej stwardnienia rozsianego (RRMS).

Miastenia gravis

Miastenia gravis jest chorobą autoimmunologiczną części postsynaptycznej złącza nerwowo-mięśniowego, której przebieg kliniczny charakteryzują duża zmienność objawów. Nasilenie objawów waha się od łagodnych objawów ocznych, po zagrażający życiu stan, jakim jest przełom miasteniczny. Najważniejszymi objawami miastenii są osłabienie i męczliwość różnych grup mięśniowych. Z reguły choroba zaczyna się od objawów ocznych, takich jak opadanie powieki lub powiek oraz stałe lub nawracające podwójne widzenie. U ponad połowy pacjentów w okresie od kilku dni do 2 lat od wystąpienia objawów ocznych dochodzi do uogólnienia objawów. Dochodzi wtedy do, zaburzeń mowy, gryzienia i połykania, osłabienia mięśni kończyn górnych i dolnych, osłabienia mięśni oddechowych prowadząc do duszności w związku z wysiłkiem fizyczny, czy nawet do niewydolności oddechowej. Algorytm postępowania terapeutycznego w miastenii nie jest jednoznacznie zdefiniowany, a decyzje terapeutyczne powinny uwzględniać nasilenie objawów, wiek czy inne problemy zdrowotne pacjenta. Aktualnie dostępna w Polsce standardowa terapia obejmująca steroidy, immunosupresanty, czy leki immunomodulujące może nie być wystarczająca do trwałej kontroli objawów choroby, a dodatkowo

¹⁰ <https://ptsr.org.pl/strona/4,czym-jest-sm>

może wiązać się z obciążającymi działaniami niepożądanymi. Nieprawidłowa aktywacja układu dopełniacza jest jednym z mechanizmów patogenezy u pacjentów z miastenią. U większości pacjentów z MG (ok. 85%) występują przeciwciała przeciw receptorowi acetylocholin (ang. anti-acetylcholine receptor, AChR). Wiązanie przeciwciał anty-AChR prowadzi do aktywacji klasycznej kaskady układu dopełniacza, utworzenia kompleksu atakującego błonę (MAC, ang. membranę attack complex), a w konsekwencji zniszczenia błony postsynaptycznej złącza nerwowo-mięśniowego. Rawulizumab to przeciwciało monoklonalne, które w sposób swoisty wiąże się z białkiem C5 dopełniacza, hamując w ten sposób jego rozkład na białko C5a i C5b, zapobiegając utworzeniu kompleksu atakującego błonę, który to u pacjentów z miastenią powstaje na połączeniu nerwowo-mięśniowym i prowadzi do upośledzenia przewodzenia nerwowo-mięśniowego. To pierwszy i jak do tej pory jedyny zarejestrowany przez EMA w 2019 r. długodziałający inhibitor C5, który zapewnia szybką, kompletną i długotrwałą inhibicję układu dopełniacza.¹¹ Rawulizumab wskazany jest do stosowania jako terapia dodatkowa do standardowego leczenia dorosłych pacjentów z uogólnioną miastenią gravis (gMG), u których występują przeciwciała przeciw receptorowi acetylocholin. Rawulizumab, dzięki celowanemu mechanizmowi działania i hamowaniu nieprawidłowej aktywności układu dopełniacza, zapewnia wczesne i długotrwałe leczenie gMG anty-AChR bez uciążliwych działań niepożądanych często obserwowanych w przypadku innych metod leczenia. Leczenie rawulizumabem charakteryzuje się przewidywalnym i korzystnym schematem dawkowania. Lek podawany jest w infuzji dożylniej co 8 tygodni w fazie podtrzymującej leczenia, co przekłada się na jedynie 6-7 podań w ciągu toku. Skuteczność i bezpieczeństwo rawulizumabu w leczeniu pacjentów z gMG i any-AChR oceniana była w ramach wieloośrodkowego, randomizowanego, podwójnie zaślepionego badania klinicznego III fazy CHAMPION MG. Dodatkowo długoterminowa skuteczność rawulizumabu została potwierdzona w przedłużonej fazie badania. U pacjentów z gMG wykazano istotną klinicznie poprawę w zakresie objawów miastonii w skali oceny czynności dnia codziennego w miastonii (ang. Myasthenia Gravis Activities of Daily Living, MG-ADL) oraz w ilościowej skali oceny nasilenia klinicznych objawów miastonii (QMG), a także w zakresie jakości życia. Poprawa wyników następowała już po 1 tygodniu od rozpoczęcia leczenia i utrzymywała się w ciągu całego okresu obserwacji. Jednocześnie stosowanie rawulizumabu pozwoliło na ograniczenie stosowania kortykosteroidów u pacjentów z gMG. Terapia rawulizumabem charakteryzowała się także korzystnym profilem bezpieczeństwa. Szybki początek działania leku i długi odstęp pomiędzy kolejnymi dawkami odróżnia rawulizumab od innych terapii stosowanych w leczeniu miastonii. Dla pacjentów z gMG szybka poprawa w zakresie MG-ADL odzwierciedla zdolność do szybkiego odzyskania sprawności w rutynowych czynnościach. Trwała skuteczność rawulizumabu, w tym korzystny wpływ na zmniejszenie częstości występowania pogorszenia stanu klinicznego i stosowania terapii ratunkowej może zmniejszyć obciążenie chorobą. Trwała poprawa kliniczna osiągnięta dzięki stałemu i przewidywalnemu dawkowaniu pomaga radzić sobie z nieprzewidywalnością przewlekłej, zmiennej choroby i obciążeniem związanym z chorobą i może prowadzić do zwiększenia aktywności pacjentów oraz ich opiekunów.

¹¹ <https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/h1371.htm>

Nieswoiste zapalenia jelit: wrzodziejące zapalenie jelita grubego oraz choroba Leśniowskiego-Crohna

Nieswoiste zapalenia jelit (NZJ) to choroby zapalne przewodu pokarmowego o przewlekłym charakterze, rozwijające się w jelicie cienkim lub grubym. Za najczęstsze w tej grupie uważa się wrzodziejące zapalenie jelita grubego (WZJG) oraz chorobę Leśniowskiego-Crohna (Ch L-C). Szacuje się, że w Polsce na NZJ choruje nawet do 50 tys. osób, w tym 10-15 tys. na chorobę Leśniowskiego-Crohna (Ch L-C) i 35-40 tys. na wrzodziejące zapalenie jelita grubego (WZJG).¹² Leczenie NZJ zależy od stopnia nasilenia objawów. W przypadku, gdy leczenie klasycznymi lekami jest niewystarczające, konieczna jest intensyfikacja terapii. Taką możliwość stwarzają leki biologiczne dostępne w programach lekowych. Niestety ta forma leczenia ma swoje ograniczenia wynikające z limitu czasu uczestniczenia w ww. programach do roku (WZJG) lub dwóch lat (Ch L-C). Po upływie tego czasu pacjenci nie mogą kontynuować refundowanego leczenia biologicznego, co niekiedy z upływem czasu może skutkować pogorszeniem stanu ich zdrowia. Chorzy mogą ponownie zostać włączeni do programu lekowego dopiero wówczas, gdy nastąpi nawrót choroby i ciężkie nasilenie jej objawów. Pacjenci i lekarze apelują o wprowadzenia szybszej diagnostyki i włączenia do programu lekowego na wcześniejszym etapie choroby; kontynuacji programu lekowego tak długo, jak jest to konieczne, o czym powinien decydować lekarz w porozumieniu z pacjentem; włączenia do leczenia w ramach programów lekowych wszystkich tych pacjentów, którzy zgodnie z uznanymi międzynarodowymi wytycznymi, mają wskazania do zastosowania leku biologicznego oraz skutecznej edukacji na temat programów lekowych, jako opcji terapeutycznej.

Śródmiąższowa choroba płuc związana z twardziną układową

Śródmiąższowa choroba płuc w przebiegu twardziny układowej to przewlekła choroba płuc powodująca bliznowacenie tkanek (włóknienie) i/lub stan zapalny, które tworzą się w ścianach pęcherzyków płucnych pacjentów ze sklerodermią.¹³ Jest ona główną przyczyną śmiertelności wśród chorych na twardzinę układową, odpowiadającą za około 35% zgonów związanych z tą chorobą.¹⁴ Od lipca 2022 r. jest refundowana publicznie pierwsza celowana terapia dla pacjentów z chorobą śródmiąższową płuc związaną z twardziną układową - nintedanib w ramach programu lekowego B.135. LECZENIE NINTEDANIBEM CHOROBY ŚRÓDMIĄŻSZOWEJ PŁUC ZWIĄZANEJ Z TWARDZINĄ UKŁADOWĄ (ICD-10: M34, J.99.1).

Toczeń Rumieniowaty Układowy

Toczeń rumieniowaty układowy (TRU) to choroba autoimmunologiczna, która rozwija się w wyniku złożonych zaburzeń układu odpornościowego, prowadząc do przewlekłego stanu zapalnego wielu

¹² Raport „Analiza kosztów ekonomicznych i społecznych ze szczególnym uwzględnieniem choroby Leśniowskiego-Crohna i wrzodziejącego zapalenia jelita grubego”; 2017 rok; Instytut Zarządzania w Ochronie Zdrowia, Uczelnia Łazarskiego. Raport dostępny jest na: https://izwoz.lazarski.pl/fileadmin/user_upload/Raport_-_Gastroenterologia_-_scalony.pdf

¹³ Pulmonary Fibrosis Foundation. Scleroderma-associated interstitial lung disease (SSc-ILD). Dostępne na stronie: [https://www.pulmonaryfibrosis.org/docs/default-source/disease-education-brochures/pf-fact-sheet-series---ssc-ild-digital.pdf?sfvrsn=ae99918d_2\(link is external\)](https://www.pulmonaryfibrosis.org/docs/default-source/disease-education-brochures/pf-fact-sheet-series---ssc-ild-digital.pdf?sfvrsn=ae99918d_2(link%20is%20external))

¹⁴ Tyndall AJ i wsp. Causes and risk factors for death in systemic sclerosis: a study from the EULAR Scleroderma Trials and Research (EUSTAR) database. *Ann Rheum Dis* 2010;69:1809–1815.

tkanek i narządów¹⁵. TRU to choroba autoimmunologiczna, w której układ odpornościowy atakuje zdrową tkankę¹⁶. W Europie na TRU choruje około 250 000 osób, większość z nich to kobiety, u których rozpoznanie stawiane jest pomiędzy 15 a 45 rokiem życia¹⁷. Blisko 2/3 zachorowań występuje między 16. a 55. r.ż. Umieralność wśród chorych na TRU jest 3 razy większa niż w populacji ogólnej. Przyczyną zgonu we wczesnym okresie choroby są najczęściej zakażenia oraz ciężkie zmiany narządowe (zajęcie ośrodkowego układu nerwowego, układu sercowo-naczyniowego, ostre toczniowe zapalenie płuc, ciężka nefropatia), a później – powikłania leczenia (zakażenia), następstwa przyspieszonej miażdżycy oraz zakrzepicą. Za mające wpływ na rozwój tocznia uznawane są czynniki: genetyczne, hormonalne, środowiskowe i złożone zaburzenia immunologiczne, w tym wyróżnia się: infekcje wirusowe (przypisuje się im największe znaczenie), stosowanie leków, promieniowanie słoneczne, styl życia. Objawy ogólne, występujące zwykle u 50-100% chorych, obejmują: osłabienie, męczliwość, stan podgorączkowy lub gorączkę, utratę masy ciała. Rozwojowi TRU sprzyjają także: depresja, niedokrwistość, miopatia spowodowana przewlekłym przyjmowaniem glikokortykosteroidów (GKS) i zakażenia. Najbardziej charakterystyczne/najczęstsze objawy tocznia dotyczą skóry (rumień na twarzy w kształcie motyla, lub rumień pojawiający się na innych częściach ciała, np. pod wpływem słońca) oraz stawów (ból stawów).¹⁸.

Objawy tocznia nie są charakterystyczne, u każdego pacjenta choroba może przebiegać inaczej, dlatego rozpoznanie TRU może trwać długo. Konieczne jest zróżnicowanie objawów TRU od innych jednostek chorobowych. Toczeń jest trudny do leczenia z powodu różnorodnego przebiegu¹⁹. Konieczne jest zróżnicowanie objawów TRU od innych jednostek chorobowych, m.in. innych chorób autoimmunologicznych, chorób krwi, zakażeń czy trądziku różowatego (Musiał, 2021). Rozpoznanie TRU powinno być ustalane na podstawie typowych objawów klinicznych oraz wyników badań pomocniczych (zgodnie z kryteriami klasyfikacyjnymi TRU z 2019 r., opracowanymi przez American College of Rheumatology (ACR) i European League Against Rheumatism (EULAR), m.in. badań krwi, celem potwierdzenia obecności przeciwciał ANA (miano przeciwciał przeciwjądrowych > 1:80 w teście na ludzkich komórkach nabłonkowych)²⁰.

Celem leczenia TRU jest kontrola objawów pacjenta i poprawa jakości życia, w tym minimalizacja uszkodzeń narządów oraz ograniczenie śmiertelności²¹. Obecnie w ramach terapii tocznia wykorzystywane są leki przeciwmalaryczne, immunosupresyjne oraz glikokortykosteroidy, których stosowanie wiąże się z ryzykiem występowania poważnych skutków ubocznych. Rozwiązaniem jest

¹⁵ Musiał J, Hruby Z. 3. Toczeń rumieniowaty układowy. W: Interna Musiał 2021a. VII Choroby reumatyczne. D. Choroby tkanki łącznej. Medycyna Praktyczna Kraków 2021; 2065- 2075.

¹⁶ Bruce IN, et al. Factors associated with damage accrual in patients with systemic lupus erythematosus: results from the systemic lupus international collaborating Clinics (SLICC) inception cohort. *Ann Rheum Dis.* 2015; 74: 1706-1713.

¹⁷ Cornet A, et al. Living with systemic lupus erythematosus in 2020: a European patient survey. *Lupus Sci Med.* 2021; 8: e000469.

¹⁸ Musiał J, Hruby Z. 3. Toczeń rumieniowaty układowy. W: Interna Musiał 2021a. VII Choroby reumatyczne. D. Choroby tkanki łącznej. Medycyna Praktyczna Kraków 2021; 2065- 2075.

¹⁹ Daca A, Bryl E. Toczeń rumieniowaty układowy — kryteria diagnostyczne i kliniczne skale oceny aktywności choroby — rys historyczny. *Forum Medycyny Rodzinnej* 2013; 7(5): 225-243

²⁰ Aringer M, et al. 2019 European League Against Rheumatism/American College of Rheumatology Classification Criteria for Systemic Lupus Erythematosus. *Arthritis Rheumatol.* 2019;71(9):1400-1412.

²¹ Kaul A. i wsp. Toczeń rumieniowaty układowy. *Nature Reviews Disease Primer*, tom 2, czerwiec 2016

zastosowanie leczenia biologicznego – anifrolumabu, w ramach terapii uzupełniającej, które jest jednak wciąż niedostępne dla polskich pacjentów. Standardy opieki nad chorymi z TRU w ciągu ostatnich 60 lat nie uległy bardzo radykalnej zmianie²². Leczenie toczenia, z uwagi na przebieg tej jednostki, ma charakter zindywidualizowany i uwzględnia w dużej mierze zakres i lokalizację zmian²³. Zgodnie z aktualnymi wytycznymi praktyki klinicznej leczenie TRU powinno skutkować remisją lub niską aktywnością choroby, a także zapobiegać jej zaostrzeniom, przy stosowaniu najniższych skutecznych dawek glikokortykosteroidów²⁴. W przypadku stosowania glikokortykosteroidów u około 70% chorych dochodzi do ponownego zaostrzenia choroby, mimo osiągnięcia wstępnego stanu remisji lub małej aktywności choroby²⁵. Stosowanie glikokortykosteroidów prowadzi do uszkodzenia narządów, które są już dotknięte w następstwie toczącej się choroby²⁶. Mimo stosowania dostępnego leczenia, TRU cechuje wysoki wskaźnik chorobowości, co wpływa negatywnie na jakość życia chorych, a dodatkowo zwiększa wykorzystanie zasobów opieki zdrowotnej²⁷. Istnieje nowoczesne leczenie biologiczne – anifrolumab, możliwe do stosowania w ramach leczenia uzupełniającego (może być dodane do już istniejącego schematu leczenia chorego, pozwalając osiągnąć remisję lub niską aktywność choroby oraz zapobiec zaostrzeniom z użyciem najniższych skutecznych dawek glikokortykosteroidów)²⁸. Anifrolumab jest w pełni ludzkim przeciwciałem monoklonalnym, które wiąże się z podjednostką 1 receptora IFN typu I, blokując aktywność biologiczną IFN typu I²⁹ oraz pierwszym nowym lekiem od ponad 10 lat w terapii toczenia rumieniowatego układuowego. Od lat nie odnotowano żadnego przełomu w leczeniu toczenia, ponieważ nadal w pełni nie rozumiemy patogenezę tej choroby³⁰. W Polsce na ten moment, w odróżnieniu od większości krajów EU, nie ma dostępu do leczenia biologicznego toczenia. W stanowisku Polskiego Towarzystwa Reumatologicznego z dnia 22 czerwca 2022 r. wyrażono nadzieję na objęcie refundacją leczenia anifrolumabem, który stanowi terapię oczekiwaną zarówno przez pacjentów, jak i lekarzy (PTR 2022). Anifrolumab w 2022 r. został zarejestrowany w Unii Europejskiej jako leczenie uzupełniające u dorosłych pacjentów z aktywnym, seropozytywnym toczeniem rumieniowatym układuowym o postaci umiarkowanej do ciężkiej, pomimo stosowania standardowego

²² Dominik Samotij, Leczenie toczenia rumieniowatego układuowego — wyzwania i perspektywy na przyszłość. Forum Dermatologicum 2018, tom 4, nr 2, 70–77.

²³ Gordon C, Amissah-Arthur MB, Gayed M, et al. The British Society for Rheumatology guideline for the management of systemic lupus erythematosus in adults. Rheumatology (Oxford). Jan 1 2018;57(1):e1-e45.

²⁴ Gordon C, Amissah-Arthur MB, Gayed M, et al. The British Society for Rheumatology guideline for the management of systemic lupus erythematosus in adults. Rheumatology (Oxford). Jan 1 2018;57(1):e1-e45.

²⁵

https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2022/112/AW/112%20AW%20OT.4231.64.2022%20Saphnelo%20APD_REOPTR.pdf

²⁶ Dominik Samotij, Leczenie toczenia rumieniowatego układuowego — wyzwania i perspektywy na przyszłość. Forum Dermatologicum 2018, tom 4, nr 2, 70–77.

²⁷ Ibidem

²⁸ Fanouriakis A, Kostopoulou M, Alunno A, Aringer M, Bajema I, Boletis JN, Cervera R, Doria A, Gordon C, Govoni M, Houssiau F, Jayne D, Kouloumas M, Kuhn A, Larsen JL, Lerström K, Moroni G, Mosca M, Schneider M, Smolen JS, Svenungsson E, Tesar V, Tincani A, Troldborg A, van Vollenhoven R, Wenzel J, Bertsias G, Boumpas DT. 2019 update of the EULAR recommendations for the management of systemic lupus erythematosus. Ann Rheum Dis. 2019;78(6):736-745.

²⁹ Furie R, et al. Anifrolumab, an Anti-Interferon- α Receptor Monoclonal Antibody, in Moderate-to-Severe Systemic Lupus Erythematosus. Arthritis Rheumatol. 2017; 69 (2) :376-386.

³⁰ Dominik Samotij, Leczenie toczenia rumieniowatego układuowego — wyzwania i perspektywy na przyszłość. Forum Dermatologicum 2018, tom 4, nr 2, 70–77.

leczenia³¹. W badaniach klinicznych u większej liczby pacjentów otrzymujących anifrolumab odnotowano zmniejszenie ogólnej aktywności choroby w różnych układach narządów i trwałą redukcję dawek doustnych glikokortykosteroidów (GKS) w porównaniu z placebo³². Pośród korzyści, jakie odnoszą pacjenci leczeni anifrolumabem wymienia się: obniżenie aktywności choroby, redukcję liczby zaostrzeń, poprawę jakości życia, poprawę w zakresie układów narządów oraz skóry i stawów. Możliwa jest także redukcja dawki glikokortykosteroidów³³. Aktualnie prowadzone jest postępowanie o objęcie refundacją anifrolumabu w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych z aktywną postacią toczenia rumieniowatego układowego (TRU, SLE) (ICD-10: M32)”. W Rekomendacji nr 18/2023 z dnia 21 lutego 2023 r. Prezes Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nie rekomenduje objęcia refundacją anifrolumabu we wnioskowanym wskazaniu, co oznacza, że aktualnie pacjenci nie mogą skorzystać z terapii nawet w trybie ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL)³⁴. Ratunkowy dostęp do technologii lekowych (RDTL) to system wydawania indywidualnych zgód na leczenie pacjentów, dla których wyczerpano wszystkie dostępne opcje terapeutyczne finansowane ze środków publicznych. Leki finansowane w ramach RDTL są dostępne bezpłatnie dla pacjentów, a ich koszt pokrywa Narodowy Fundusz Zdrowia. Chociaż nie ma listy leków, które można sfinansować w ramach RDTL, Ministerstwo Zdrowia cyklicznie publikuje listę terapii, dla których nie można uzyskać finansowania w tym trybie. Znajdują się na niej leki, dla których w konkretnych wskazaniach: wydano negatywną decyzję w ramach postępowania o objęcie refundacją bądź wydano negatywną rekomendację Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w ramach postępowania o objęcie refundacją³⁵.

Aspekt społeczny i ekonomiczny zasługują na szczególną uwagę, bowiem TRU dotyka głównie kobiet w wieku produkcyjnym i reprodukcyjnym. Co istotne, większość chorych nie podejmuje dalszej edukacji i pracy zawodowej lub jest zmuszona z nich zrezygnować, z uwagi na obniżoną jakość życia i duże nasilenie objawów chorobowych. Dodatkowo, wśród pacjentek z TRU znacznie częściej występują trudności z zajściem w ciążę oraz jej powikłania. To wszystko przekłada się na obciążenie systemu społeczno-ekonomicznego. Zniesienie uciążliwych objawów chorobowych, możliwość kontynuacji nauki i życia zawodowego są kluczowe dla odciążenia systemu opieki społecznej i poprawy jakości życia pacjentów. Ze względu na charakter choroby oraz zajęcie wielu narządów TRU może wpływać na wszystkie aspekty jakości życia pacjenta³⁶. Przewlekły charakter i ograniczenia wynikające

³¹ FDA. Drug Approval Package: SAPHNELO. Dostęp on-line pod adresem:

https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/nda/2021/761123Orig1s000TOC.cfm Data ostatniego dostępu: 23.06.2022 r

³² Morand EF, et al. Trial of Anifrolumab in Active Systemic Lupus Erythematosus. *N Engl J Med.* 2020;382(3):211-221.

Furie R, et al. Type I interferon inhibitor anifrolumab in active systemic lupus erythematosus (TULIP-1): a randomised, controlled, phase 3 trial. *Lancet Rheumatol.* 2019; 1 (4): e208-e219. Furie R, et al. Anifrolumab, an Anti-Interferon- α Receptor Monoclonal Antibody, in Moderate-to-Severe Systemic Lupus Erythematosus. *Arthritis Rheumatol.* 2017; 69 (2) :376-386.

³³ Tanaka Y, Tummala R. *Mod Rheumatol.* 2020;1-12;doi:10.1080/14397595.2020.1812201

Furie RA, et al. *Lancet Rheumatol.* 2019;1:e208-219. Morand EF,

³⁴ Rekomendacja nr 18/2023 z dnia 21 lutego 2023 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie oceny leku Saphnelo (anifrolumab) w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych z aktywną postacią toczenia rumieniowatego układowego (TRU, SLE) (ICD-10: M32)”, dostęp on-line pod adresem:

https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2022/112/REK/2023%2002%2021%20BP%20RP%20nr%2018_2023%20Saphnelo%20publikacja_BIP%20REOPTR.pdf

³⁵ <https://alivia.org.pl/wiedza-o-raku/ratunkowy-dostep-do-technologie-lekowych-rdtl-poradnik-dla-pacjentow/>

³⁶ Zalewska-Puchała J, Nowakowska M, Majda A, Bodus-Cupak I. The quality of life the patients with systemic lupus erythematosus. *Nursing Topics* 2014; 22(2): 202-208.

z uszkodzeń narządowych, zmuszają chorych do podejmowania trudnych decyzji życiowych dotyczących pracy zawodowej, planowania potomstwa i zmiany stylu życia. To szczególnie istotne, gdyż większość chorych na TRU to młode kobiety w wieku rozrodczym, dla których plany prokreacyjne są ważnym aspektem życia, mającym również wpływ na decyzję o podejmowanym leczeniu oraz na ich jakość życia³⁷. W badaniu przeprowadzonym wśród chorych na TRU z 35 państw europejskich (w tym z Polski) spośród 1492 respondentów, u których zdiagnozowano TRU przed 25 rokiem życia, ponad połowa (50,7%) zadeklarowała, że TRU wpłynął na przebieg ich studiów. Wśród uczestników, którzy określili swój status zatrudnienia, 57,9% zgłosiło negatywny wpływ TRU na ich karierę zawodową, a 14,7% zadeklarowało, że zaprzestali pracy z powodów medycznych³⁸. W polskiej kohorcie z międzynarodowego badania SESAME dotyczącego epidemiologii TRU w trzech krajach Europy Środkowej (Rumunii, Polsce i na Węgrzech), w którym uwzględniono 269 pacjentów z sześciu polskich ośrodków reumatologicznych wykazano, że jedynie 28,6% pacjentów pozostawało aktywnych zawodowo w pełnym czasie pracy, a około 30% pobierało renty z tytułu niezdolności do pracy³⁹. Progresja TRU łączy się z uszkodzeniem narządów, co w konsekwencji prowadzi do większej liczby hospitalizacji i zwiększenia kosztów opieki zdrowotnej⁴⁰. W badaniu Cornet 2021, 49,7% respondentów wskazywało na średnie do wysokiego obciążenie chorobą w zakresie zdolności do wykonywania normalnych codziennych czynności (tj. nauka, praca, prace domowe, wypoczynek czy udział w życiu rodzinnym), a 1,8% było całkowicie niezdolnymi do ich wykonywania. Prawie 80% (76,1%) ankietowanych stwierdziło, że TRU ma znaczący wpływ na ich życie emocjonalne i seksualne, zwykle negatywny (38,2%) lub niejednoznaczny (36,2%)⁴¹. Kobiety z TRU często mają trudności z zajściem w ciążę oraz występują u nich poronienia, co może mieć wpływ na planowanie rodziny⁴². Obserwuje się, że ryzyko porodu przedwczesnego i stanu przedrzucawkowego u kobiet w ciąży z SLE jest pięciokrotnie wyższe niż w przypadku populacji ogólnej⁴³. Oszacowanie całkowitych kosztów ponoszonych przez społeczeństwo jest trudne ze względu na strukturę rzeczywistego obciążenia społeczno-ekonomicznego. TRU jest przyczyną uciążliwych objawów i prowadzi do znacznego upośledzenia sprawności chorych, co z kolei przekłada się na przedwczesne zakończenie pracy zarobkowej. Zniesienie uciążliwych objawów chorobowych, możliwość kontynuacji nauki i życia zawodowego są kluczowe dla odciążenia systemu opieki społecznej, a przede wszystkim polepszenia jakości życia pacjentów.

³⁷ Ibidem

³⁸ Cornet A, Andersen J, Myllys K, Edwards A, Arnaud L. Living with systemic lupus erythematosus in 2020: a European patient survey. *Lupus Sci Med.* 2021;8(1):e000469.

³⁹ Leszczyński P, Majdan M, Kucharz EJ, Sierakowski S, Wiland P, Kisiel B, Dziurda D, Giemza T. Characteristics of Polish patients with systemic lupus erythematosus obtained from the SESAME registry. Activity of the disease, degree of impairment, and availability of social care. *Reumatologia* 2013; 51(5): 332-341.

⁴⁰ Murimi-Worstell IB, Lin DH, Kan H, Tierce J, Wang X, Nab H, Desta B, Alexander GC, Hammond ER. Healthcare Utilization and Costs of Systemic Lupus Erythematosus by Disease Severity in the United States. *J Rheumatol.* 2021;48(3):385-393.

⁴¹ Cornet A, Andersen J, Myllys K, Edwards A, Arnaud L. Living with systemic lupus erythematosus in 2020: a European patient survey. *Lupus Sci Med.* 2021;8(1):e000469.

⁴² Petrocchi V, Visintini E, De Marchi G, Quartuccio L, Palese A. Patient experiences of systemic lupus erythematosus: Findings from a systematic review, meta-summary and meta-synthesis. *Arthritis Care Res (Hoboken).* 2021 Jun 16. doi: 10.1002/acr.24639. Epub ahead of print.

⁴³ Barnado A, Hubbard J, Green S, Camai A, Wheless L, Osmundson S. Systemic Lupus Erythematosus Delivery Outcomes Are Unchanged Across Three Decades. *ACR Open Rheumatol.* 2022 Jun 6. doi: 10.1002/acr2.11447. Epub ahead of print.

Cukrzyca typu 1

Cukrzyca typu 1 jest chorobą autoimmunologiczną, która na skutek zniszczenia komórek β trzustki prowadzi zwykle do bezwzględnej niedoboru insuliny, hormonu peptydowego o działaniu ogólnoustrojowym, niezbędnego do metabolizmu węglowodanów, a także białek i tłuszczów. Na cukrzycę typu 1 choruje ok. 6,4 tys. dzieci w wieku 0-14 lat oraz ok. 180 tys. osób powyżej 14. r.ż.⁴⁴ Zalecanym modelem leczenia jest intensywna funkcjonalna insulinoterapia przy zastosowaniu wielokrotnych, podskórnych dawek insuliny lub ciągłego podskórnego wlewu insuliny (CSII) prowadzonego za pomocą osobistej pompy insulinowej. U chorych na cukrzycę typu 1 preferowane jest stosowanie analogów insuliny ze względu na mniejsze ryzyko hipoglikemii i większy komfort życia.⁴⁵ W Polsce dzięki konsekwentnym decyzjom refundacyjnym Ministra Zdrowia oraz aktywności klinicystów i pacjentów, dla chorych na cukrzycę typu 1 refundowane są nowoczesne insuliny, systemy monitorowania glikemii (FGM i CGM) oraz pompy insulinowe (te jeszcze z ograniczeniem do 26 r.ż.).

6. Tezy dla Zdrowia

W trosce o zdrowie polskiego społeczeństwa, rozumiane jako najwyższej notowana wartości w życiu osobistym każdego z nas, a także istotny gwarant bezpieczeństwa narodowego, powstał *think-tank* „Medyczna Racja Stanu”. 29 czerwca 2018 r. pod patronatem księdza Kardynała Kazimierza Nycza w siedzibie Polskiej Akademii Nauk odbyła się zorganizowana przez ISP PAN, PUO, Kolegium Lekarzy Rodzinnych i Green Communication, systemowo-ekspertcka debata prezentująca inicjatorów powołania *think-tanku*, skład Rady Naukowej oraz **Tezy dla Zdrowia** wytyczające kierunki niezbędnych zmian w systemie ochrony zdrowia. Po trwających kilka miesięcy dyskusjach i konsultacjach powstała obecna wersja **Tez dla Zdrowia**, w których proponujemy:

1. PRZYJĘCIE ZASADY „ZDROWIE W POLITYCE”

ZDROWIE znajduje się na pierwszej pozycji naszych potrzeb. Nie stało się jednak priorytetem programu żadnej partii. Proponujemy zapisanie w regulaminie Sejmu zasady dorocznego expose Premiera odnoszącego się także do wyzwań związanych ze zdrowiem Polaków, wygłaszanego w Światowym Dniu Chorego – 11 lutego i odnoszącego się do aktualnej sytuacji w ochronie zdrowia.

2. PROPAGOWANIE, KONTROLOWANIE I NAGRADZANIE POSTAW SŁUŻĄCYCH TROSCE O JAKOŚĆ

JAKOŚĆ powinna stać się wyznacznikiem wszelkich działań w obszarze ochrony zdrowia poczynając od stosunku do pacjenta, dbałości o jego dostęp do wykwalifikowanych kadr, procedur diagnostycznych, terapeutycznych, rehabilitacyjnych, przez kadry i procesy decyzyjne zapobiegające marnotrawieniu rosnących środków na opiekę medyczną i służących racjonalizacji wydatków. Wszystko to z myślą o budowaniu międzypokoleniowej atmosfery *continuous improvement* – ciągłej poprawy jako głównego elementu zarządzania przez jakość.

3. PRZYJĘCIE, ŻE NAJWAŻNIEJSZE REFORMY POWINNY ZOSTAĆ PRZEPROWADZONE W CIĄGU 5 LAT. NAZYWAMY TO ZASADĄ „HORYZONT 2023”

Proponujemy by po zakończeniu społecznych konsultacji dotyczących Tez dla Zdrowia podpisana została pod patronatem Prezydenta RP, umowa społeczna uwzględniająca najważniejsze reformy w systemie ochrony zdrowia z założeniem, że w ciągu 5 lat nastąpi zwiększenie dostępności środków

⁴⁴ https://e2368fae-89c4-422c-b5c6-1d7220f21c82.filesusr.com/ugd/e91ac2_fc0a3c8757704a1a86fb820cc28c340a.pdf

⁴⁵ Zalecenia kliniczne dotyczące postępowania u osób z cukrzycą 2023 Stanowisko Polskiego Towarzystwa Diabetologicznego. <https://ptdiab.pl/zalecenia-ptd/zalecania-aktywni-czlonkowie-2023>

finansowych, organizacyjnych i infrastrukturalnych w tym obszarze. Stronami umowy powinny być wszystkie znaczące siły polityczne, a jej sens powinien polegać na kontynuacji najważniejszych zmian przez kolejne rządy. Konieczne jest też uwzględnienie aspektów zdrowotnych w procesie tworzenia i uchwalania prawa. Musimy nauczyć się dostrzegania konsekwencji wprowadzanych regulacji także pod kątem ich wpływu na zdrowie obywateli, a nie tylko skutków budżetowych.

4. SKRÓCENIE CZASU OCZEKIWANIA NA REFUNDACJĘ LEKÓW I REALIZACJĘ PROGRAMÓW LEKOWYCH, ZMNIEJSZAJĄCE W DŁUŻSZEJ PERSPEKTYWIE OBCIĄŻENIE PUBLICZNYCH FINANSÓW, A CO NAJWAŻNIEJSZE OSZCZĘDZAJĄCE CIERPIENIA CHORYM I ICH BLISKIM

Wydatki na leki powinny rosnać wraz z wydatkami publicznymi na ochronę zdrowia i stanowić co najmniej 17% całego budżetu przeznaczanego na świadczenia gwarantowane. Procedura refundacyjna powinna być przejrzysta i odbywać się tak sprawnie by zapewnić pacjentom możliwie najszybszy dostęp do leków. Konieczne jest wprowadzenie szybkiej ścieżki refundacyjnej dla terapii stanowiących jedyny ratunek w stanach bezpośrednio zagrażających życiu i zapobiegających poważnym powikłaniom chorób przewlekłych oraz określenie jakich terapii to dotyczy i wskazanie kryteriów oraz zasady ich typowania. Jesteśmy za automatyczną refundacją danego leku w ciągu 6 miesięcy od uzyskania pozytywnej oceny AOTMiT i poszerzeniem wskazań refundacyjnych zgodnie z ChPL produktu i aktualną wiedzą medyczną, przy jednoczesnym, szerszym wykorzystaniu instrumentów dzielenia ryzyka w korelacji z dowodami skuteczności terapii. W gestii Ministra Zdrowia powinna pozostać kwestia ustalenia progu refundacji. Refundacją powinny być obejmowane leki, których miesięczny koszt stosowania, w typowej dawce przekraczałby 20 zł. W trosce o budżet państwa konieczne jest tworzenie rejestrów pacjentów i dokonywanie oceny jakości terapii finansowanych ze środków publicznych.

5. USTALENIE ZASADY, ŻE CELEM JEST ZAPEWNIENIE WSZYSTKIM PRZEWLEKLE CHORYM TAKIEGO POZIOMU LECZENIA, BY MIELI MOŻLIWOŚĆ JAK NAJDŁUŻEJ POZOSTAWAĆ NA RYNKU PRACY

Jesteśmy za wprowadzeniem ustawowego wymogu uwzględniania kosztów pośrednich i społecznych związanych z decyzjami refundacyjnymi dla wskazanej przez ekspertów grupy chorób przewlekłych i powszechnych, w tym chorób rzadkich i ultraradkich. Wprowadzenie analizy kosztów pośrednich pozwoli przeznaczyć środki publiczne na terapie, które przynoszą najlepsze efekty zdrowotne i pomagają zredukować koszty pośrednie, co w dłuższej perspektywie poprawi kondycję zdrowotną Polaków i będzie miało pozytywny wpływ na budżet państwa.

6. RACJONALNE OKREŚLENIE ZAWARTOŚCI KOSZYKA ŚWIADCZEŃ GWARANTOWANYCH W SYSTEMIE OCHRONY ZDROWIA, PRZEPROWADZONE W OPARCIU O AKTUALNĄ WIEDZĘ MEDYCZNĄ I DOKŁADNE ROZPOZNANIE POTRZEB POLSKIEGO SPOŁECZEŃSTWA

Zasadą każdego ubezpieczenia jest precyzyjne określenie zakresu: szkód, działań i rekompensat pokrywanego przez firmę ubezpieczającą. Taka sama zasada powinna dotyczyć działań podejmowanych przez NFZ. Przy określeniu zawartości koszyka świadczeń gwarantowanych proponujemy przyjęcie zasady finansowania świadczeń diagnostycznych i terapeutycznych z następujących obszarów medycyny: ostre stany zagrażające życiu, drogie procedury szpitalne, diagnostyka i leczenie chorób przewlekłych. System powinien gwarantować równy dostęp do świadczeń zdrowotnych zgodnych z aktualną wiedzą medyczną i adekwatnych do stanu zdrowia pacjenta.

7. WPROWADZENIE ZASADY RÓWNOŚCI PODMIOTÓW LECZNICZYCH WOBEC PŁATNIKA – NFZ

NFZ powinien finansować określone procedury wszędzie tam, gdzie są one wykonywane, bez względu na rodzaj placówki leczniczej. Jedynym warunkiem podpisania umowy z NFZ powinno być zweryfikowane spełnianie przez placówkę określonych wymogów jakości, umożliwiających realizację konkretnej procedury i zapewnienie kontynuacji leczenia, nie zaś wygranie procedury konkursowej. Pozwoliłoby to na faktyczny przepływ pieniędzy „za pacjentem”.

8. UMOŻLIWIENIE POZABUDŻETOWEGO DOPŁYWU ŚRODKÓW FINANSOWYCH NA OCHRONĘ ZDROWIA I ZRÓWNANIE WYSOKOŚCI SKŁADEK ZDROWOTNYCH WSZYSTKICH GRUP SPOŁECZNYCH

Najpilniejsze zadania w tym zakresie to wprowadzenie:

- zasady powszechnego (tj. obejmującego wszystkich obywateli w wieku 18-62 lata) opłacania składki na ubezpieczenie zdrowotne, co zwiększając liczebność owej grupy mogłoby nawet pozwolić na obniżenie składki.
- możliwości finansowania przez obywateli szerszego poziomu usług poprzez umożliwienie opłacania via ZUS lub niepubliczne formy ubezpieczeniowe wyższych składek ubezpieczenia zdrowotnego (składki premium), co radykalnie zwiększyłoby strumień środków kierowanych do placówek lecznictwa publicznego.
- reguły, że składka publicznego ubezpieczenia zdrowotnego uzależniona będzie od indywidualnego, podejmowanego przez nas samego poziomu ryzyka chorobowego (palenie tytoniu, nadwaga...).

Alternatywne rozwiązanie to wprowadzenie ubezpieczeń komplementarnych na zasadach solidaryzmu społecznego.

9. POWOŁANIE FUNDUSZU WALKI Z RAKIEM

W związku z faktem, iż choroby nowotworowe stanowią jedno z największych zagrożeń cywilizacyjnych oraz wobec ogromnego postępu jaki dokonuje się w ich diagnostyce i terapii niezbędne jest zapewnienie odpowiedniego finansowania stosowanych tu procedur. Szczególną wagę należy przykładąć do profilaktyki nowotworów, których czynniki sprawcze zostały dobrze poznane, a dzięki wczesnemu wykryciu mogą być skutecznie eliminowane; np. wdrożenie badań przesiewowych w kierunku zakażeń HCV, których dostępne już w Polsce, skuteczne leczenie zapobiega rakowi wątroby. Proponujemy, wzorem rozwiązań brytyjskich skupienie się na podobnych działaniach i powołanie na 10 lat Funduszu Walki z Rakiem zasilanego przez państwo z akcyzy na papierosy i alkohol, która powinna wzrosnąć oraz z kar nakładanych na przemytników i nielegalnych producentów papierosów i alkoholu. Wsparciem Funduszu mogłaby być również nadwyżka finansowa uzyskana z polisy dobrowolnych ubezpieczeń komplementarnych.

10. POWOŁANIE FUNDUSZU NA RZECZ CHOROÓB RZADKICH I ULTRARZADKICH

Uważamy, że we współczesnym społeczeństwie wyznającym zasady solidaryzmu, pacjentowi, którego spotkało wyjątkowe nieszczęście w postaci diagnozy rzadkiego schorzenia winni jesteśmy realną pomoc w dostępie do najskuteczniejszych metod diagnostyki, terapii i rehabilitacji. Wsparcie Funduszu powinno odbywać się na zasadach takich, jak w przypadku Funduszu Walki z Rakiem.

11. SYSTEMOWE WSPARCIE DLA OSÓB UCZESTNICZĄCYCH W PROGRAMIE WALKI Z OTYŁOŚCIĄ I NADWAGĄ – „MOTYWACJA+”

Schorzenia te stają się coraz poważniejszym zagrożeniem cywilizacyjnym w państwach wysokorozwiniętych. Proponujemy zatem wprowadzenie finansowych form zachęty do walki z otyłością dla osób decydujących się na kurację odchudzającą według zasad określonych przez AOTMiT i realizowanych w POZ; w tym możliwość zmniejszenia składki zdrowotnej.

12. PROPAGOWANIE WIEDZY NA TEMAT SKUTECZNEGO ZAPOBIEGANIA CHOROBOM CYWILIZACYJNYM (SERCOWO-NACZYNIOWYM, ONKOLOGICZNYM, METABOLICZNYM) I PREMIOWANIE PRZESTRZEGANIA ZASADY WSPÓŁODWIEDZIALNOŚCI KAŻDEGO Z NAS ZA WŁASNE ZDROWIE

Fundamentem promocji zdrowia powinno być wprowadzenie do szkół przedmiotu pod nazwą „Podstawy zdrowego życia” będącego elementem Krajowego Programu Promocji Zdrowia realizowanego we współpracy Rządu z Kościołem. Aktywny udział w programie i poprawa parametrów zdrowotnych powinny być premiowane zmniejszeniem obciążeń podatkowych, zmniejszeniem składki zdrowotnej lub ułatwieniem w dostępie do określonych świadczeń opieki zdrowotnej. Realizację Tezy 11 i 12 wspierałoby opodatkowanie żywności o wysokiej gęstości kalorycznej (dużo kalorii w małej objętości) i zakaz reklamy takich produktów, a także powszechne wprowadzenie zasady informowania o kaloryczności produktów i posiłków.

13. POSTAWIENIE NA POZ I STWORZENIE PROGRAMU WSPARCIA OPIEKI ŚRODOWISKOWEJ

Koordinacja opieki na poziomie POZ i AOS jest gwarancją efektywności całego systemu ochrony zdrowia. Nowy program wsparcia opieki środowiskowej powinien koncentrować się na rozwoju opieki geriatrycznej, kardiologicznej i rehabilitacyjnej. Wymaga to intensywnego rozwoju w każdej gminie pielęgniarstwa środowiskowego i placówek dziennego pobytu dla seniorów oraz osób ze znacznym upośledzeniem funkcji poznawczych czy motorycznych. W ramach koordynacji opieki w POZ i wsparcia opieki środowiskowej postulujemy aktywizację programu wolontariatu szkolnego skierowanego do osób potrzebujących pomocy.

14. POWOŁANIE EUROPEJSKIEJ UNII ZDROWIA

Przygotowanie z inicjatywy polskiego rządu, założeń wspólnego działania na rzecz ZDROWIA na poziomie unijnym w oparciu o doświadczenia takich rozwiązań jak Europejska Unia Energetyczna. Założenia EUZ powinny stać się częścią polskiej strategii budowania koalicji wewnątrz wspólnoty. Jeden z postulatów to stworzenie europejskiej solidarnościowej listy leków dla całego obszaru UE, poczynając od leków sierocych i stopniowo –wszystkich innych, równając do najpełniejszych list w najbogatszych krajach wspólnoty. Celem tego przedsięwzięcia, w którym powinny partycypować wszystkie kraje członkowskie będzie zrównanie poziomu dostępu do nowoczesnej diagnostyki oraz leków refundowanych na całym terenie UE a także wspólna strategia dawania odporu ruchom antyszczepionkowym.

15. UTRZYMANIE ZASADY OBOWIĄZKOWOŚCI SZCZEPIEŃ OCHRONNYCH W POLSCE

Obowiązkowe szczepienia, stanowiąc ochronę indywidualną oraz środowiskową, są jednym z najważniejszych elementów zdrowia wspólnotowego i wyrazem solidaryzmu społecznego. Należy zdecydowanie:

- zwiększyć wiedzę społeczną na temat szczepień,
- nasilić wszelkie formy przeciwdziałania Państwa przejawom deprecjonowania ich roli - konsekwentnie walczyć z fałszującymi prawdę mitami,
- zapewnić możliwie najskuteczniejszą ochronę osobom z medycznymi przeciwwskazaniami do szczepień
- zapewnić wzrost wyszczepialności osób dorosłych.

16. PROMOCJA POLSKI PRZEZ ZDROWIE

Dotychczasowe doświadczenia projektów z zakresu zdrowia promujących Polskę wskazują na dużą efektywność tego typu działań, szczególnie w państwach biedniejszych (Afryka, Azja Środkowa). Proponujemy, by w ramach promocji Polski za granicą, jako stały element, oprócz działań w zakresie

kultury i nauki, włączyć działania prozdrowotne promujące polskie przedsięwzięcia w dziedzinie medycyny (leczenie słuchu, kardiologia, kształcenie pielęgniarek, itp.).

7. Siedem Zasad Doktora Janusza Medera- jak zadbać o wzajemne dobre relacje z pacjentem

„Tym, co pełnią misję lekarską, niosą ulgę w chorobie i cierpieniu – dedykuję kilka myśli ku rozwadze”.
Dr Janusz Meder (1980)

1. Powitaj pacjenta – podaj mu rękę na przywitanie.
2. Skup, choć kilka minut, tylko na nim swoją uwagę – dając do zrozumienia, że w tym czasie on jest najważniejszy dla ciebie i zberz wywiad lekarski w sposób zwięzły i taktowny, komunikując się językiem zrozumiałym dla swojego rozmówcy i dochowując tajemnicy lekarskiej oraz innych praw pacjenta.
3. Poproś pacjenta o rozebranie się z zachowaniem jego prawa do wolności, godności i intymności, a następnie, mając jego przyzwolenie, dokładnie zbadaj jego ciało w całości.
4. Na każdym etapie diagnozy i leczenia wyobrażaj sobie, że to ty jesteś na miejscu pacjenta i pomyśl, czy chciałbyś być tak samo traktowany.
5. Zważaj na każde wypowiedziane do pacjenta słowa i nigdy nie odbieraj mu nadziei, mając przede wszystkim pokorę do własnej wiedzy niezależnie od stopnia swoich kwalifikacji, zajmowanego stanowiska czy też posiadanego tytułu naukowego.
6. Pełniąc swoją niełatwą misję lekarską, bądź cierpliwy, nie zapominaj o dobrych i ciepłych słowach, nie obrażaj się i nie gniewaj na pacjenta, a swoją postawą i działaniem zaświadczaaj o zbieżności swoich celów z celami pacjenta stosownie do jego potrzeb, oczekiwań i życzeń oraz zgodnie z jego wolą, światopoglądem i filozofią życia.
7. Traktuj zawsze pacjenta podmiotowo w sposób holistyczny, nie oddzielając jego części fizycznej od psychicznej i duchowej, bowiem stanowią one jedną nierozdzielalną całość.

KONTAKT:

Anna Jasińska - rzecznik Medycznej Racji Stanu, tel. 734 439 122, e-mail: jasinska@greencomm.pl

Grażyna Mierzejewska - ekspert Medycznej Racji Stanu, tel. 734 437 337, e-mail: mierzejewska@greencomm.pl

SPONSORZY/PARTNERZY:

