



**Wiceprezes NFZ  
Jakub Szulc**  
Jest pomysł na  
skrócenie kolejek



**Wiceminister Urszula  
Demkow**  
Choroby  
rzadkie: mobilizują  
nas pacjenci



**Wiceminister Marek  
Kos**  
Jak dziś wygląda  
bezpieczeństwo  
lekowe Polski

**wprost newsmed**

WYDANIE NR 10  
MARZEC 2025

**O ZDROWIU**

**KONFERENCJA**

# WIZJONERZY ZDROWIA REFORMATORZY 2025

**PROFILAKTYKA,  
DIAGNOSTYKA  
I LECZENIE  
W ŚWIECIE PEŁNYM  
WYZWAŃ**

- **Mateusz Oczkowski: PLANUJEMY ZMIANY  
W SYSTEMIE REFUNDACJI**
- **Prof. Robert Gil: ŚWIAT NAM UCIEKA**
- **Prof. Lucyna Ostrowska, prof. Mariusz Wyleżoł:  
CHOROBA Z 200 POWIKŁANIAM**

# XXIX Międzynarodowy Kongres Polskiego Towarzystwa Kardiologicznego



**Twoje serce – Twoje życie** *Żyj zdrowo, przestrzegaj zaleceń*



**Kraków 2025** 25-27 września

*Najważniejsze spotkanie naukowe  
i edukacyjne kardiologów w Polsce*

Serdecznie zapraszamy!



prof. Przemysław Mitkowski  
Past-Prezes PTK



prof. Robert J. Gil  
Prezes PTK



prof. Marek Gierlotka  
Prezes-Elekt PTK



prof. Jacek Legutko  
Przewodniczący  
Komitetu Naukowego Kongresów  
Przewodniczący Komitetu Organizacyjnego  
XXIX Międzynarodowego Kongresu PTK

• 5000 uczestników z kraju i zagranicy • 500 wykładowców i ekspertów • 150 sesji naukowych • 15 sal wykładowych  
**To Kongres, na którym musisz być!**



# Nasz #ruchdlazdrowia

**N**owoczesna profilaktyka, diagnostyka i leczenie w czasach pełnych wyzwań – do dyskusji na ten temat zaprosiliśmy w tym roku ekspertów, decydentów oraz przedstawicieli organizacji pacjentów podczas konferencji Wizjonerzy Zdrowia Reformatorzy 2025. Nigdy wcześniej w historii medycyna nie zmieniała się tak szybko jak dziś – mamy coraz bardziej wyrafinowane metody diagnostyczne (jak choćby CGP NGS), a leczenie chorób, których diagnoza jeszcze kilkanaście lat temu brzmiała jak wyrok, dziś stwarza szansę na długie lata życia dobrej jakości.

Ale z drugiej strony: patrzymy na efekty. Długość życia w Polsce nadal jest o kilka lat krótsza niż w krajach Europy Zachodniej (zwłaszcza mężczyzn). A leczenie jest coraz kosztowniejsze i – chociaż ludzkie życie nie ma ceny – coraz częściej widzimy, jak ważne jest to, by pieniądze na ochronę zdrowia wydawać tak, by przyniosły realny efekt. Świetnym przykładem są takie programy KOS-BAR, czy KOS-Zawał, w których płaci się nie za konkretnie wykonane procedury czy badania, tylko



**Katarzyna Pinkosz**  
Redaktor Naczelna NewsMed

za kompleksową opiekę nad pacjentem i jej efekty. Tej kompleksowości i patrzenia na efekty wciąż w naszym systemie ochrony zdrowia brakuje pacjentom, którzy często sami po omacku szukają dla siebie lekarza, miejsca wykonania operacji czy wykonują dziesiątki badań, z których niewiele wynika, bo nikt im się nawet dokładnie nie przygląda.

W czasach pełnych wyzwań, w jakich żyjemy, nie ma ważniejszego tematu niż bezpieczeństwo. Myśląc o zdrowiu, myślimy o bezpieczeństwie lekowym, stąd tak ważne, by jak najwięcej leków powstawało w Polsce. O własne bezpieczeństwo zdrowotne musimy jednak zadbać sami, choćby korzystając z narzędzi, które mamy – jak bezpłatne ba-

dania profilaktyczne czy możliwość szczepień, a przede wszystkim z najważniejszych „leków” XXI wieku, czyli z aktywności fizycznej i zdrowego stylu odżywiania. Stwórzmy modę na zdrowie i – jak w nowej kampanii edukacyjnej dotyczącej zapobiegania otyłości: zadbajmy o własny mądry #ruchdlazdrowia.

© Wszelkie prawa zastrzeżone

**wprost**  
O ZDROWIU

Agencja Wydawniczo-Reklamowa „Wprost” sp. z o.o.  
Batory Office Building II,  
Al. Jerozolimskie 212, 02-486 Warszawa,  
tel.: 22 347 50 00 (recepcja),  
www.wprost.pl

Redaktor prowadząca:  
Katarzyna Pinkosz  
Redakcja: Dorota Bardzińska  
Dyrektor projektu: Mariola Wiercińska,  
m.wiercinska@pmpg.pl,  
tel. 500 112 406

Key Account Manager: Danuta Szyrszeń-Lasocka, d.lasocka@pmpg.pl, tel. 515 259 368  
Studio graficzne: Karol Kinal (szef studia), Anna Abratańska  
ISSN 2082-0135

## PATRONAT HONOROWY



Patronat polskiej prezydencji w Radzie UE  
Patronage of the Polish presidency of the Council of the EU  
Patronage de la présidence polonaise du Conseil de l'UE

## PATRONI



**PTLO**  
Polskie Towarzystwo  
Leczenia Otyłości

**FLO**  
FUNDACJA NA RZECZ  
LECZENIA OTYŁOŚCI



**OnkoCafe**  
niezmiernie lepiej

Polska Koalicja  
Pacjentów Onkologicznych

Fundacja  
Pokończ  
Endometriozę

Federacja  
Pacjentów  
Polskich

**eco**

## PARTNERZY

**GEDEON RICHTER**

**Takeda**

**Medtronic**

**Theramex**  
For Women, For Health

**IPSEN**

**SwiXX** BioPharma

NAUKOWA  
FUNDACJA  
POLPHARMII

**Roche**

**Abbott**

**AstraZeneca**

## SPONSORZY

**novo nordisk**

**NOVARTIS**

**Lilly** A MEDICINE COMPANY

**GSK**

**Angelini**  
Pharma

# Spis treści

- 3 NA POCZĄTEK** – Nasz #ruchdlaZdrowia

## SYSTEM OCHRONY ZDROWIA

- 5 BEZPIECZEŃSTWO LEKOWE TO DZIŚ JEDEN Z PRIORYTETÓW** – zapewnia wiceminister zdrowia Marek Kos
- 8 MOBILIZUJĄ I WSPIERAJĄ NAS PACJENCI** – mówi wiceminister zdrowia prof. Urszula Demkow
- 11 NIEMOŻLIWE NIE ISTNIEJE** – o chorobach rzadkich opowiada prof. Alicja Chybička
- 12 NA TEN ROK MAMY KILKA PRIORYTETÓW** – tłumaczy Mateusz Oczkowski z Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji MZ
- 14 JEST POMYSŁ NA SKRÓCENIE KOLEJEK DO SPECJALISTÓW** – mówi Jakub Szulc, zastępca prezesa NFZ
- 16 POTRZEBUJEMY RADYKALNYCH ZMIAN** – twierdzi Wojciech Wiśniewski.
- 77 NIC O NAS BEZ NAS** – system ochrony zdrowia oczyma pacjentów
- 81 TRZY OBJAWY CHOROBY SYSTEMU ZDROWIA W POLSCE** – Krzysztof Łanda wkłada kij w mrowisko

## FARMACJA

- 18 OTYŁOŚĆ TO CHOROBA, NIE WYBÓR** – tłumaczy Magdalena Paradzińska, dyrektor generalna Novo Nordisk Pharma sp. z o.o.

- 20 SKRACAMY DROGĘ INNOWACYJNYCH TERAPII DO PACJENTA** – zaznacza Michał Opuchlik, dyrektor generalny Swixx BioPharma sp. z o.o.

- 22 POMAGAMY LUDZIOM NAUKI** – mówi Beata Kamosińska z Naukowej Fundacji Polpharmy.

## CHOROBY CYWILIZACYJNE

- 24 ŚWIAT NAM UCIEKA** – prof. Robert Gil o badaniach genetycznych
- 26 ZDROWY STYL ŻYCIA MUSI BYĆ MODNY** – prof. Przemysław Mitkowski o priorytetach
- 28 PACJENCI Z CUKRZYCĄ CZEKAJĄ NA RUCH MINISTERSTWA** – prof. Dorota Zozulińska-Ziółkiewicz o refundacji

- 30 MONITOROWANIE CUKRZYCY OKIEM KARDIOLOGA** – tłumaczy prof. Piotr Jankowski

- 32 MONITOROWANIE TO TAKŻE LECZENIE** – prof. Janusz Gumprecht o systemach monitorowania glikemii

- 34 LECZMY, A NIE „ODCHUDZAJMY”** – prof. Lucyna Ostrowska o chorobie otyłościowej

- 37 TEN PROGRAM TO REWOLUCJA** – prof. Mariusz Wyleżoł o KOS-BAR

## RAPORT: ENDOMETRIOZA

- 40 TA CHOROBA MOŻE DOTYCZYĆ NAWET CO DZIESIĄTEJ KOBIETY**

- 41 W ENDOMETRIOZIE TRZEBA MIEĆ PLAN ZA CAŁE ŻYCIE** – tłumaczy prof. Tomasz Paszkowski

- 43 NIEWIDZIALNA, NIEDOSTRZEGANA, CZĘSTO NAS PRZERASTA** – mówi prof. Paweł Basta

- 45 TRZEBA RATOWAĆ KOBIETĘ, ŻEBY ŻYŁA BEZ BÓLU, MOGŁA ZAJĄĆ W CIĄŻĘ** – przekonuje Lucyna Jaworska-Wojtas, prezes Fundacji „Pokonać Endometriozę”

## ONKOLOGIA

- 46 CZEKAMY NA MOŻLIWOŚĆ WYKONYWANIA CGP NGS** – mówi dr Andrzej Tysarowski

- 48 MOŻEMY ZWIĘKSZYĆ SZANSE NA WYLECZENIE** – prof. Barbara Radecka o raku piersi

- 50 WAŻNA JEST JAKOŚĆ ŻYCIA** – przekonuje Anna Kupiecka, prezes Fundacji OnkoCafe – Razem Lepiej

- 52 IMMUNOTERAPIA WYDŁUŻA ŻYCIE** – prof. Ewa Kalinka o leczeniu raka endometrium

- 54 RADIOLIGANDY, CZYLI PRECYZYJNA RADIOTERAPIA** – dr Iwona Skoneczna o leczeniu raka gruczołu krokowego

## HEMATOONKOLOGIA

- 56 OGROMNY PROBLEM CHORYCH NA MIELOFIBROZĘ** – prof. Joanna Góra-Tybor o terapii tej choroby

- 58 TEN LEK BYŁBY WYBAWIENIEM** – prof.

Aneta Szudy-Szczyrek o leczeniu mastocytozy

## CHOROBY RZADKIE

- 60 LECZENIE SZYTE NA MIARĘ TO PRZYSZŁOŚĆ I DLA CHORÓB RZADKICH** – mówi prof. Jolanta Sykut-Cegielska,

- 62 PBC: PRZEWLEKŁE ZMĘCZENIE I ŚWIĄD** – o objawach tej choroby mówi prof. Piotr Milkiewicz

- 64 RODZICE NIE PAMIĘTAJĄ, CZYM JEST PRZESPANA NOC** – prof. Piotr Czubkowski o zespole Alagille'a

- 66 JEST LEK, KTÓRY RATUJE ŻYCIE I PRZYWRACA ZDROWIE** – prof. Maria Mazurkiewicz-Betdzińska o leczeniu MLD

## CHOROBY UKŁADU ODDECHOWEGO

- 68 KAŻDY POWINIEN WYKONAĆ SPIROMETRIĘ** – by wykłuczyc POCiP, namawia prof. Paweł Śliwiński

- 70 POD SPECJALNYM NADZOREM** – prof. Adam Nowiński o leczeniu gruźlicy lekoopornej

## PROFILAKTYKA

- 72 STARZEJEMY SIĘ I STARZEJE SIĘ NASZ UKŁAD IMMUNOLOGICZNY** – prof. Tomasz Targowski o znaczeniu szczepień

- 74 ELIKSIR DŁUGOWIECZNOŚCI JEST NA WYCIĄGNIĘCIE RĘKI** – przekonuje prof. Marek Postuła

# Bezpieczeństwo lekowe to dziś jeden z priorytetów

– mówi  
wiceminister zdrowia

**MAREK KOS.**

**Panie Ministrze, najpierw pandemia COVID-19, a teraz trudna sytuacja geopolityczna powodują wyzwania dotyczące bezpieczeństwa Polski, w tym bezpieczeństwa lekowego. Czy dziś jesteśmy krajem bezpiecznym pod tym względem? Nie zabraknie nam leków?**

Bezpieczeństwo lekowe to jeden z głównych priorytetów Ministerstwa Zdrowia. Działamy na wielu obszarach, żeby nie pojawiła się sytuacja braku niezbędnych leków. W Zintegrowanym Systemie Monitorowania Obrotu Produktami Leczniczymi widzimy, jakie są stany magazynowe w hurtowniach czy aptekach. Poprzez Moduł Eksploracji Rynku Leków (MERL) obserwujemy wszelkie zaburzenia w dostawach, gdy mogą pojawić się problemy z dostępnością do produktów leczniczych. Tak więc pod względem informatycznym, jeśli chodzi o nadzór, jesteśmy bardzo dobrze zabezpieczeni i widzimy, których leków może zabraknąć. Monitorujemy to na bieżąco. Co dwa miesiące jest tworzona lista antywyszoku: przygotowujemy listę leków, których nie można wywieźć z Polski, ponieważ grozi to brakiem dostępności w naszym kraju.

Co trzy miesiące mamy spotkania zespołu, który zajmuje się niedoborami produktów leczniczych – rozmawiamy z Głównym Inspektorem Farmaceutycznym, z prezesem Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych, z Narodowym Funduszem Zdrowia. Analizujemy, których leków jest mniej. Jeśli mamy informacje od podmiotów odpowiedzialnych, że może nastąpić jakieś zaburzenie spowodowane np. ograniczeniem produkcji, wtedy staramy się wyprzedzić problemy.

Pod względem organizacyjnym robimy wszystko, co możliwe, by pacjentom nie za-



brakło leków. Oczywiście, zdarzają się niespodziewane sytuacje, jak niedawny problem z dostępnością leku przeciw grypowego. Jednak czasem trudno przewidzieć, że może zdarzyć się aż taki wzrost zachorowań, że spowoduje on problemy z dostępnością do leku, którego jeszcze 2-3 tygodnie wcześniej były duże zapasy.

**Polacy chcą stosować leki przeciw grypowe, ale gorzej jest z profilaktyką – mam na myśli szczepienia...**

To dość duży problem. Przeciw grypie zaszczepiło się 1 mln 750 tys. osób, czyli 4,7 proc. populacji. To bardzo mało. A przypomnijmy, że szczepionki przeciw grypie dla wielu osób są bezpłatne – m.in. dla osób powyżej 65. roku życia.

**Pandemia, a potem sytuacja geopolityczna uświadomiły nam, jak ważne jest to, żeby jak najwięcej leków powstawało w Polsce. Nie wszystko zależy od Ministerstwa Zdrowia, ale co robi resort, by zwiększyć produkcję leków w Polsce?**

20 grudnia 2024 r. opublikowaliśmy pierwszą polską listę leków krytycznych, na której znalazło się 301 substancji czynnych. Są to leki, których niedobór może spowodować duże zagrożenie dla zdrowia i życia pacjentów. Nie mają one zamienników/odpowiedników, terapii zastępczych. Nad kształtem listy rozmawialiśmy bardzo długo z całym sektorem farmaceutycznym. Oczywiście, będzie ona aktualizowana, podobnie jak Europejska lista leków krytycznych.

## Kiedy można się spodziewać aktualizacji?

Planujemy, żeby odbywało się to raz w roku. Przez całe drugie półrocze 2024 r. rozmawialiśmy z sektorem farmaceutycznym o tym, jak wzmocnić szczególnie tych producentów, którzy wytwarzają leki w Polsce. Rozmawialiśmy także z Ministerstwem Spraw Wewnętrznych i Administracji, Ministerstwem Obrony Narodowej, Ministerstwem Funduszy i Polityki Regionalnej, Ministerstwem Finansów, a także z NCBiR, ABM – ośrodkami, które zajmują się wsparciem grantowym. Pierwsze efekty już są widoczne, gdyż celem niektórych konkursów ABM było wsparcie producentów leków. Będziemy prowadzić rozmowy z NCBiR, by z ich strony było takie wsparcie.

Ważna była też decyzja Ministerstwa Funduszy dotycząca wsparcia polskiego sektora biotechnologii i producentów leków – mówimy o kwocie 901 mln euro; chcemy zmobilizować krajowych producentów, by podjęli się wyzwań dotyczących biotechnologii.

## Zachętą do produkowania leków w Polsce są też listy G1 i G2?

Duża nowelizacja ustawy refundacyjnej, która weszła w życie w 2023 r., dała możliwość tworzenia list G1 i G2. Pierwsze listy ogłoszono 1 kwietnia 2024 r. Naliście G1 znalazły się leki produkowane w Polsce oraz leki produkowane z substancji czynnych produkowanych w Polsce. Z kolei na liście G2 są leki produkowane w Polsce z użyciem substancji czynnej produkowanej w Polsce. Na obwieszczeniu refundacyjnym ze stycznia 2025 r. w grupie G1 znalazło się 605 produktów, a w grupie G2 – 37. Dla pacjentów istotne jest to, że do tych leków są dopłaty NFZ, dzięki temu lek z listy G1 jest tańszy dla pacjenta o 10 proc., a z listy G2 – o 15 proc.

## Jak wygląda zainteresowanie firm, by aplikować na listy?

Firmy chętnie aplikują, co widać po kolejnych listach.

## Są więc realne szanse na wzmocnienie przemysłu farmaceutycznego i na to, że Polsce będzie produkowanych więcej leków?

Myszę, że tak. Chcemy, by Polska była krajem bezpiecznym lekowo, żeby jak najwięcej leków było u nas produkowanych. Na pewno jest możliwe, żeby w Polsce były produ-



kowane wszystkie leki. Może się to jednak udać w Europie – dzięki współpracy wszystkich krajów europejskich.

## Czy możemy też liczyć na to, że z czasem w Polsce będą powstawały także leki oryginalne – na przykład w chorobach rzadkich? Wsparcie dla biotechnologii, o czym Pan wspominał, może stworzyć takie szanse?

Są takie szanse, choć trzeba pamiętać, że stworzenie leku oryginalnego to procedura wieloletnia, bardzo kosztowna. Bardzo bym chciał, żeby w Polsce były wytwarzane innowacyjne leki. Wymaga to jednak długoletniego wsparcia takich instytucji jak NCBiR, ABM, które mają środki na naukę i badania kliniczne.

## Czeka nas tzw. szybka nowelizacja ustawy refundacyjnej (SZNUR). Co dla Pana jako osoby kierującej polityką lekową jest tu najważniejsze?

Trzeba na tę kwestię popatrzeć szerzej. Duża nowelizacja ustawy refundacyjnej była przygotowywana przez kilka lat. Gdy weszła w życie w listopadzie 2023 r., to niewiele środowisk było z niej zadowolonych, krytykę było słycać prawie z każdej strony. Dlatego przy kolejnej nowelizacji chcieliśmy rozmawiać z sektorem farmaceutycznym, z przedstawicielami hurtowni leków, aptek, ze środowiskami pacjenckimi. Prace nad nowelizacją trwały od wiosny ubiegłego roku,

przeprowadziliśmy bardzo szerokie prekonsultacje. Wypracowaliśmy pewien konsensus. Ustawa znajduje się już w wykazie prac Rady Ministrów, została zatwierdzona przez zespół programowania prac rządu. W lutym odbyły się konsultacje wewnętrzne. Liczę, że jeszcze w marcu rozpoczną się konsultacje zewnętrzne, międzyresortowe. Ambitny plan zakłada zamknięcie prac nad nowelizacją ustawy do wakacji parlamentarnych, czyli do sierpnia. Będę robić wszystko, by tak się stało. To bardzo ważna ustawa. Są w niej zmiany, które korygują dużą nowelizację ustawy refundacyjnej, i nowe zapisy.

## Co ma zostać zmienione?

W nowelizacji przewidzieliśmy m.in. usunięcie algorytmu dostaw leków, do którego musiały zobowiązać się firmy. Chcemy, żeby wielkość dostaw była negocjowana przez komisję ekonomiczną. Kolejna rzecz to obniżka cen leku o 25 proc., gdy przestaje on już być w okresie ochronnym i wchodzi generyki. Zdarzało się, że firma nie składała wniosku o refundację, przez co nie można było jej przedłużyć i lek nie był już refundowany. Firma ponownie składała wniosek o refundację po trzech miesiącach, ale na wcześniejszych zasadach. Dlatego teraz proponujemy obniżkę o 25 proc., ale może to być obniżka krocząca. Zdarza się, że cena leku spada co roku i pod koniec okresu ochronnego wynosi ona np. 80 proc. pierwotnej ceny. Wystarczy wówczas obniżyć ją jeszcze o 5 proc., a nie o 25 proc.



## W nowelizacji są też przewidziane nowe rozwiązania dotyczące składania wniosków o refundację?

Dotyczą one m.in. nowych ścieżek refundacyjnych. Zarówno nam, jak i pacjentom zależało na zmianie polegającej na tym, by Ministerstwo Zdrowia mogło wezwać firmę do złożenia wniosku refundacyjnego. To firma będzie decydować, czy złoży wniosek, jednak jest to ważny element stymulacji.

Kolejna zmiana: obecnie mamy trzy rodzaje dostępności do leków, czyli w aptece, w ramach katalogu chemioterapii i poprzez programy lekowe. Chcemy wprowadzić „czwartą dostępność”, która będzie połączeniem między programem lekowym a apteką. To oczekiwane m.in. przez pacjentów reumatologicznych; nie będą musieli przyjeżdżać po leki do szpitala.

Ważny jest też pomostowy dostęp do technologii medycznych. Obecnie na obwieszcze-

ni musi trwać, dlatego na tę skrótową nazwę „SZNUR” patrzę, myśląc nie tyle o „szybkiej”, co o „szerokiej” nowelizacji ustawy. Jeśli są tu 52 zmiany, to jest to „szeroka” nowelizacja. Chcemy przeprowadzić ją w taki sposób, by pacjenci mieli jak najwięcej korzyści.

## Każdy minister odpowiedzialny za politykę lekową ma swoje priorytety. Co dla Pana jest najważniejsze: choroby rzadkie, cywilizacyjne, onkologia?

Nie mogę być nakierunkowany na jedną dziedzinę. Patrzę szeroko, ponieważ rozmawiam zarówno z pacjentami, którzy mają choroby cywilizacyjne, np. onkologiczne czy rzadkie. Chciałbym utrzymać wysoki poziom nowych refundacji. Na razie mi się to udaje. W 2023 r. mieliśmy 145 nowych częściczkowskazań w refundacji, w 2024 r. – 135. Na pierwszej liście styczniowej w 2024 r. było 17 częściczkowskazań, a w styczniu 2025 r.

płatnych dla pacjenta, a firmy nie składają wniosków o refundację ze względu na dościsłe koszty.

Moim kolejnym priorytetem są wyroby medyczne. To temat zaniedbany. Staramy się to zmienić, ponieważ miliony Polaków używają wyrobów medycznych. Chciałbym, by więcej nowoczesnych wyrobów medycznych wchodziło do refundacji. To nie jest jednak łatwa kwestia. Obserwuję, że jeśli więcej środków przeznaczamy na refundację wyrobów medycznych, często nie stają się one bardziej dostępne, tylko ich cena rośnie.

I jeszcze jeden priorytet, o którym już mówiłem: wsparcie dla sektora farmaceutycznego, współpraca z Ministerstwem Funduszy i Polityki Regionalnej oraz ogromna praca w Radzie UE, czyli prace nad pakietem farmaceutycznym i Critical Medical Act (Akt o Lekach Krytycznych). To ważne m.in. ze względu na sytuację na świecie.

## Są kraje UE, które w ogóle nie produkują leków. My jesteśmy w dobrej sytuacji, ponieważ mamy krajowych producentów, a także firmy zagraniczne, które zainwestowały w Polsce. Musimy ich wspierać.

niu refundacyjnym pojawiają się nowe leki, często przełomowe, jednak bywa, że mija wiele miesięcy, zanim z tych terapii będą mogli skorzystać pacjenci, ponieważ niezbędne jest rozpoznanie konkursów przez NFZ, podpisanie umów ze świadczeniodawcami. Chcemy to zmienić, by był możliwy tryb pomostowy, a lek dla pacjenta był dostępny następnego dnia po obwieszczeniu – na koszt firmy, która zawarła umowę o refundacji.

Kolejna kwestia to wprowadzenie analizy wielokryterialnej przy podejmowaniu decyzji refundacyjnych: jest to szczególnie ważne w przypadku leków w chorobach rzadkich. Chcemy brać pod uwagę nie tylko cenę, ale też skuteczność i brak technologii alternatywnej w danej chorobie.

## Dzięki temu pacjenci będą szybciej otrzymywać innowacyjne leczenie?

Szybciej, a jednocześnie będą mieli szansę na skuteczniejsze leczenie. Wspomniała Pani o „szybkiej nowelizacji ustawy refundacyjnej”. Jeśli chodzi o szybkość, to minęło już kilka miesięcy, proces uzgodnień i legislacji


– 31 pozycji, w tym 12 w chorobach rzadkich.

Jeszcze jedna ważna kwestia: nowelizacja ustawy refundacyjnej dała nam możliwość wykorzystania nowego instrumentu, jakim jest stworzenie listy leków o ugruntowanej skuteczności klinicznej. Pierwsza tego typu lista – kardiologiczna – ukażała się jesienią 2024 r. Niedawno Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji przedstawiła propozycję dotyczącą kolejnej listy – onkologicznej. Obecnie nad nią pracujemy. Być może w 2025 r. pojawią się również listy obejmujące kolejne dziedziny, np. gastroenterologię, ginekologię, endokrynologię. Jest wiele grup leków, obecnie pełno-

## Współpraca europejska ma na celu również zabezpieczenie bezpieczeństwa lekowego w Polsce?

Zdecydowanie. Chodzi o to, żeby w różnych miejscach Europy były wytwarzane leki, które zabezpieczą całą Europę. Żaden kraj nie będzie dla siebie w pełni wystarczający.

## Czy można być pewnym, że nas to zabezpieczy; np. fabryka produkująca we Francji dostarczy leki do Polski w przypadku kryzysu?

Jesteśmy częścią UE. Akt o Lekach Krytycznych ma spowodować zapewnienie bezpieczeństwa lekowego. Są kraje UE, które w ogóle nie produkują leków. My jesteśmy w dobrej sytuacji, ponieważ mamy krajowych producentów, a także firmy zagraniczne, które zainwestowały w Polsce. Musimy ich wspierać, ale jednocześnie wspólnie pracować w Europie. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **KATARZYNA PINKOSZ**

## Wiceminister zdrowia Marek Kos

– w Ministerstwie Zdrowia odpowiada m.in. za politykę lekową i ratownictwo medyczne. Wcześniej był m.in. dyrektorem Szpitala Specjalistycznego w Sandomierzu, adiunktem Katedry i Zakładu Zdrowia Publicznego UM w Lublinie, dyrektorem SPZOZ w Kraśniku, lekarzem zespołów wyjazdowych Pogotowia Ratunkowego w Lublinie, biegłym sądowym Sądu Okręgowego w Lublinie. Jest też radnym Sejmiku Województwa Lubelskiego. Ma specjalizację z chirurgii ogólnej i zdrowia publicznego.

# Mobilizują i wspierają nas pacjenci

Rozmowa z wiceminister zdrowia

**PROF. URSZULĄ DEMKOW.**

**Pani Minister, w Ministerstwie Zdrowia odpowiada Pani za Plan dla Chorób Rzadkich, ale też zawsze z ogromną empatią wypowiada się Pani na temat pacjentów z tymi chorobami. Jak to się stało, że to właśnie one znalazły się w centrum Pani zainteresowań?**

Zawsze interesowałam się dziedzinami, które stanowiły wyzwanie. Pierwszą była immunologia (mam z niej specjalizację), kolejną – genetyka. Z naukowego punktu widzenia choroby rzadkie są bardzo ciekawe pod względem ich powstawania i patogenez. Nawet mały błąd w genomie powoduje chorobę na całe życie. Poszukiwanie patogenez chorób jest wymagające, a ja chciałam zrozumieć, jak działa ludzki organizm. Zwykle dość dużo wiemy o chorobach, które są powszechne – ich przyczyną jest wieloczynnikowa. W przypadku chorób rzadkich i ultrarzadkich wiedza była ograniczona. Obecnie prowadzonych jest wiele badań, ponieważ dysponujemy nowoczesnymi narzędziami do analizy genomu oraz możliwością naprawy jego błędów. To niesamowity postęp. Medycyna dynamicznie się rozwija, dzięki czemu możemy pacjentom zaoferować coraz więcej możliwości leczenia.

**Spotykała Pani też na swojej drodze lekarskiej osoby z chorobami rzadkimi...**

To druga perspektywa – lekarza i po prostu człowieka. Większość chorób rzadkich dotyczy dzieci. Wiele z nich ma bardzo ciężki przebieg. Części dzieci niestety nie udaje się uratować, inne wymagają szczególnego wsparcia. To ogromne wyzwanie medyczne, nierozzerwalnie związane z cierpieniem. Dla rodziców diagnoza, ciężkiej i nieuleczalnej choroby u dziecka to niewyobrażalny ciężar. Często przychodziły do nas zdesperowane mamy ze swoimi dziećmi – badaliśmy

je, diagnozowaliśmy, szukaliśmy ścieżki pomocy. Nawet jeśli wciąż brakuje metody leczenia – bo nie opracowano jeszcze skutecznej terapii – to już samo postawienie diagnozy jest krokiem naprzód. Opis podobnych przypadków w światowej literaturze medycznej może ułatwić poszukiwanie wsparcia.

W przypadku ciężko chorych dzieci ogromnym problemem jest to, że nawet 70 proc. małżeństw rozpada się. Samotne matki to prawdziwe bohaterki. Często nie mogą pracować, ponieważ dziecko wymaga opieki przez całą dobę. Brak możliwości pracy skazuje je na ubóstwo i życie w niepewności. Jako lekarz, który ma możliwości pomocy, uznałam, że to jest moja droga: muszę wspierać tych, którzy potrzebują tego najbardziej. Wiele takich dzieci diagnozowaliśmy – czasem udawało się znaleźć terapię, a jeśli nie, to przynajmniej wesprzeć mamę lub rodziców w opiece na tyle, na ile było to możliwe.

**Jako wiceminister zdrowia i osoba odpowiedzialna za Plan dla Chorób Rzadkich ma Pani dziś szansę na to, by pomóc większej grupie osób. Plan dla Chorób Rzadkich funkcjonuje już od ponad roku. Co konkretnie w tym czasie udało się już zrobić?**

Wszystkie zadania Planu zostały rozpoczęte. Już udało się wprowadzić do koszyka świadczeń gwarantowanych badania genetyczne metodą mikromacierzy aCGH i qRT-PCR. Obecnie pracujemy nad rozszerzeniem dostępu do badań całogenomowych, takich jak sekwencjonowanie całego genomu (WGS) i całego eksomu (WES). W koszyku świadczeń znajdzie się także szeroki zakres badań biochemicznych, enzymatycznych i immunologicznych, które będą dodatkowo finansowane. Oznacza to, że ich koszty nie będą obciążały szpitali – NFZ zapłaci za nie dodatkowo.

**Dzięki temu uda się w wielu przypadkach przyspieszyć diagnostykę, skrócić tzw. odyseję diagnostyczną pacjentów?**

Na pewno diagnostyka ulegnie skróceniu, ponieważ szpitale nie będą musiały ponosić kosztów tych badań. Dotychczas często to rodzice musieli je finansować – o ile było ich na to stać. Gdy badania znajdują się w koszyku świadczeń gwarantowanych, NFZ pokryje ich koszty, co znacząco odciąża rodziny. A trzeba pamiętać, że opieka nad ciężko chorym dzieckiem wiąże się z ogromnymi wydatkami – nie tylko na leczenie, ale także wielospecjalistyczną pomoc i rehabilitację, której dostępność wciąż jest ograniczona.





### Jak obecnie wygląda kwestia ośrodków leczenia pacjentów z chorobami rzadkimi?

Mamy 44 ośrodki, które są częścią europejskiej sieci referencyjnej, ale to wciąż zdecydowanie za mało. Obecnie Rada ds. Chorób Rzadkich przygotowuje kryteria kwalifikacji dla placówek, które chciałyby

stać się centrami leczenia chorób rzadkich. Warunkiem jest doświadczenie w leczeniu tych schorzeń, odpowiednio wykwalifikowana kadra, a także dostęp do technologii pozwalającej na zapewnienie właściwej diagnostyki.

Potrzebne są również zmiany legislacyjne dotyczące powołania ośrodków

eksperymentalnych chorób rzadkich. Chcemy dołączyć ten przepis do bliskiej czasowo i tematycznie ustawy, którą właśnie procedujemy, aby jak najszybciej utworzyć nowe ośrodki.

**Tylko kilka procent chorób rzadkich ma możliwości leczenia. W Polsce dostęp do terapii w chorobach rzadkich poprawia się, jednak wciąż jeszcze na te leki pacjenci długo czekają.**

Z ostatniego raportu przedstawionego podczas Dnia Chorób Rzadkich przez dr. Jakuba Gierczyńskiego wynika, że średni czas oczekiwania na dostęp do nowych terapii skrócił się ponaddwukrotnie – z 500 do ok. 200 dni. To już postęp. Warto jednak pamiętać, że tempo wprowadzania terapii zależy także od firm farmaceutycznych, które muszą złożyć wniosek refundacyjny. Zdarzały się już takie przypadki, kiedy musieliśmy prosić o złożenie wniosku, ponieważ lek był pilnie potrzebny, a życie dzieci zagrożone.

Procedura refundacyjna została znacząco skrócona, a nasz proces legislacyjny działa bardzo sprawnie. Dodatkowo przepisy europejskie będą zobowiązujące, by czas od rejestracji leku do uzyskania zgody na refundację był taki sam we wszystkich krajach UE. Na pewno skutkuje to realnymi korzyściami dla pacjentów.

### Współpraca z Europą może pomóc pacjentom z chorobami rzadkimi?

Oczywiście. W Polsce może zdarzyć się sytuacja, w której pacjent dotknięty daną chorobą będzie tylko jeden. W takich przypadkach wiedza i doświadczenie w leczeniu są mocno ograniczone. W Europie znajdziemy więcej pacjentów z podobnymi dolegliwościami, dlatego pierwszą korzyścią jest dzielenie się wiedzą i doświadczeniem oraz możliwość korzystania przez naszych pacjentów z ośrodków zagranicznych. W przypadku chorób ultrarzadkich być może wystarczy jeden wyspecjalizowany ośrodek na całą Europę, gdzie pacjent otrzyma wskazówki dotyczące dalszej opieki.

Europejska Przestrzeń Danych Cyfrowych (European Health Data Space, EHDS) pozwoli na łączenie zasobów wiedzy o chorobach rzadkich i na stworzenie bazy, z której wszyscy będziemy mogli korzystać.

**Diagnozowaliśmy wiele dzieci z ciężkimi chorobami uwarunkowanymi genetycznie. Jako lekarz, który ma możliwości pomocy, uznałam, że to jest moja droga: muszę wspierać tych, którzy najbardziej potrzebują pomocy.**


Ważne jest również to, że Europa posiada specjalne fundusze na choroby rzadkie. Program JARDIN ma poprawić diagnostykę, leczenie i opiekę nad pacjentami z chorobami rzadkimi. Z kolei Europejski Sojusz Badań nad Rzadkimi Chorobami (ERDERA) wspiera badania w tej dziedzinie. Cieszę się, że współpraca między ERDERA a naszą Agencją Badań Medycznych już się rozpoczęła. 10 i 11 kwietnia w ramach

Niektóre kraje europejskie realizują już nawet piątą edycję Planu dla Chorób Rzadkich. Chcielibyśmy, aby w Polsce powstała ustawa o chorobach rzadkich. Dzięki temu wiele spraw moglibyśmy zagwarantować ustawowo. Po wdrożeniu zadań zawartych w obecnym Planie z pewnością pojawią się kolejne wyzwania. W połowie 2025 r. dokonamy ewaluacji, by sprawdzić, jakie są szanse na zakończenie wszystkich działań

robami rzadkimi. Tworzone są nowe, innowacyjne rozwiązania diagnostyczne i terapeutyczne. Już teraz mamy dostęp do badań całogenowych, ale pozwalają one na rozpoznanie 30-40 proc. chorób genetycznych nie uwarunkowanych. W przypadku pozostałych 70-60 proc. nadal nie potrafimy znaleźć defektu w genomie odpowiedzialnego za przyczynę ich powstawania. Wciąż nie wiemy, do czego służy 98 proc. genomu człowieka. To ogromne pole do odkryć naukowych. Na pewno będą pojawiały się nowe testy diagnostyczne, nowe terapie, także genowe. Z czasem będziemy potrafili coraz skuteczniej naprawiać uszkodzenia w genomie. Bardzo bym chciała, żebyśmy mogli jak najszybciej zaoferować takie terapie pacjentom w Polsce.

**Będą pojawiały się nowe testy diagnostyczne, nowe terapie, także genowe. Z czasem będziemy potrafili coraz skuteczniej naprawiać uszkodzenia w genomie. Bardzo bym chciała, żebyśmy mogli jak najszybciej zaoferować takie terapie pacjentom w Polsce.**

**Rozwój nauki to szansa dla pacjentów z chorobami rzadkimi? Świetnie to Pani rozumie jako naukowiec i lekarz...**

Bardzo się cieszę, że mogę starać się pomóc tak wielu osobom, szczególnie dzieciom i ich rodzicom, których życie jest bardzo trudne. Wiele w ostatnim czasie zmienia się w Polsce, również dlatego, że grupa specjalistów, którzy zajmują się chorobami rzadkimi, jest bardzo dobrze zorganizowana. Mam tu na myśli, poza Ministerstwem Zdrowia i ekspertami klinicznymi, także organizacje pacjentów zrzeszone choćby w Krajowym Forum na rzecz Terapii Chorób Rzadkich ORPHAN. Jest również wielu mądrych, empatycznych lekarzy pasjonatów, którzy niezależnie od wynagrodzenia i poświęconego czasu chcą pomóc pacjentom. Wiele dzieje się również w naszych laboratoriach naukowych. Mam nadzieję, że w przyszłości zobaczymy firmy biotechnologiczne, które będą oferować również terapie komórkowe, genowe, pomocne dla pacjentów z chorobami rzadkimi. Pacjenci nas mobilizują i wspierają. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **KATARZYNA PINKOSZ**

polskiej prezydencji w Radzie UE organizujemy w Warszawie konferencję na temat chorób rzadkich. Przyjadą do nas najważniejsze osoby z Europy zajmujące się tymi chorobami. Drugi dzień konferencji będzie współprowadzony przez ERDERA i ABM.

Muszę powiedzieć, że przez wiele lat w Polsce mieliśmy duże trudności, jeśli chodzi o opiekę nad pacjentami z chorobami rzadkimi. 31 grudnia 2023 r. wygasł pierwszy Plan dla Chorób Rzadkich; drugi został stworzony na nowo. Obecnie wiele się zmienia, a korzystając z tego, że w tym półroczu Polska sprawuje prezydencję w Europie, chcemy pokazać również nasze osiągnięcia. To m.in. skryning noworodkowy – jesteśmy pod tym względem na drugim miejscu wśród krajów europejskich. Będziemy do skryningu dodawać kolejne badania – w tym roku chcemy zacząć wykrywać w ramach przesiewu noworodkowego sześć kolejnych chorób. Mamy również bardzo dobry program leczenia SMA (rdzeniowego zaniku mięśni). Pod względem rozwinięcia cyfrowego systemu zarządzania ochroną zdrowia jesteśmy na piątym miejscu w Europie. Chcemy to pokazać, jak również wpisać się w plany Europy dotyczące poprawy opieki nad pacjentami z chorobami rzadkimi.

**Pierwszy Plan dla Chorób Rzadkich wygasł z końcem grudnia 2023; obecny skończy się w grudniu 2025. Czy będzie jego kontynuacja?**

obecnego Planu w 2025 r. i podjąć decyzję o kolejnych krokach.

**Pani poseł prof. Alicja Chywicka mówi, że chciałaby, żeby leczenie chorób rzadkich było kiedyś tak dobrze zorganizowane, jak w onkologii i hematologii dziecięcej. A jak według Pani powinna wyglądać opieka nad pacjentami z chorobami rzadkimi. Co jest najważniejsze?**

Leczenie nowotworów u dzieci jest skomplikowane, jednak problem chorób rzadkich jest jeszcze bardziej złożony, choćby patrząc na liczbę. W Polsce rocznie notujemy ok. 1200 przypadków zachorowań na nowotwory u dzieci, z czego większość stanowią białaczki i chłoniaki. Z chorobami rzadkimi zmagają się kilka milionów osób, a choroby te są bardzo mocno różnicowane.

Uważam, że kluczowe jest jak najszybsze wdrażanie innowacji, które pojawiają się na świecie. W licznych ośrodkach naukowych prowadzone są badania nad wieloma aspektami powiązanych z cho-

## Wiceminister zdrowia prof. Urszula Demkow

– ma specjalizację w dziedzinie chorób wewnętrznych, immunologii, alergologii i diagnostyki laboratoryjnej. W Ministerstwie Zdrowia jest odpowiedzialna m.in. za wdrażanie Planu dla Chorób Rzadkich.

**Została Pani przewodniczącą Parlamentarnego Zespołu ds. Chorób Rzadkich – i od tej pory prace nad zmianami dla pacjentów z chorobami rzadkimi nabrały rozpędu.**

Jeśli chodzi o czyjeś życie, ludzkie dobro, to trzeba działać, robić wszystko, co można. Niemożliwe nie istnieje.

**Jak to się stało, że zajęła się Pani chorobami rzadkimi?**

Przewodniczącą zespołu zostałam przez przypadek, jednak właściwie to przez całe życie zajmowałam się chorobami rzadkimi, ponieważ cała onkologia i hematologia dziecięca to choroby rzadkie, a często nawet ultraradkie. W przypadku onkologii i hematologii dziecięcej sposób organizacji i leczenia mogą być wzorem; wszystko jest perfekcyjnie zorganizowane, począwszy od bardzo szybkiego rozpoznania. Popatrzmy na onkologię dorosłych: w przypadku karty DILO czas na rozpoznanie choroby wynosi 6 tygodni; w przypadku onkologii i hematologii dziecięcej, gdybyśmy diagnozowali 6 tygodni, to tych dzieci by już nie było! Białaczka u dziecka musi być rozpoznana w ciągu 2-3 dni, często robimy to jeszcze szybciej, a leczenie musi być wdrożone od razu.

Choroby rzadkie to jedna z najbardziej zaniedbanych dziedzin – szybko się o tym przekonałam.

**W przypadku chorób rzadkich diagnostyka często trwa bardzo długo. Czy jest szansa, żeby to zmienić?**

To trudny temat, na razie żaden kraj sobie z tym nie poradził. Podobne problemy są w całej UE, jeśli chodzi o czas stawiania diagnozy. Konieczna jest współpraca w całej Europie, ponieważ inaczej nie damy rady zorganizować opieki tak perfekcyjnie, jak to się udało w przypadku onkologii i hematologii dziecięcej. Niezbędna jest współpraca na każdym polu – diagnostycznym, terapeutycznym. W niektórych przypadkach chorób ultraradkich ośrodki diagnostyki i leczenia mogą być wspólne dla całej Europy.

Europa powinna też bardziej skupić się na nowych terapiach dla chorób rzadkich. Moim zdaniem to wstyd, że terapie genowe powstają poza Europą. Bardzo bym chciała, żeby były tworzone również w Europie, w tym w Polsce. Uważam też, że jeśli potrzebujemy leku ratującego życie, a firma nie składa wniosku o objęcie go refundacją, to

# Niemożliwe nie istnieje

– mówi **PROF. ALICJA CHYBICKA**, przewodnicząca Parlamentarnego Zespołu ds. Chorób Rzadkich.



musi być możliwość zakupienia takiego leku. W onkologii i hematologii dziecięcej jest to możliwe, ale ta ścieżka „nie działa” w zakresie chorób rzadkich. To trzeba zmienić.

**Leczenie chorób rzadkich często jest bardzo kosztowne i tu pada pytanie: będzie nas na to w Polsce stać?**


Uważam że tak, w szczególności gdy będziemy działać jako Europa. My też mamy osiągnięcia w chorobach rzadkich – przykładem są badania przesiewowe noworodków, zaopiekowanie się niektórymi chorobami neurologicznymi, jak choćby SMA. Możemy tworzyć dobre ośrodki diagnostyczne. W przypadku bardzo rzadkich chorób być może trzeba będzie, żeby pewna grupa chorób miała ośrodek wiodący w Polsce, a inna np. we Francji, ale w Polsce też powinno być centrum, które będzie mogło skonsultować się z ośrodkiem za granicą mającym większe doświadczenie w leczeniu danej choroby.

**Jako przewodnicząca Parlamentarnego Zespołu ds. Chorób Rzadkich – jakie najważniejsze problemy Pani widzi?**

Problemów jest wiele. Po pierwsze – za późna diagnostyka; odyseja diagnostyczna, o której mówimy. Konieczna jest poprawa diagnostyki: prof. Anna Latos-Bieleńska napisała superprogram, jeśli chodzi o badania genetyczne, chcemy to wprowadzić. Po drugie, konieczne jest tworzenie ośrodków chorób rzadkich: one już istnieją, jednak jest ich za mało. W każdej dziedzinie medycyny powinien być co najmniej jeden ośrodek specjalizujący się w diagnostyce i leczeniu chorób rzadkich. Kolejna rzecz – brakuje holistycznej opieki dla osób z chorobami rzadkimi. Nie chodzi tylko o leki, potrzebna jest rehabilitacja, opieka psychologiczna, socjalna.

A jeśli chodzi o choroby rzadkie, to w Polsce wciąż często sięganie po nowoczesne leki trwa za długo. A to potem „kosztuje”, gdyż objawy rozwijają się, pojawiają się poważne powikłania, często niemożliwe do cofnięcia. Ale w wielu przypadkach postęp choroby można zatrzymać. Dlatego konieczne jest to, żeby leki były dostępne.

**Spywa do Pani cały worek próśb od osób chorujących na choroby rzadkie, ich rodzin, organizacji pacjentów?**

To prawda – dostaję bardzo dużo próśb: często są to pacjenci (lub ich rodziny) z chorobami, których nazwę pierwszy raz słyszę. Zapoznając się z nimi, zapraszam na spotkanie Zespołu, staramy się pomagać. Mam przed oczami to, co udało nam się stworzyć w przypadku onkologii i hematologii dziecięcej. Dążę do tego, by tak samo stało się w przypadku chorób rzadkich. To bardzo trudne, ze względu na to, że mamy 8-10 tys. chorób rzadkich; w Polsce choruje na nie ponad 3 mln osób. Nie ma jednak rzeczy niemożliwych, dlatego wierzę, że to się uda. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **KATARZYNA PINKOSZ**



**Ubiegłe lata były rekordowe pod kątem liczby nowych leków, które znalazły się w refundacji. Często jest Pan pytany na wielu konferencjach o konkretne leki, kiedy staną się dostępne dla pacjentów, ale chciałabym zapytać szerzej: jakie według Pana są priorytety, jeśli chodzi o politykę lekową?**

Według mnie na pewno priorytetem na najbliższe miesiące jest nowelizacja ustawy refundacyjnej. Projekt pierwotnie miał poprawić wadliwe zapisy ustawy i być szybko procedowany, jednak podeszliśmy do tematu ambitnie, ponieważ rzadko jest szansa, by zająć się ustawą, która dotyka interesów tak wielu stron, a nadal nie rozwiązuje wielu kluczowych kwestii. Stąd ciągnie się za nami obietnica dla społeczeństwa złożona w samej zaproponowanej nazwie projektu roboczego SZNUR – czyli Szybka Nowelizacja Ustawy o Refundacji, która potem była nazywana Szeroką Nowelizacją Ustawy o Refundacji. Porównując ją z poprzednią nowelizacją pod względem czasu procedowania oraz rozległości zapisów, śmiało mogę przyznać że jest i szybka i szeroka, i mam nadzieję, że zostanie odebrana jako Systemowa Nowelizacja Ustawy o Refundacji. Celem tych zmian legislacyjnych jest przede wszystkim zwiększenie potencjału terapeutycznego dla pacjenta i jego dostępności poprzez stworzenie rozsądnego środowiska prawnego, dającego stabilne warunki funkcjonowania na rynku polskim, uelastycznienie ścieżek procedowania, rozwiązanie problemów, które nawarstwiały się latami i były pozostawione bez propozycji rozwiązań kompleksowych, oraz zwiększenie potencjału informatyzacji kolejnych obszarów działalności administracyjnej. W samej ustawie planujemy ok. 60 zmian. To m.in. wprowadzenie nowych trybów postępowania – np. dających ministrowi zdrowia możliwość realnego kreowania polityki lekowej, czyli np. wzywania firm farmaceutycznych do złożenia wniosków refundacyjnych. Kolejną rzeczą to analiza wielokryterialna, czyli inne podejście do chorób rzadkich i ultraradkich. Ważną sprawą jest też pomostowy dostęp do leków dla pacjentów w programach lekowych, by pacjenci szybciej mogli skorzystać z nowych leków, nie czekając, aż ośrodki podpiszą kontrakty z NFZ.

Nie można zapomnieć również o bardzo ważnym priorytecie, jakim jest wzmacnianie bezpieczeństwa lekowego Polski, stanowią-



## Na ten rok mamy kilka priorytetów

Rozmowa z **MATEUSZEM OCZKOWSKIM**, zastępcą dyrektora Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji Ministerstwa Zdrowia.

cego kolejny etap po stworzeniu polskiej listy leków w systemie refundacyjnym, oraz liście leków krytycznych, co będzie realizowane dwutorowo. Z jednej strony pod postacią wypracowania zachęt oraz wsparcia dla przemysłu do podjęcia decyzji o rozpoczęciu produkcji lub utrzymaniu produkcji leków krytycznych w naszym kraju, a z drugiej w zakresie polskiej prezydencji w Radzie Unii Europejskiej. Przez najbliższe pół roku duża część naszego departamentu pod kierownictwem dyrektora Katarzyny Piotrowskiej-Radziejewicz, która jest profesjonalistką w zakresie prawodawstwa europejskiego, będzie zajmować się negocjacjami pakietu farmaceutycznego oraz pracą nad Critical Medical Act.

### A prace nad nowymi terapiami?

Nie porzucimy prac nad implementacją nowych terapii i będziemy chcieli utrzymać

podobną dynamikę jak w poprzednich latach, jednak ten rok jest przede wszystkim rokiem zmian systemowych, które mają usprawnić procesy refundacyjne, zwiększyć dostępność terapeutyczną dla pacjenta, usprawnić i uelastyczyć pewne kanały dostępności.

To pierwsza nowelizacja ustawy, którą zajmuję się osobiście, i nigdy bym nie pomyślał, że może być coś ważniejszego niż praca nad zwiększaniem wachlarza terapeutycznego dla polskiego pacjenta. Tutaj może przemawiało przede mną dotychczas moje medyczne wykształcenie. Tworzenie prawa ma jeszcze większe oddziaływanie społeczne, za to wiąże się niewątpliwie z o wiele większą odpowiedzialnością za ich implementację. Wprowadzane zmiany nie mogą być kaprysem chwili czy bazować na jednostkowych przypadkach pod wpływem emocji czy negatywnych doświad-

czeń. Muszą być dogłębnie przeanalizowane i uzgodnione z szerokim gronem interesariuszy. Tego zdecydowanie zabrakło przy poprzedniej nowelizacji.

Zamierzamy również pracować nad kolejnymi etapami wprowadzenia narzędzia usprawniającego mechanizm automatyzacji refundacji.

### Lekarz nie będzie musiał pisać na receptę poziomu refundacji?

Tak, to kolejne rozwiązanie systemowe, o które lekarze zabiegali od dawna. Przez długi czas nikt nie miał odwagi, by zająć się tym problemem, jednak mój zespół podjął rękawicę i zaproponował model narzędzia, które jest w swoich założeniach całkowicie bezkosztowe dla płatnika publicznego. Tak jak w pozostałych krajach europejskich lekarz nie będzie wskazywał poziomu odpłatności pacjenta. Jego zadaniem będzie tylko i wyłącznie to, co jest nieodłącznym elementem deontologii jego zawodu, czyli wskazanie konkretnego stanu klinicznego pacjenta, na podstawie którego system wskaże, czy pacjent ma w tym wypadku prawo do refundacji i nałoży określony jego poziom. Lekarz korzystający z tego narzędzia będzie zwolniony z sankcji finansowych związanych z nałożeniem refundacji na dany lek. Co najważniejsze w przypadku chorób przewlekłych, których jest zdecydowana większość, lekarz będzie wykonywał ten proces tylko raz w całym procesie terapeutycznym dla jednej substancji czynnej w danym wskazaniu. Niestety nawet intensywnie rozwijająca się sztuczna inteligencja na początku potrzebowała załadowania informacjami, aby intuicyjnie podpowiadać pewne rozwiązania. Natomiast po przeprowadzeniu naszych analiz jakości danych dostarczanych płatnikowi publicznemu przez preskryptorów w zakresie samych rozpoznań w przypadku wystawiania recept refundowanych pozostawia wiele do życzenia i będzie wymagała czasu na uzupełnienie po stronie wszystkich jego użytkowników. Zespół roboczy w Departamencie jest w trakcie weryfikowania poszczególnych plików, pozostając w kontakcie z przedstawicielami firm farmaceutycznych i konsultantów krajowych. Kolejnym etapem jest rozpoczęcie już właściwego procesu produkcyjnego po stronie Centrum e-Zdrowia. Dzięki temu rozwiązaniu zdecydowanie skróci się droga pacjenta do uzyskania leku refundowanego.

Chciałbym, aby rok 2025 był również rokiem budowania świadomości pacjentów o ekonomice zdrowia w polskim systemie refundacyjnym. To okazja, by wreszcie zacząć edukować, jakie możliwości i ograniczenia ma Ministerstwo Zdrowia, a jakie pacjent, co można usprawnić, od czego zależą pewne procesy, jak się poruszać po systemie refundacyjnym, wytłumaczyć zjawiska oraz tendencje w zakresie cen oraz dostępności. Do tej pory takie informacje w większości przypadków były zdobywane przez czytanie stron branżowych, udział w tematycznych

niejsze, jednak obarczone są coraz częściej wysokokosztowym leczeniem działań niepożądanych samego leku docelowego – mam tu na myśli terapie CAR-T, gdzie konieczne jest podawanie przeciwciał monoklonalnych albo przeciwciał bispecyficznych wymagających z kolei podania immunoglobulin. Nowe terapie, które wchodzą do refundacji, niejednokrotnie kosztują miliony złotych za rok leczenia pacjenta czy jednorazowe podanie, wobec tego nie jest to żadnym wyzwaniem finansowym dla podmiotu odpowiedzialnego w zakresie wypracowania

## Ten rok jest rokiem zmian systemowych, które mają m.in. usprawnić procesy refundacyjne, zwiększyć dostępność terapeutyczną dla pacjenta.


konferencjach i debatach, zapoznawaniu się z raportami zewnętrznymi albo przez udział w szkoleniach kancelarii prawnych obsługujących wnioski refundacyjne. Departament zaczął przeprowadzać szkolenia dla organizacji pacjenckich zrzeszonych przy Rzeczniku Praw Pacjenta czy Ministrze Zdrowia w zakresie polskiego systemu refundacyjnego czy planowanych zmian w nowelizacji ustawy o refundacji. Mamy plany wydania również szeregu raportów, m.in. z działalności Komisji Ekonomicznej za 2024 r., raportu o polityce lekowej podsumowującej obszary działań Ministerstwa Zdrowia i organów podległych w 2024 r. oraz przedstawienie najważniejszych priorytetów działań na 2025 r. Pojawiają się też informatory dla pacjentów w zakresie poruszania się w polskim systemie refundacji i dostępności do leków, darmowych wykazów leków oraz rynku wyrobów medycznych. Jednocześnie chcemy, aby powstały równoległe dedykowane temu strony internetowe.

### Jedną ze zmian w ustawie refundacyjnej będzie wprowadzenie zapisów, na podstawie których firma wprowadzająca nową terapię będzie ponosiła odpowiedzialność i płaciła za ewentualne działania niepożądane?

Tak, mam tu na myśli nie tylko kwestie działań niepożądanych, ale również straty technologiczne na lekach do podawania dożylnego w programach lekowych. Nowoczesne terapie są może i o wiele skutecz-

rozwiązania finansowego zabezpieczającego konsekwencje podania jego leku.

Z kolei straty technologiczne na lekach do podawania dożylnego, które zależne są od masy ciała, sięgają czasami nawet 40 proc. jego zawartości w fiolece. Im większy jest koszt takiej terapii, tym z większą stratą finansową zostaje szpital, który może rozliczyć się z NFZ za ilość podaną pacjentowi, a nie ilość, jaka była rzeczywiście w fiolece. To problem nierozwiązany od lat, którym warto zająć się systemowo.

Nie może zatem dochodzić do sytuacji, gdy świadczeniodawca rezygnuje z podania konkretnej terapii albo w ogóle nie decyduje się na zakontraktowanie nowego programu lekowego, ponieważ zastanawia się, jakie ukryte koszty dodatkowe poniesie – czy będzie musiał leczyć działania niepożądane na własny koszt i czy zostanie z dużą stratą technologiczną niemożliwą do wykorzystania. To są dwa wątki, które chcielibyśmy rozwiązać dodatkowo podczas konsultacji publicznych a które w projekcie się nie pojawiły, natomiast niewątpliwie stanowią wyzwanie dla świadczeniodawców, płatnika publicznego oraz podmiotów odpowiedzialnych i jest tu konieczność wypracowania rozwiązania kompromisowego. Mamy pomysły w tym zakresie, ale chcielibyśmy poznać również propozycje poszczególnych interesariuszy. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **KATARZYNA PINKOSZ**

**Nakłady na ochronę zdrowia w Polsce są wciąż jednymi z najniższych w UE, jednak w ostatnim czasie mocno wzrosły. Na razie nie przełożyło się to jednak ani na skrócenie kolejek do specjalisty, ani na ostateczny efekt, czyli na wydłużenie życia w Polsce: nadal jest ona krótsza niż w UE. Czy to dlatego, że wydatki na ochronę zdrowia w Polsce są zbyt niskie, czy dlatego, że Polacy nie dbają o własne zdrowie?**

Czy wydatki na tzw. medycynę naprawczą są podstawowym kryterium mającym wpływ na długość życia? Wydaje mi się, że nie. Nie oznacza to jednak, że nie powinniśmy dbać o to, by na ochronę zdrowia wydawać więcej pieniędzy. Oczywiście, można wykazać pozytywną korelację pomiędzy wydatkami na zdrowie i długością życia. Trzeba jednak być dość ostrożnym w prostym wykorzystywaniu statystyki. Jeśli patrzymy na UE, to najdłużej żyją Hiszpanie, a nie jest to państwo, które wydaje najwięcej na zdrowie w UE. Hiszpanie mają za to zdecydowanie najzdrowszą dietę.

**Chcielibyśmy jednak widzieć efekt wydawanych pieniędzy w postaci lepszego zdrowia i dłuższego życia...**

Mamy wiele opracowań naukowych, które wskazują na to, że medycyna naprawcza odpowiada za niewielki odsetek naszego zdrowia. Podstawowe parametry, które mają na to wpływ, to sposób życia, dieta, którą stosujemy, i używki, których nie stosujemy, czyli przede wszystkim tytoń i alkohol. Natomiast nie wynika z tego oczywiście, że nie powinniśmy zwiększać środków na ochronę zdrowia. Te wydatki powinniśmy zdecydowanie zwiększać. Na tle UE wydajemy mało na ochronę zdrowia, zarówno jeśli weźmiemy pod uwagę środki publiczne, jak łącznie środki publiczne i prywatne. Przekłada się to m.in. na gorszą dostępność do świadczeń. A z drugiej strony pieniądze, którymi dysponujemy, musimy wydawać jak najbardziej racjonalnie.

**Składka zdrowotna powinna być wyższa?**

Składka zdrowotna w Polsce jest niska (9 proc. w przypadku osób pra-

# Jest pomysł na skrócenie kolejek do specjalistów

– mówi **JAKUB SZULC**, zastępca prezesa NFZ.





cujących na umowę o pracę). To znacznie mniej niż np. w Czechach, gdzie ta składka dla osób zatrudnionych na umowę o pracę wynosi 13 proc. wynagrodzenia. Jednak nie jest rolą NFZ, by mówić, z jakiego źródła powinny pochodzić finanse na zdrowie. W latach 1997-1998 została podjęta decyzja, że ochrona zdrowia w Polsce będzie finansowana z odrębnej składki zdrowotnej. Jednak dziś już ok. 15 proc. środków w planie finansowym NFZ nie pochodzi ze składki zdrowotnej, tylko z różnego rodzaju dotacji. Przy tego rodzaju konstrukcji wydatków, jaką dziś ma NFZ, a która jest uwarunkowana kształtem przepisów, będzie się zwiększał odsetek pozaskładkowych środków wydawanych na ochronę zdrowia.

Z perspektywy NFZ mniejsze znaczenie ma to, czy pieniądze, którymi dysponujemy, pochodzą ze składki, czy z budżetu państwa. Większe znaczenie ma to, żeby zapewniły możliwość finansowania potrzebnych pacjentom świadczeń.

**Podczas debaty na temat finansowania ochrony zdrowia, która odbyła się podczas Forum Organizacji Pacjentów, Wojciech Wiśniewski z Federacji Przedsiębiorców Polskich wysunął tezę, że NFZ w 2025 r. nie będzie w stanie sfinansować tylu procedur, za które zapłacił w 2024 r. To prawda? Pacjenci, słysząc takie słowa, mają poważne obawy, czy dostaną leczenie...**

NFZ ma podpisane umowy i aneksy z placówkami medycznymi i bieżąca działalność NFZ nie jest w żaden sposób zagrożona. Płacimy nie tylko środki do wysokości umów, mamy też tzw. nadwykonania, świadczenia nielimitowane, których liczby nie jesteśmy w stanie dziś określić. Nie jesteśmy w stanie więc określić, w jakiej kwocie te wydatki w danym roku się zamkną. Nie mam jednak wątpliwości, że NFZ realizuje i będzie realizował wszystkie zobowiązania, do których jest zobligowany.

**Budżet NFZ jest coraz wyższy, wydajemy coraz więcej, ale zdrowia od tego Polakom nie przybywa. Jak**

**zmienić sposób opieki nad pacjentem, by efekty były bardziej widoczne?**

Jeśli spojrzymy na wydatki w ujęciu nominalnym, to one wzrosły bardzo dynamicznie przez ostatnie lata. Plan finansowy NFZ jest dwukrotnie wyższy niż 6 lat temu. Tylko że w tym czasie mieliśmy dwa lata z bardzo wysoką inflacją, która wpłynęła na koszt procedur medycznych.

Poza tym ważne jest to, żeby, podejmując decyzje dotyczące ochrony zdrowia w Polsce, pilnować skutków finansowych. NFZ obecnie finansuje świadczenia, które wcześniej były finansowane z budżetu państwa, budżetu Ministra Zdrowia, jak choćby programy polityki zdrowotnej, w tym leczenie hemofilii, leczenie antyretrowirusowe, ratownictwo medyczne. Mamy również niewątpliwie sukces systemowy, polegający na tym, że w końcu wynagrodzenia

polegające na tym, żeby przychodnie AOS przyjmowały większą liczbą pacjentów pierwszorazowych. Mamy paradoksalną sytuację, że od ponad 3 lat świadczenia w AOS są finansowane przez NFZ bez limitów, a tymczasem kolejki do specjalisty wcale się nie skracają, a wręcz przeciwnie – nawet lekko się wydłużyły. Gdy spojrzymy na liczbę pacjentów, którzy przychodzą do specjalisty po raz pierwszy, to ona nieco wzrosła, jednak rośnie też liczba osób, które czekają w kolejce. To chcielibyśmy zmienić. Zwłaszcza że w tej chwili nie ma już problemu z zatrudnieniem lekarzy w AOS. Jeszcze kilka lat temu ze świecą można było szukać lekarza, który chciałby pracować w AOS „na NFZ”, dziś zdecydowana większość specjalistów chce pracować w ramach kontraktu z NFZ, co też pokazuje, że to finansowanie istotnie się zmieniło.


## Jeśli patrzymy na Unię Europejską, to najdłużej żyją Hiszpanie, a nie jest to państwo, które wydaje najwięcej na zdrowie w UE. Hiszpanie mają za to zdecydowanie najzdrowszą dietę.

w ochronie zdrowia są naprawdę godne, a z drugiej strony nie pomyślano o zabezpieczeniu na nie pieniędzy. Dziś są one również finansowane ze składki zdrowotnej. Czyli z jednej strony mamy bardzo duże wzrosty nominalne w planie finansowym NFZ, a z drugiej strony – bardzo istotny wzrost obciążeń, które co roku ponosi NFZ.

**Na wzroście finansowania ochrony zdrowia, jeśli chodzi o procent produktu krajowego brutto, czy dwukrotnym wzroście finansów NFZ, bezpośrednio na razie niewiele skorzystali pacjenci. Co należałoby zmienić, żeby pacjent miał realną korzyść z tego, że zdecydowanie więcej pieniędzy przeznaczają się dziś na ochronę zdrowia niż jeszcze kilka lat temu?**

Musimy mocno pilnować racjonalnego wydawania pieniędzy. Planujemy już wkrótce zmiany przygotowane wspólnie z Ministerstwem Zdrowia,

**Pacjenci powinni jednak z AOS wracać pod opiekę POZ?**

Obecnie mamy w POZ opiekę koordynowaną w pięciu wybranych zakresach świadczeń, a z drugiej strony mamy leczenie w ramach AOS. Według mnie, teraz trzeba pracować nad wprowadzeniem takich mechanizmów, by pacjent trafił do specjalistów z rozpoznaniem, które nie mogą być leczone w opiece koordynowanej w POZ. Bo mam wrażenie, że obecnie funkcjonujemy w dwóch systemach, które niespecjalnie są ze sobą powiązane. Z jednej strony mamy opiekę koordynowaną w POZ, a z drugiej leczenie specjalistyczne w AOS. Lekarz, który prowadzi pacjenta w POZ, leczyc często pacjentów z tymi samymi rozpoznaniem jak specjalista w AOS, podczas gdy do specjalisty powinni trafiać ci pacjenci, których nie jest w stanie leczyć lekarz POZ. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **KATARZYNA PINKOSZ**

# Potrzebujemy radykalnych zmian

– mówi **WOJCIECH WIŚNIEWSKI**,  
ekspert systemu ochrony zdrowia.



**Z raportu Federacji Przedsiębiorców Polskich wynika, że za kilka lat dziura finansowa NFZ może wynieść nawet 250 mld zł. Suma oszałamiająca. Co to może oznaczać dla pacjentów?**

System finansowania ochrony zdrowia w Polsce po 25 latach samofinansowania się ze składek – tak był zaprojektowany – stał się niestabilnym systemem składkowo-budżetowym. Z naszego raportu wynika, że w coraz większym stopniu będzie on zależeć od dotacji budżetowych, czyli tego, co nie jest gwarantowanym przychodem Narodowego Funduszu Zdrowia. Mamy do czynienia z sytuacją, w której z czasów niedostatku – bo zawsze nakłady na ochronę zdrowia w Polsce były znacząco niższe niż średnia unijna – przechodzimy w czas, kiedy ten niedostatek jest jednocześnie zagrożony tym, że nie mamy pewności, że pieniądze budżetowe

trafią do systemu. Już w 2028 r. zapotrzebowanie na środki budżetowe w zdrowiu sięgną 90 mld zł rocznie. W tym roku – ponad 33 mld zł.

Wydatki budżetowe na zdrowie już za dwa lata będą wynosić więcej niż wydatki na program 800+. Ochrona zdrowia będzie więc podlegać corocznemu targowi politycznemu w ramach pracy nad ustawą budżetową. I pytanie, czy dla rządzących ważniejsza będzie ochrona zdrowia, czy inwestycje kolejowe albo energetyka jądrowa.

To bardzo niebezpieczne zjawisko, zawsze staraliśmy się zwrócić na to uwagę. Tym bardziej że toczą się dwa procesy legislacyjne, które mogą tę dziurę pogłębić. Ona może być nieznacznie mniejsza, bo o 216,5 mld zł – pod warunkiem że nie obniżymy składki dla przedsiębiorców i jeżeli nie będziemy procedować oby-

watelskiego projektu nowelizacji ustawy podwyżkowej, który jest w Sejmie.

**Przeciętny pacjent patrzy na kondycję systemu ochrony zdrowia przez pryzmat dostępności do specjalistów i terminów wizyt. Lekarze zarabiają coraz więcej dzięki corocznej waloryzacji, więc teoretycznie to powinno sprzyjać lepszej dostępności do lekarzy. Tymczasem kolejki są coraz dłuższe. Dlaczego tak się dzieje?**

Nie chciałbym wiązać kolejek z wynagrodzeniami, bo oczywiście te sprawy pośrednio są ze sobą związane, ale to nie jest tak, że wzrost lub spadek uposażeń wpływa na chęć realizacji świadczeń.

Widzimy, że system ochrony zdrowia staje się coraz mniej dostępny dla pacjentów. Cały czas liczba pacjentów oczekujących w trybie pilnym rośnie, a jednocze-

śnie bardzo dynamicznie rośnie mediana czasu oczekiwania, co pokazuje, że pacjenci mają coraz większe kłopoty z tym, aby dostać się do lekarza. Potrzebujemy radykalnych zmian w planowaniu polityki zdrowotnej, zmniejszenia presji kosztowej na Narodowy Fundusz Zdrowia bez stworzenia przestrzeni finansowej.

Metafora dziurawego wiadra w kontekście nakładów na zdrowie wyrządziła wiele złego, ale bez jakiegokolwiek zapasu finansowego trudno się spodziewać, że jakakolwiek reforma będzie wdrażalna. Bez podjęcia zdecydowanych działań, na przykład przyjęcia planu ratunkowego dla ochrony zdrowia, który jako FPP zaprezentowaliśmy w październiku ubiegłego roku, bez zwiększenia przychodów NFZ i radykalnej kontroli kosztów, niestety te negatywne zjawiska, które już dzisiaj dostrzegamy, będą coraz większe.

**Niedawno powstała komisja czy zespół deregulacyjny pod kierownictwem Rafała Brzosi. Gdyby miał Pan zgłosić**

byłby rozliczany rocznie w ramach podatku dochodowego.

Powinniśmy zastanowić się nad normami zatrudnienia, bo wiązanie personelu medycznego z pustymi łózkami, na przykład urologicznymi, nie ma żadnego sensu i nie przyczynia się do poprawy bezpieczeństwa czy dostępności opieki dla chorych.

Nasze pomysły dotyczą zwiększenia przychodów Narodowego Funduszu Zdrowia, podwyższenia składki zdrowotnej, większej solidarności rolników i urealnienia przychodów, bo przychody NFZ są mniejsze od zapotrzebowania systemu na pieniądze, co może kończyć się wyłącznie coraz gorszymi sytuacjami dla pacjentów.


Kolejna rzecz to kontrola kosztów, bo doszliśmy do momentu, kiedy NFZ pada ofiarą kolejnych zobowiązań, które są na niego nakładane, a nie otrzymał środków. Z tego powodu warto wyrazić solidarność z pracownikami NFZ, bo to, co się teraz będzie dziać, to nie jest kompletnie ich wina.

przecież nie symulują choroby. Im trzeba udzielić świadczeń. Musimy finansować POZ, bo pacjenci potrzebują lekarzy rodzinnych. Wydaje mi się, że nie ma jakiegoś wielkiego ruchu finansowego, jeżeli chodzi o optymalizację. Możemy oczywiście robić to, o czym mówi Ministerstwo Zdrowia, czyli lepiej zarządzać kolejką, bo system ma swoją określoną wyporność.

Są pewne rezerwy organizacyjne, ale bez stworzenia odpowiedniej przestrzeni finansowej naprawdę nie jest możliwe wdrożenie reformy, której oczekują polscy obywatele.

**Część pacjentów ucieka, w miarę możliwości, do prywatnej służby zdrowia. Czy kondycja publicznej służby zdrowia może się odbić na dostępie do prywatnej?**

Rynek prywatny w Polsce jest relatywnie płytki. W tym sensie, że Polacy mają niewiele oszczędności – według danych Narodowego Banku Polskiego tylko 8 proc. Polaków ma oszczędności przekraczające 50 tys. złotych. Można się spodziewać, że na jakieś proste wizyty ambulatoryjne, prostą diagnostykę, będzie zwiększony popyt, ale jeżeli chodzi o sektor szpitalny, to nie ma zbyt dużej podaży świadczeń po stronie sektora prywatnego, aby te potrzeby zdrowotne zaspokoić.

Na pewno będzie zwiększony popyt na usługi zdrowotne, ale proszę zwrócić uwagę, że z tej opcji skorzystają ludzie bardziej zamożni. My powinniśmy szukać rozwiązań opartych na publicznym finansowaniu ochrony zdrowia, jeżeli chcemy poprawić los polskich chorych. Mogą to być kontrakty NFZ z sektorem prywatnym, ale tylko publiczna ochrona zdrowia, w sensie finansowana ze środków publicznych, pozwoli odpowiedzieć na potrzeby polskich chorych. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiał **ADRIAN DĄBEK**

## Proponujemy wprowadzenie **czasowego odpisu podatkowego w wysokości 10 proc. od wydatków prywatnych na zdrowie**, który byłby rozliczany rocznie w ramach podatku dochodowego.

**tam jakąś propozycję uproszczenia, czy deregulacji zasad, reguł czy ścieżki, to co by to było w pierwszej kolejności?**

Zgłosiliśmy do rządu nasze propozycje, więc możemy je zgłosić też do innych gremiów. Moim zdaniem trzeba znówelizować ustawę gwarantującą podwyżki w ochronie zdrowia w taki sposób, aby dynamika wynagrodzeń była mniejsza. Nie jesteśmy w stanie udźwignąć tych kosztów.

Musimy rozpocząć metodę ograniczenia dynamiki rosnących kosztów wynagrodzeń kontraktowych. Należy połączyć składkę zdrowotną z chorobową w taki sposób, aby Narodowy Fundusz Zdrowia był żywo zainteresowany tym, aby było mniej zwolnień lekarskich. Proponujemy też wprowadzenie czasowego odpisu podatkowego w wysokości 10 proc. od wydatków prywatnych na zdrowie, który

**System ochrony zdrowia jest permanentnie niedofinansowany, a nie zawsze będzie można dosypywać kolejne miliony. A czy w obecnie istniejącym budżecie można coś poprzesuwać? Są jakieś rezerwy?**

Biorąc pod uwagę, w którym miejscu się znaleźliśmy, ja tych rezerw zbyt wiele nie widzę. Wiele wydatków w przypadku NFZ ma charakter sztywny. Pacjenci, którzy potrzebują opieki w szpitalach,



### Wojciech Wiśniewski

– członek Komitetu ds. Ochrony Zdrowia Federacji Przedsiębiorców Polskich, zespołu doraźnego Rady Dialogu Społecznego ds. Ochrony Zdrowia oraz Trójstronnego Zespołu ds. Ochrony Zdrowia.



**Otyłość wciąż bywa postrzegana jako problem estetyczny. Tymczasem statystyki są alarmujące – w Polsce już 9 milionów dorosłych osób zmagają się z otyłością<sup>1</sup>, a niemal 12 mln Polaków ma nadwagę<sup>2</sup>. Dlaczego tak trudno zmienić podejście do tej choroby?**

Otyłość to jedno z największych wyzwań zdrowotnych XXI wieku, jednak nadal jest często traktowana jako kwestia estetyczna czy wynik braku samodyscypliny, a nie poważna choroba. To sprawia, że chorzy często doświadczają stygmatyzacji, zamiast otrzymać realne wsparcie. Dlatego tak ważna jest ciągła edukacja i podkreślanie, że otyłość to poważna choroba przewlekła, która wymaga kompleksowego leczenia.

Według danych WHO otyłość może prowadzić do ponad 200 powikłań, w tym chorób układu sercowo-naczyniowego, najczęstszej przyczyny zgonów w Polsce. Wśród pacjentów z otyłością aż 70 proc. umiera właśnie z ich powodu. Prognozy również są niepokojące – dane epidemiologiczne wskazują, że w 2035 r. liczba chorujących na otyłość wzrośnie do 12 mln w Polsce, a na świecie do 2 mld.

Konsekwencje otyłości są nie tylko zdrowotne, ale również ekonomiczne. NFZ szacuje, że refundacja leczenia powikłań otyłości w 2023 r. wyniosła co najmniej 3,8 mld zł. Koszty pośrednie, takie jak absencja w pracy czy utrata produktywności, sięgają 15 mld rocznie. Te liczby tylko potwierdzają, że otyłość należy traktować jako problem społeczny i ekonomiczny, którego rozwiązanie wymaga współpracy wszystkich uczestników systemu ochrony zdrowia oraz konsekwentnych działań na poziomie krajowym.

**Wspomniała Pani o stygmatyzacji osób chorych. Jak walczyć z tym problemem?**

To ogromne wyzwanie. Przeprowadzone przez nas badanie pokazuje, że aż 69 proc. Polaków było świadkami przemocy słownej wobec osób z otyłością, a co trzeci chory na otyłość doświadczył negatywnych komentarzy w miejscu pracy. Słowa mają ogromną moc oddziaływania na emocje i poziom samooceny ich odbiorcy. Krzywdzące stereotypy stanowią dodatkowe obciążenie emocjonalne, które utrudnia codzienne funkcjonowanie i może wpływać niekorzystnie na proces leczenia.



## Otyłość to choroba, nie wybór

– mówi **MAGDALENA PARADZIŃSKA**,  
dyrektorka generalna Novo Nordisk Pharma sp. z o.o.

Dlatego w ramach naszej kampanii edukacyjnej „Porozmawiajmy szczerze o otyłości” stworzyliśmy słownik inkluzywnego języka, który ma pomagać nam wszystkim, a także pacjentom i lekarzom, rozmawiać o tej chorobie bez stygmatyzacji. Celem naszej kampanii jest budowanie społecznej świadomości o otyłości jako chorobie, dostarczanie rzetelnej wiedzy pacjentom i ich bliskim za pomocą strony ootylosci.pl, ale też właśnie zmniejszenie stygmatyzacji osób zmagających się z otyłością. Tegoroczna odsłona kampanii prowadzona jest pod hasłem „Słuchaj serca. Leczą otyłość”. Ma symbolicznie przypomnieć nam o tym, żeby słuchać swojego ciała, swojego serca,

bo to ono najwcześniej daje nam sygnały, że dzieje się coś niepokojącego. Z drugiej strony zwraca ono uwagę na to, że choroby sercowo-naczyniowe są jednymi z najczęstszych powikłań otyłości.

**Wciąż jednak jeszcze w wielu środowiskach – nawet medycznych – panuje przekonanie, że otyłość to kwestia „słabej woli”, że „wystarczy mniej jeść i więcej się ruszać”. Jak to zmienić?**

To jeden z największych mitów na temat otyłości. Prawda jest dużo bardziej złożona. Otyłość ma podłoże genetyczne, hormonalne i środowiskowe. Oczywiście, zmiana nawyków żywieniowych i aktywność fizyczna mają ogromne znaczenie dla zdrowia, ale

w przypadku pacjentów z otyłością mogą nie być wystarczające. Redukcja masy ciała u chorych na otyłość, związana ze zmianą stylu życia, nie przekracza zwykle 3-5 proc. wyjściowej masy ciała. Jest to korzystne dla zdrowia, ale może nie wystarczyć do normalizacji masy ciała i minimalizacji następstw otyłości.

W Novo Nordisk od lat podkreślamy, że to choroba, która wymaga kompleksowego leczenia i systemowego podejścia, tak jak każda inna choroba przewlekła. Współpracujemy ze środowiskiem medycznym, aby wspólnie tworzyć rozwiązania, które wesprą diagnozę, leczenie choroby otyłościowej oraz jej konsekwencji. Odpowiadając na potrzeby edukacyjne środowisk medycznych, stworzyliśmy kompleksową platformę wiedzy o otyłości dla profesjonalistów medycznych – Forum dla otyłości.

**Im wyższy wskaźnik BMI, tym większe ryzyko powikłań, takich jak m.in. cukrzyca typu 2, choroby układu mięśniowo-szkieletowego, nadciśnienie tętnicze, choroba niedokrwienna serca. Jak przerwać ten „zakłęty krąg”?**

Kluczowa jest zmiana podejścia do leczenia otyłości – pacjentów z otyłością się nie odchudza. Redukcja masy ciała to tylko jeden z efektów leczenia otyłości. Głównym celem leczenia jest nie tyle zmniejszenie masy ciała, ile ochrona przed rozwojem powikłań, a w razie ich występowania – złagodzenie ich przebiegu, poprawa stanu zdrowia, a nawet remisja.

Skuteczne leczenie nadwagi i otyłości opiera się na czterech filarach: zmianie nawyków żywieniowych, aktywności fizycznej, terapii behawioralnej oraz w razie takiej decyzji lekarza – farmakoterapii i/lub operacji bariatrycznej. Każda osoba z nadwagą lub otyłością może rozpocząć rozmowę na temat nadmiernej masy ciała z lekarzem. Nie warto zwlekać z podjęciem decyzji o wizycie u lekarza. Niestety, czas sprzyja rozwojowi powikłań, a nie zdrowiu.

**Novo Nordisk rozpoczął działalność, produkując leki dla pacjentów z cukrzycą. Czemu rozpoczęli Państwo działalność w obszarze leczenia otyłości?**

W Novo Nordisk od ponad stu lat skupiamy się na leczeniu poważnych chorób

przewlekłych, które dotyczą setek milionów pacjentów. Byliśmy świadkami, jak cukrzyca z choroby śmiertelnej stała się przewlekłym, kontrolowanym schorzeniem. Dziś podejmujemy podobne wyzwania w leczeniu otyłości, choroby, która, jak już podkreśliliśmy w tej rozmowie, jest obecnie jednym z najpoważniejszych wyzwań zdrowotnych naszych czasów. Aby to osiągnąć, musimy działać wielotorowo, poprzez tworzenie przełomowych odkryć naukowych, edukację, partnerstwa oraz działania na rzecz profilaktyki.

Jestem dumna z tego, że Polska ma swój duży udział w zapewnieniu dostępu do innowacyjnego leczenia. To właśnie w Warszawie znajduje się Centrum Rozwoju Badań Klinicznych. Obecnie prowadzimy ponad 50 badań klinicznych, umożliwia-

do obrotu w roku 2010. Pierwszy lek z tej grupy wprowadziliśmy w obszarze diabetologii, a następnie otyłości.

Obecnie badamy nowe warianty tych cząsteczek w celu jeszcze skuteczniejszego wsparcia pacjentów w redukcji masy ciała i zapobieganiu powikłaniom, jak również możliwości niesienia pomocy pacjentom w innych schorzeniach.

**Na koniec chciałam zapytać, jakie są Pani dalsze plany dla Novo Nordisk w Polsce?**

Chcemy być nie tylko liderem w leczeniu chorób przewlekłych, ale także kluczowym partnerem w budowaniu zdrowego społeczeństwa. Przez dużą część swojej kariery pracowałam w międzynarodowych strukturach firmy Novo Nordisk,

## Kluczowa jest zmiana podejścia do leczenia otyłości – pacjentów z otyłością się nie odchudza. Redukcja masy ciała to tylko jeden z efektów leczenia otyłości.


jąc tysiącom pacjentów dostęp do najnowocześniejszych terapii. W strukturach Novo Nordisk jesteśmy największą tego typu organizacją w Europie. Współpraca z polskimi lekarzami i ośrodkami medycznymi pozwala na tworzenie nowych standardów leczenia, a wiedza zdobyta podczas tych badań znacząco wzbogaca globalną medycynę. A to właśnie współpraca jest kluczem do postępu w medycynie – tylko razem ze środowiskiem medycznym, organizacjami pacjentów i instytucjami publicznymi możemy wprowadzać realne, przełomowe zmiany.

Nasze działania wykraczają jednak poza opracowywanie i dostarczanie leków. Wspieramy pacjentów poprzez edukację, dostarczanie praktycznych narzędzi i materiałów, które mogą im pomóc w zarządzaniu swoją chorobą oraz otrzymać wsparcie.

**Mówiąc o leczeniu otyłości, nie sposób nie wspomnieć o analogach GLP-1. „The Economist” uznał je jako jedno z najbardziej przełomowych odkryć w historii leków. Jaka jest rola Novo Nordisk w opracowaniu tych leków?**

Ta grupa leków powstała w laboratoriach firmy Novo Nordisk i została wprowadzona

a od prawie 4 lat mam przyjemność kierować polskim oddziałem. I niezwykle mnie cieszy, że Polska odgrywa tak istotną rolę w strategii firmy. Nasze Centrum Rozwoju Badań Klinicznych w Warszawie koordynuje badania w 12 krajach, a Novo Nordisk w Polsce zatrudnia już blisko 500 osób.

Umocniamy naszą pozycję, stale się rozwijamy, a jednocześnie wciąż najważniejsi są dla nas ludzie. Z jednej strony w centrum naszych działań stoi pacjent, z drugiej – pracownicy. Dlatego zależy mi na budowaniu inspirującego i inkluzywnego środowiska pracy, w którym każdy czuje się doceniany. Cieszy mnie, że Novo Nordisk Polska już po raz piąty otrzymało certyfikat Great Place to Work, co dowodzi, że nasze wartości – szacunek, troska o ludzi, etyka i współpraca – to codzienna rzeczywistość, a nie tylko deklaracja. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **JOANNA KWIATKOWSKA**

1. Raport Naczelnej Izby Kontroli „Profilaktyka i leczenie otyłości u osób dorosłych”
2. Oszacowanie na podstawie danych Głównego Urzędu Statystycznego: Odsetek osób w wieku powyżej 15 lat według indeksu masy ciała (BMI) [opublikowano 29.06.2020] oraz Rocznik Demograficzny 2024 [opublikowano 26.11.2024].

**Swixx BioPharma znacznie się rozwinęła w ciągu ostatniej dekady, stając się jedną z największych tzw. platform usługowych dla firm farmaceutycznych i biotechnologicznych na rynkach wschodzących. Jaki jest model biznesowy Swixx BioPharma i tzw. kamienie milowe, których osiągnięcie spowodowało sukces firmy?**

Swixx BioPharma działa jako kompleksowa platforma komercyjna, pomagając globalnym firmom farmaceutycznym dotrzeć z ich innowacyjnymi produktami do pacjentów w Europie Środkowo-Wschodniej, Eurazji, na Bliskim Wschodzie i w Ameryce Łacińskiej. Firma tworzy ścieżkę: od innowacji do lokalnego rynku; zapewnia specjalistyczną wiedzę i ekspertyzę w zakresie dostępu do rynku, działalności medycznej i komercyjnej. Oferujemy również pełen zakres wsparcia w dziedzinie rejestracji produktów leczniczych i ich dystrybucji. Krótko mówiąc, Swixx zapewnia płynną komercjalizację innowacyjnych terapii.

Kluczowym wyróżnikiem firmy są nasi ludzie i wysoce profesjonalne zespoły. W ubiegłym roku obchodziliśmy 10-lecie naszej działalności. Udało nam się wówczas rozszerzyć naszą globalną działalność na region Ameryki Łacińskiej i Karaibów poprzez strategiczne połączenie z firmą Biopas. Nadal umożliwialiśmy dostęp do leków ratujących zdrowie i życie pacjentom we wszystkich krajach i regionach, w których działamy. Wzmocniliśmy naszą obecność na Bliskim Wschodzie i w Afryce Północnej, przygotowując się do spełniania takiej samej roli, jak w innych częściach świata, czyli skrócenia czasu, w jakim lek innowacyjny dociera do chorych, którzy go potrzebują.

Ostatnio opublikowaliśmy ramy strategii ESG (Environmental Social Governance), wzmacniając nasze zaangażowanie w tzw. zrównoważony rozwój. Chciałbym się też pochwalić tym, że niedawno zostaliśmy uhonorowani prestiżowymi nagrodami i wyróżnieniami, w tym umieszczeniem na liście „Financial Times’a” – FT1000 najszybciej rozwijających się firm w Europie, i dwiema nagrodami PMEA: Zwycięzca w kategorii Excellence in Engagement through Digital Channels and New Technology za naszą platformę

# Skracamy drogę innowacyjnych terapii do pacjenta

Rozmowa z **MICHAŁEM OPUCHLIKIEM**, dyrektorem generalnym firmy Swixx BioPharma sp. z o.o.



Swixx Rare Disease Academy oraz Highly Commended in Excellence in Rare Diseases.

Pracujemy w zgodzie z etyką biznesową, otrzymaliśmy również certyfikat ISO 37001:2016 w zakresie zarządzania antykorupcyjnego. W ciągu ostatniej dekady Swixx BioPharma zbudowała swoją reputację firmy godnej zaufania; umożliwiamy firmom farmaceutycznym odniesienie

sukcesu na złożonych rynkach, jednocześnie poprawiając dostęp pacjentów do terapii zmieniających zdrowie i życie.

**Swixx BioPharma niedawno rozszerzyła swoją działalność na Amerykę Łacińską poprzez partnerstwo z Laboratorios Biopas. Jak ten ruch wpłynie na działalność w Polsce i szerzej – w całej Europie?**



Ta strategiczna ekspansja stanowi kamień milowy w międzynarodowym rozwoju firmy; możemy oferować produkty naszych Partnerów w rosnącej liczbie krajów, nazywanymi rynkami wschodzącymi.

Polska nadal pozostaje kluczowym rynkiem dla Swixx. Naszym celem jest wykorzystanie globalnej wiedzy i synergii w wypełnianiu jeszcze lepiej naszej misji, zgodnie z potrzebami pacjentów i oczekiwaniami Partnerów.

### **Swixx BioPharma koncentruje się na chorobach rzadkich. Jakie wyzwania napotykają polscy pacjenci w dostępie do innowacyjnych terapii i jak Swixx radzi sobie z tymi barierami?**

Choroby rzadkie to jeden z trzech dużych działów, którymi się zajmujemy, oprócz hematologii i tzw. specjalistyki. W chorobach rzadkich nie ma wielu opcji leczenia, przez co pacjenci mają ograniczony dostęp do terapii ratujących życie lub nie ma go wcale. Choroby te są trudne do zdiagnozowania, co prowadzi do opóźnionego leczenia i pogorszenia stanu zdrowia.

Niezaspokojone potrzeby medyczne odnoszą się do schorzeń, dla których nie istnieją zadowalające metody diagnostyki, zapobiegania lub leczenia. Jednym z przykładów jest DEB, czyli dystroficzna postać pęcherzowego oddzielania się naskórka. To ciężka, bardzo rzadka choroba genetyczna; skóra jest niezwykle delikatna, cienka; oddziela się i pęka w wyniku niewielkiego tarcia

wyniszczających blizn, utraty paznokci u rąk i nóg, deformacji stawów, utraty wzroku, zwiększonego ryzyka agresywnego raka skóry. Większość pacjentów wymaga opieki wspomagającej i paliatywnej, która obejmuje m.in. leczenie bólu.

### **Czy w najbliższym czasie spodziewamy się nowych informacji dotyczących leczenia DEB?**

Tak, na horyzoncie mogą pojawić się obiecujące terapie dla pacjentów. Wszelkie nowości w tym obszarze o tak dużej niezaspokojonej potrzebie zdrowotnej miałyby ogromne znaczenie dla całej społeczności DEB. W Swixx Polska jesteśmy zobowiązani do utrzymania najwyższego poziomu wsparcia dla środowisk zajmujących się rzadkimi chorobami

### **Swixx współpracuje z 12 wiodącymi firmami biotechnologicznymi w celu wprowadzenia innowacyjnych terapii do Polski.**

Jak już mówiłem, w Polsce mamy dział chorób rzadkich z bardzo utalentowanym i zaangażowanym zespołem, ściśle współpracującym ze środowiskiem naukowym i innymi interesariuszami w celu poprawy diagnostyki i leczenia. Wspieramy inicjatywy edukacyjne, pomagając zwiększyć świadomość i poprawić wyniki leczenia pacjentów.

### **Jakimi jeszcze obszarami Swixx zajmuje się w Polsce?**

Działamy również w obszarze hematologii i onkologii. Wiele naszych inno-

Wyniszczających blizn, utraty paznokci u rąk i nóg, deformacji stawów, utraty wzroku, zwiększonego ryzyka agresywnego raka skóry. Większość pacjentów wymaga opieki wspomagającej i paliatywnej, która obejmuje m.in. leczenie bólu.

dostarczane przez Swixx odpowiadają na niezaspokojone potrzeby zdrowotne pacjentów. Nasze Koleżanki i Koledzy to eksperci, którzy pracują jednocześnie w wielu obszarach medycyny. Chcemy, aby mogli być partnerami dla lekarzy leczących ostrą białaczkę szpikową, przeszczepiających szpik kostny, leczących chłoniaki z komórek B i T, mastocytozę, raka piersi, raka dróg żółciowych.

### **A czym się zajmuje dział specjalistyki?**

W dziale specjalistyki zajmujemy się m.in. leczeniem niedoboru żelaza oraz niedokrwistości z niedoboru żelaza. Mimo rozwoju cywilizacji to nadal istotny problem na świecie, który wpływa na jakość życia pacjentów oraz koszty systemu opieki zdrowotnej. Dotykamy tu obszaru tzw. prehabilitacji, czyli przygotowania pacjenta do leczenia inwazyjnego. Nierozpoznany i nieodpowiednio leczony niedobór żelaza przed zabiegiem operacyjnym prowadzi do wydłużenia o 22 proc. pobytu pacjenta w szpitalu<sup>1</sup> i 2,9 razy zwiększa ryzyko zgonu pacjenta w ciągu 30 dni od operacji<sup>2</sup>. Warto pamiętać, że niedokrwistość przedoperacyjną ma: 15-40 proc. pacjentów poddawanych operacjom ortopedycznym<sup>3</sup>, 31 proc. pacjentów poddawanych operacjom kardiologicznym<sup>4</sup>, 43 proc. pacjentów poddawanych operacjom raka okrężnicy i odbytnicy<sup>5</sup>. Profilaktyczne podanie żelaza na 4-6 tygodni przed zabiegiem chirurgicznym<sup>6</sup> może generować znaczące oszczędności dla systemu ochrony zdrowia dzięki skróceniu o 16-33 proc. średniej długości pobytu pacjenta w szpitalu<sup>7</sup> i zmniejszeniu częstości ponownej hospitalizacji pacjenta o nawet 43 proc.<sup>7</sup>

© Wszelkie prawa zastrzeżone

## **Umożliwiamy dostęp do leków ratujących zdrowie i życie pacjentom we wszystkich krajach i regionach, w których działamy.**

Rozmawiał **KRZYSZTOF MYŚLIWSKI**

lub urazu. Choroba ta jest spowodowana mutacjami w genie COL7A1, który jest odpowiedzialny za produkcję kolagenu typu VII, białka kluczowego dla integralności skóry. Niezaspokojona potrzeba medyczna jest znacząca. Obecnie istnieje tylko jedna zatwierdzona metoda leczenia, która łagodzi objawy, ale nie modyfikuje samej choroby. Występują ciężkie objawy: DEB może prowadzić do

wacyjnych terapii jest ukierunkowanych na rzadkie schorzenia, jak mastocytoza, chłoniaki skórne T-komórkowe czy szczególnie rodzaj nowotworu: GIST z mutacją D862V.

Nasz zespół hematologiczny to grupa doświadczonych pracowników, którzy wiele lat spędzili w dużych firmach farmaceutycznych; mają satysfakcję, szczególnie gdy innowacyjne terapie

### **Referencje:**

1. Beattie WS, et al. Anesthesiology. 2009;110(3):574-581.
2. Fowler AJ, et al. Br J Surg. 2015;102(11):1314-1324.
3. Bisbe E, et al. Blood transfusion. 2017;15:296-306.
4. Klein AA, et al. Anaesthesia. 2016;71:627-35.
5. Richards T, et al. PLoS One. 2015;10(7):e0130861.
6. Banasiewicz T, et al. POL PRZEGL CHIR 2023; 95 (4): 61-91.
7. Farmer SL, et al. Open J Anesthesiol. 2015;9:6-16.

**Naukowa Fundacja Polpharmy to jedna z największych w naszym kraju prywatnych organizacji finansujących projekty badawcze realizowane przez polskich naukowców. Co roku od 24 lat Fundacja organizuje Konkurs o Grant w dziedzinie nauk farmaceutycznych i medycznych. Autorzy prac najwyższej ocenionych przez recenzentów i Radę Naukową Fundacji otrzymują środki na realizację projektów. Dlaczego zdecydowaliście się na taką działalność?**

Od początku działalności Naukowej Fundacji Polpharmy założono, że będzie działała na rzecz polskiej nauki poprzez finansowanie projektów badawczych umożliwiających rozwój wiedzy w obszarze medycyny i farmacji. Motto Fundacji, które brzmi: „Pomagamy Ludziom Nauki”, najlepiej oddaje filozofię, zgodnie z którą Fundacja wypełnia swoją misję. Środki finansowe na badania stanowią barierę trudną do pokonania zwłaszcza dla młodych ludzi, którzy dopiero budują swój dorobek naukowy. Chcemy, aby otrzymane granty pomogły im zrealizować zaproponowane projekty oraz zachęciły do stawiania kolejnych pytań. Niech ich odkrycia najlepiej służą wszystkim, poprawiają nasze zdrowie i życie, a oni sami niech czerpią ze swojej pracy dużą satysfakcję.

**Od momentu powołania Fundacji na cele statutowe przeznaczonych zostało już 38 mln zł, dzięki którym liczne zespoły badawcze mogą rozwijać badania naukowe. Które z tych badań zasługują na szczególne wyróżnienie?**

Wszystkie badania, na realizację których Fundacja przeznaczyła środki – a przypomnę, że przyznano już 85 grantów – zasługiwały na wyróżnienie. Na wyróżnienie zasługuje nawet więcej projektów, ponieważ co roku – wspólnie z Radą Naukową Fundacji – stajemy przed bardzo trudnym wyborem, jak z kilkudziesięciu zgłoszonych projektów badawczych wybrać te najbardziej zasługujące na wyróżnienie i przyznanie grantu. Fundacja przyznaje granty już od ponad 20 lat i także z tego powodu trudno te propozycje porównać.

Początki Fundacji to przede wszystkim finansowanie badań podstawowych, których wyniki wykorzystywane są zwykle w perspektywie długofalowej. Z czasem tematyka grantów została poszerzona



## Pomagamy ludziom nauki

Rozmowa z **BEATĄ KAMOSIŃSKĄ**, członkinią  
Zarządu Naukowej Fundacji Polpharmy.

o projekty mogące przynieść korzyści dużo szybciej.

Może nie w kategorii szczególnego wyróżnienia, ale jako temat, który zaistniał bardzo szeroko w przestrzeni publicznej, wymieniałabym wnioski, które zostały nagrodzone w VI edycji Konkursu. Temat

brzmiał wówczas „Problem współpracy z pacjentem w leczeniu oraz profilaktyce chorób przewlekłych”. Nagłośnienie go przyczyniło się w znaczący sposób do popularyzacji zagadnień dotyczących przestrzegania zaleceń terapeutycznych przez pacjentów, czyli tzw. compliance i adherence.

### **Kolejne edycje to kolejne tematy. Czym kierują się w ich wyborze Zarząd i Rada Naukowa Fundacji?**

Przez lata funkcjonowania udało się skupić wokół idei prezentowanych przez Fundację grono wybitnych przedstawicieli środowisk naukowych. To wspólnie z członkami Rady Naukowej Fundacji wypracowywane są nowe pomysły na tematykę grantów. Mamy świadomość, że każdy rok w medycynie i farmacji to postęp i nowe wyzwania. Fundacja podąża za aktualnymi trendami, stąd tematyka na projekty badawcze proponowane w ostatnich latach skupia się na szeroko pojętej digitalizacji. Cyfryzacja dla poprawy wyników leczenia, wykorzystanie baz danych, zastosowanie sztucznej inteligencji (AI) to tematy najlepiej świadczące o tym, że Naukowa Fundacja Polpharmy dotrzymuje kroku najnowszym wyzwaniom, przed jakimi staje świat medyczny. Zarząd i Rada Naukowa Fundacji, przystępując corocznie do dyskusji nad tematem kolejnej edycji konkursu o grant, skupia się przede wszystkim na dwóch przesłankach. Pierwsza to pacjent i wszystko, co dotyczy jego zdrowia. Druga to szanse, jakie daje już dostępna wiedza, w tym najnowocześniejsze technologie. Wierzymy, że połączenie tych elementów w temacie konkursu zachęci do zgłoszenia się do niego tych naukowców, którzy – podobnie jak my – chcą sprawić, że pacjenci będą mieli szanse na lepszą profilaktykę, szybszą diagnozę i skuteczniejsze terapie.

### **Jaki będzie temat zbliżającej się edycji Konkursu i dlaczego Fundacja uważa go za ważny? Kiedy startuje Konkurs? Kto i w jaki sposób może się zgłosić?**

Tegoroczny konkurs związany będzie z bardzo aktualnym tematem, jakim jest zdrowie psychiczne Polaków i nowoczesne technologie, jakie mogą zostać wykorzystane dla jego poprawy. Zaburzenia depresyjne, zaburzenia lękowe, o których ostatnio tyle się mówi, stanowią nie tylko w Polsce poważny problem zdrowotny. Wpływają na jakość życia pacjentów, często ograniczają ich zawodowo, stygmatyzują. Zaburzają relacje rodzinne i społeczne. Ogłaszając ten konkurs, jako Fundacja nie zamierzamy zastępować prawidłowej diagnozy ani wpływać na decyzje terapeutyczne. Zgodnie

z naszą misją mamy nadzieję, że uda się wyłonić w konkursie rozwiązania technologiczne, które – choć nigdy nie zastąpią procesu terapeutycznego – będą mogły wspomóc lekarzy i pacjentów w lepszym zrozumieniu choroby i podwyższyć skuteczność stosowanych metod leczenia. A może znajdzie się też pomysł na strategię prewencyjne, które mogą zmniejszyć ryzyko wystąpienia tych zaburzeń?

Konkurs startuje 21 kwietnia. Co do zasad składania aplikacji, to jeszcze za chwilę na szczegóły. Wszystkie informacje będą na bieżąco komunikowane w naszych mediach społecznościowych i na stronie [www.NaukowejFundacjiPolpharmy](http://www.NaukowejFundacjiPolpharmy). Zachęcam do ich regularnego śledzenia – nie tylko z uwagi na Konkurs, ale również po to, żeby być na bieżąco ze wszystkimi aktywnościami realizowanymi przez nas.

### **Medycyna i farmacja to statutowe dziedziny, w ramach których działa Fundacja. Jakie są najbliższe plany Naukowej Fundacji Polpharmy w zakresie edukacji młodych adeptów zarówno medycyny, jak farmacji?**

Edukacja i kontakty Fundacji z najmłodszymi badaczami, studentami uczelni me-


dyki z pacjentem zostały bardzo wysoko ocenione przez uczestników Szkoły. A już we wrześniu nasza najnowsza inicjatywa, pierwsza edycja Szkoły przeznaczona dla najlepszych studentów farmacji. Przygotowaliśmy dla nich równie wartościowy program merytoryczny. Mamy nadzieję, że zostanie on równie dobrze odebrany przez uczestników, jak dotychczasowe edycje dla kierunków lekarskich i będziemy mogli się tym sukcesem podzielić już za rok.

### **Jerzy Starak, pomysłodawca i fundator Naukowej Fundacji Polpharmy, podkreśla, że Fundacja nie jest kolejną formalną instytucją, która przyznaje środki finansowe, ale inspirującą i pełną dobrej energii organizacją, która w różnorodny sposób wspiera ludzi nauki. Innowacyjne badania naukowe mają realny wpływ na poprawę zdrowia pacjentów. Jakie jeszcze plany ma Fundacja?**

W najbliższych miesiącach będziemy się skupiać na naszych najważniejszych inicjatywach, starając się, by ich kolejne edycje były jeszcze ciekawsze. Będzie to więc Konkurs o Grant Fundacji, Debata Fundacji. A wśród nich bardzo ciekawa se-

## **Jesteśmy organizatorem szkoły Fundacji – „Medical School of Your Future. Inwestuj w siebie!”. W tym roku odbędzie się już jej trzecia edycja.**

dycznych to mój ulubiony temat. Jesteśmy organizatorem szkoły Fundacji – „Medical School of Your Future. Inwestuj w siebie!”. Chcemy pomóc młodym zdolnym ludziom rozwijać talent oraz wspierać ich naukowe aspiracje. W tym roku będzie miała miejsce już trzecia edycja szkoły dla najlepszych studentów kierunków lekarskich. Przykładamy bardzo dużą wagę do programu merytorycznego, jaki będzie prezentowany uczestnikom, dlatego do współpracy zaprosiliśmy wybitnych specjalistów nie tylko z dziedzin medycznych, ale także nauk humanistycznych czy społecznych. Wykłady i warsztaty poświęcone praktycznym aspektom aplikowania o granty, prowadzenia badań naukowych, publikowania artykułów, najnowszych technologii wykorzystywanych w medycynie czy komu-

sja o kontrowersjach medycznych dotycząca suplementów diety, Nagroda i Medal im. Romana Kaliszana, wspomniana już Szkoła Fundacji, Konkurs Złoty Skalpel. Wydamy nowy Raport roczny Fundacji, będziemy uczestnikami konkursów i konferencji poświęconych zdrowiu i medycynie. Cały czas będziemy aktywnie promować nasze działania w mediach społecznościowych. Jedno jest pewne: nadal będzie konsekwentnie wdrażana przyjęta w ubiegłym roku strategia, by być bliżej środowiska naukowego w dziedzinie medycyny i farmacji, bliżej pacjentów i utrzymywać kontakty z dziennikarzami i publicystami zajmującymi się tematyką medyczną. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **ANNA KOPRAS-FIJOŁEK**



# Świat nam ucieka

Nagła śmierć młodego człowieka z przyczyn kardiologicznych, nagły zgon na boisku, w trakcie maratonu: przyczyną często jest niewykryta wcześniej kardiomiopatia. W Polsce tylko co piąta osoba z tym schorzeniem ma postawioną diagnozę. Trzeba to zmienić, umożliwiając stosowanie badań genetycznych w kardiologii – mówi **PROF. ROBERT GIL**, prezes Polskiego Towarzystwa Kardiologicznego.

**Przez wiele lat w kontekście chorób serca mówiliśmy o miażdżycy, zawale serca. Ale choroby serca są wynikiem nie tylko miażdżycy, wysokiego ciśnienia krwi, wysokiego cholesterolu, ale też ich przyczyna może być inna, np. tkwić w genach?**

To prawda, przez lata koncentrowaliśmy się na najczęstszych problemach kardiologicznych u ludzi, u podłoża których leży miażdżycy. Dzięki postępowi, jaki dokonał się w ostatnich latach w diagnostyce obrazowej oraz diagnostyce opartej na najnowszych zdobyczach biologii molekularnej, widzimy, że ok. 70 proc. problemów kardiologicznych jest spowodowanych chorobami sercowo-naczyniowymi, u podłożu których leży miażdżycy, ale pozostałych 30 proc. jest związanych z innymi problemami, m.in. z kardiomiopatiami. Bardzo często kardiomiopatia dotyczy młodych osób, które nagle umierają, często w niecodziennych okolicznościach. To np. sportowcy podczas treningów czy zawodów. Gdyby mieli wcześniej postawioną diagnozę, to nie musiałyby się wydarzyć. Problem polega na tym, że pacjent długo nie wie, że coś niepokojącego dzieje się w jego sercu, ponieważ przez długie lata może nie mieć żadnych objawów.

**Dziś tylko co piąta osoba z np. kardiomiopatią przerostową ma wykrytą chorobę, co oznacza, że 80 proc. osób nie wie, że właściwie chodzi z tykającą bombą...**

To, że tak mało osób wie o chorobie, to pokłosie trudności dostępu do nowoczesnych metod diagnostycznych. Obecnie mamy ogromny postęp w echokardiografii; obrazy, które dziś możemy zobaczyć, analizy parametrów odnoszących się do



funkcji serca, są czymś, o czym jeszcze kilka lat temu nie mogliśmy nawet marzyć. Jeśli takie badania zostaną wykonane, to jesteśmy w stanie stwierdzić, że coś jest nie w porządku, a pacjent powinien być dodatkowo zbadany, np. mieć wykonany

rezonans magnetyczny, biopsję mięśnia sercowego czy właśnie badanie genetyczne.

**Kto powinien mieć wykonane badanie genetyczne w kierunku schorzeń kardiologicznych?**

To na pewno pacjenci z hipercholesterolemią rodzinną: dziś możemy już takie badania wykonać. To bardzo ważne, ponieważ ci pacjenci są narażeni w młodym wieku np. na zawał serca: miażdżycza „przyspiesza” u nich w młodym wieku. Mój najmłodszy pacjent, który miał zawał, miał 17 lat, a jego 18-letni brat był już po dwóch zawałach, z by-passami. Obydwaj mieli rodzinną hipercholesterolemię. Tę chorobę można dziś zbadać za pomocą prostych testów genetycznych. Można też odpowiednio tych pacjentów leczyć, spowalniając proces miażdżycowy i uszkodzenia mięśnia sercowego.

pieczyć pacjenta przed nagłym zgonem stosownymi urządzeniami, jak np. kardioverter-defibrylator, czy wykonać ablację. Tak więc jest to nie tylko diagnostyka konkretnych jednostek chorobowych, ale też profilowanie pacjenta pod kątem leczenia.

**Do tej pory badania genetyczne były wykonywane głównie u pacjentów onkologicznych, a także u pacjentów z chorobami rzadkimi uwarunkowanymi genetycznie. Czy w Polsce mamy wystarczającą liczbę laboratoriów, żeby móc wykonywać badania także w kardiologii?**

## Mój najmłodszy pacjent, który miał zawał, był w wieku 17 lat, a jego 18-letni brat był już po dwóch zawałach, z by-passami. Obydwaj mieli rodzinną hipercholesterolemię.

Badanie genetyczne powinno być wykonane również w przypadku podejrzenia kardiomiopatii. Jeśli widzimy u pacjenta tzw. czerwone flagi, czyli sygnały ostrzegawcze, to powinna zapalić się czerwona lampka: ci pacjenci powinni mieć wykonaną dokładną diagnostykę, w tym m.in. badanie genetyczne. To na pewno pacjenci, u których w rodzinie wystąpił nagły zgon sercowy, a także osoby, u których widoczne są nieprawidłowości w badaniach obrazowych, mogące wskazywać na kardiomiopatię, a do tego skarżą się na niecharakterystyczne objawy. Bardzo często to szybsza męczliwość czy uczucie nierównej pracy serca. Dzięki diagnostyce genetycznej jesteśmy w stanie wychwycić pacjentów, którzy powinni być leczeni przyczynowo – w przypadku niektórych typów kardiomiopatii mamy już takie kierunkowe leczenie farmakologiczne. Pojawiły się nowe leki, m.in. w kardiomiopatii przerostowej, w amyloidozie transtyretynowej (ATTR). Wszystko wskazuje na to, że w niedługim czasie będą pojawiały się kolejne leki; w badaniach klinicznych jest już terapia genowa. Stosowanie tych leków będzie wymagało typowania genetycznego – podobnie jak to jest w przypadku terapii przeciwnowotworowych.

W przypadku gdy nie ma jeszcze leczenia farmakologicznego, możemy zabez-

pieczyć pacjenta przed nagłym zgonem stosownymi urządzeniami, jak np. kardioverter-defibrylator, czy wykonać ablację. Tak więc jest to nie tylko diagnostyka konkretnych jednostek chorobowych, ale też profilowanie pacjenta pod kątem leczenia.


**Obecnie problemem jest to, że kardiolog nie może skierować pacjenta na badania genetyczne, konieczna jest wizyta w poradni genetycznej, do której obecnie czeka się nawet do dwóch lat...**

Ta sytuacja musi się zmienić, o to apelujemy. Pacjenci z podejrzeniem kardiomiopatii, rodziny pacjentów, u których została zdiagnozowana kardiomiopatia, nie mogą czekać. Bardzo często są to młode osoby, zagrożone postępowaniem choroby i nagłym zgonem. Dziś jest ogromny problem, by wykonać badanie genetyczne w kierunku

ku kardiomiopatii, pacjent musi czekać co najmniej wiele miesięcy na wizytę w poradni genetycznej. Na takie badanie powinien móc kierować pacjenta kardiolog – oczywiście taki, który ma doświadczenie w zajmowaniu się tą grupą chorób.

Część naszych ośrodków zajmujących się kardiomiopatiami współpracuje z ośrodkami zagranicznymi, m.in. w Niemczech, Austrii; zdarzało się, że musieliśmy tam wysyłać badania pacjentów – i robiliśmy to w ramach współpracy naukowej. Nie powinno tak jednak być. Stać nas na to, żeby w Polsce można było te badania wykonywać. Powinniśmy pacjentów diagnozować, by zapobiegać temu, co może się wydarzyć, a nie działać *post factum*, tj. ograniczać się do działań z zakresu medycyny naprawczej.

**Rok 2025 Polskie Towarzystwo Kardiologiczne ogłosiło rokiem badań genetycznych w kardiologii. Ma być rokiem, w którym dużo się będzie mówić na temat genetyki w kardiologii. Dlaczego jest to tak ważne?**

Mamy pod tym względem już zaległości w stosunku do świata; najwyższa pora o tym głośno mówić i to zmienić. Pod tym względem świat nam uciekł. Cały system trzeba dopiero zbudować – genetycy do tej pory w ogóle nie zajmowali się kardiologią, byli nastawieni głównie na onkologię. Oczywiście, wszystko nie stanie się w rok, trzeba będzie przeprowadzić szkolenia, zbudować sieć ośrodków diagnostyki genetycznej w kardiologii, wyszkolić osoby, które będą potrafiły takie testy wykonać i zinterpretować. Zapewne w wielu kwestiach będzie mogła pomóc sztuczna inteligencja, przyspieszając diagnozy. Diagnostyka genetyczna musi stać się ważną częścią diagnostyki kardiologicznej. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **KATARZYNA PINKOSZ**



### Prof. dr hab. n. med. Robert J. Gil

– prezes Polskiego Towarzystwa Kardiologicznego w latach 2023-25, kierownik Kliniki Kardiologii Państwowego Instytutu Medycznego MSWiA w Warszawie, specjalista chorób wewnętrznych, kardiologii, angiologii i intensywnej terapii.



# Zdrowy styl życia musi być modny

Leczenie chorób nowotworowych przez ostatnie lata było priorytetem w UE, teraz takim priorytetem jest również leczenie chorób sercowo-naczyniowych. W Europie Zachodniej to druga przyczyna zgonów; w Polsce – pierwsza. **JAK TE STATYSTYKI ZMIENIĆ, MÓWILI EKSPERCI POLSKIEGO TOWARZYSTWA KARDIOLOGICZNEGO I EUROPEJSKIEGO TOWARZYSTWA KARDIOLOGICZNEGO** oraz decydenci podczas konferencji odbywającej się w lutym w ramach polskiej prezydencji.

**U**nijny program zdrowotny EU4Health 2021-2027 zakłada zmniejszenie przedwczesnej umieralności z powodu chorób układu krążenia o 30 proc. do 2030 r. Podczas konferencji „Niezaspokojone potrzeby w obszarze zdrowia sercowo-naczyniowego w Europie – stan obecny, wyzwania i rozwiązania” paneliści szukali rozwiązań, w jaki sposób wyrównać różnice w dostępie do opieki kardiologicznej wynikające z różnic geograficznych, ekonomicznych i demograficznych, jak poprawić skuteczność profilaktyki, bezpieczeństwo lekowe i dostępność do nowoczesnych terapii.

O priorytetach polskiej prezydencji, jeśli chodzi o kardiologię, mówi **prof. Przemysław Mitkowski**, prezes Pol-

skiego Towarzystwa Kardiologicznego w latach 2021-23.

**Europejskie Towarzystwo Kardiologiczne sklasyfikowało Polskę jako kraj wysokiego ryzyka chorób sercowo-naczyniowych. Wciąż częściej umieramy z tego powodu niż mieszkańcy Niemiec czy Włoch?**

To prawda, Polak ma dwa razy większe ryzyko zachorowania na chorobę serca niż Francuz, Niemiec czy Szwed. Widać to w statystykach długości życia, które pokazują, że w Polsce żyjemy (szczególnie mężczyźni) kilka lat krócej niż mieszkańcy Europy Zachodniej. Zdrowie wciąż nie jest naszym priorytetem, nadal dużo osób w Polsce pali papierosy, nie wykonuje badań pro-

filaktycznych, nie bada stężenia cholesterolu, nie monitoruje innych czynników ryzyka chorób układu sercowo-naczyniowego.

W Polsce w dalszym ciągu w populacji poniżej 65. roku życia dominują zgony z przyczyn sercowo-naczyniowych. W wielu państwach Europy Zachodniej już tak nie jest, w pewnym stopniu poradono sobie z wyzwaniami kardiologicznymi.

**Można to w Polsce zmienić?**

Musimy kreować zdrowy styl życia już w szkole, być może nawet w przedszkolu, bo dzieci chętnie chłoną taką wiedzę. Zdrowy styl życia musi być modny. To musi być coś takiego, do czego dąży młodzież, co stanowi element stylu życia i zachowania. Jeśli to się nam uda, to – można powiedzieć –



wygramy. Młodzież jest bardzo krytyczna, bezkompromisowa, będzie bardzo szybko eliminowała zachowania, które odbiegają od modelu zdrowego stylu życia.

Konieczna jest edukacja zdrowotna, ale do tego, żeby ona zaistniała na odpowiednim poziomie, niezbędna jest współpraca między Ministerstwem Zdrowia, Ministerstwem Edukacji, ekspertami i mediami, ponieważ media też powinny być współodpowiedzialne za kreowanie zdrowego stylu życia. Tylko współpraca wielu podmiotów może przynieść dobre efekty.

Musimy jednak zwrócić uwagę na to, że jeśli dziś jesteśmy krajem wysokiego ryzyka sercowo-naczyniowego, wciąż choroby sercowo-naczyniowe są w Polsce numer jeden spośród przyczyn zgonów, to nie możemy stawiać sobie takich samych celów jak kraje, w których sytuacja jest lepsza. Musimy iść dalej, nasze cele muszą być bardziej ambitne po to, żebyśmy za kilka lat spotkali się w tym samym miejscu. Bo w tamtych krajach też jest postęp, jeśli chodzi o profilaktykę zdrowotną i leczenie.

### Jak te bardziej ambitne cele realizować?

Przede wszystkim ważna jest konsekwencja. Trzeba przekonać Polaków, że zdrowie jest najcenniejszym darem, jaki mamy.

Tłumaczenie młodemu człowiekowi, że jeśli będzie palił papierosa, to szybciej umrze, nie przyniesie efektu. Dla niego jest to abstrakcja, dlatego że on uważa, że umierać to może babcia, dziadek, a jego to nie dotyczy. Młodych ludzi bardziej może przekonać mówienie o sprawności fizycznej i wykluczeniu. Jeśli powiemy, że tego typu zachowania, jak palenie papierosów, brak aktywności fizycznej w perspektywie jednej-dwóch dekad mogą spowodować eliminowanie środowiskowe – bo taka osoba nie będzie np. zdolna do wykonywania wysiłków fizycznych, chodzenia na wspólne wycieczki – może to okazać się skuteczne. Bo dla młodych ludzi ważne jest środowisko i wspólne działania.

### Można opracować jedną wspólną strategię dla UE, jeśli chodzi o kardiologię?

Kierunki są opracowane przez UE jako Unijny program zdrowotny EU4Health 2021-2027 w zakresie chorób układu ser-

cowo-naczyniowego. Oczywiście, w każdym państwie są nieco inne priorytety, na co innego trzeba zwrócić uwagę, ale są też pewne rzeczy wspólne i proste, jak zaprzestanie palenia papierosów, regularne badania przesiewowe.

W Polsce mieliśmy program Profilaktyka 40 Plus, zapowiadany jest program Moje Zdrowie – generalnie chodzi o to, żeby się badać, ponieważ jeśli wcześniej wykryjemy czynnik ryzyka, to możemy mu przeciwdziałać. Blaszk cholesterolu, które odłożą się w naczyniach krwionośnych, nie znikną. Możemy je stabilizować, zmniejszać ryzyko ich pęknięcia, ale one już nie znikną z układu krążenia. Im wcześniej uda się zdiagnozować problem, tym większa szansa, że zapobiegniemy powikłaniom i spowodujemy, że

### Czego Polska może nauczyć Europę, jeśli chodzi o choroby sercowo-naczyniowe?

Jednym z kluczowych celów polskiej prezydencji jest nadanie chorobom układu sercowo-naczyniowego priorytetowego statusu w polityce zdrowotnej UE, podobnie jak to jest w przypadku walki z nowotworami. Jeśli chodzi o Polskę, to jest problem z profilaktyką, ale mamy najbardziej zaawansowane programy dotyczące leczenia chorób układu sercowo-naczyniowego. Polska od lat wdraża innowacyjne rozwiązania w tej dziedzinie, takie programy, jak KOS-Zawał, opieka koordynowana w POZ, Narodowy Program Chorób Układu Krążenia mogą być inspiracją dla innych krajów UE. Narodowy Program Chorób Układu Krążenia pozwoli

## Jednym z kluczowych celów polskiej prezydencji jest nadanie chorobom układu sercowo-naczyniowego priorytetowego statusu w polityce zdrowotnej UE.

Polacy będą żyli dłużej. 60 proc. polskiej populacji ma zaburzenia gospodarki lipidowej, 40 proc. ma nadciśnienie tętnicze, co pokazuje, że kierunków potrzebnych działań w ramach profilaktyki jest bardzo wiele.


### Czynniki ryzyka w kardiologii i onkologii są bardzo podobne. Połączenie siły z onkologami?

To prawda, wiele czynników ryzyka chorób kardiologicznych i onkologicznych jest wspólnych – jak otyłość, cukrzyca, hipercholesterolemia, palenie papierosów, brak aktywności fizycznej, zły styl odżywiania.

Powiem kolokwialnie – jeśli organizm z jakiegoś powodu niedomaga, ma to wpływ na układ odpornościowy, odpowiedzialny również za niszczenie nowotworu, gdy jest on na poziomie kilku komórek. Dlatego warto dbać o zdrowie.

na dokonanie inwestycji w systemie zdrowia sercowo-naczyniowego, w nowe technologie, w poprawę metod diagnostycznych i leczniczych.

Czekamy na ustawę o Krajowej Sieci Kardiologicznej. To bardzo ważna ustawa porządkująca rozwiązania systemowe w kardiologii w Polsce, unikalny projekt w skali Europy.

Pracujemy też nad odwróconą piramidą świadczeń po to, żeby diagnozować pacjentów w trybie ambulatoryjnym tak długo, jak to jest możliwe na poziomie AOS, a pacjenci byli kierowani do szpitala tylko w dwóch przypadkach: pierwszy to konieczność wykonania inwazyjnych procedur; drugi – gwałtowne pogorszenie stanu zdrowia. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **KATARZYNA PINKOSZ**



### Prof. dr hab. n. med. Przemysław Mitkowski

– kierownik Pracowni Elektroterapii Serca w Uniwersyteckim Szpitalu Klinicznym w Poznaniu, prezes Polskiego Towarzystwa Kardiologicznego w latach 2021-2023.

# Pacjenci z cukrzycą czekają na ruch Ministerstwa Zdrowia

O zaleceniach towarzystw medycznych i naukowych, rozbieżnościach między rekomendacjami a dostępnością leczenia dla chorych na cukrzycę typu 2, roli inhibitorów SGLT2 w terapii, a także o potrzebie rozszerzenia dostępności tych leków dla kolejnych grup pacjentów mówi **PROF. DR HAB. N. MED. DOROTA ZOZULIŃSKA-ZIÓŁKIEWICZ**, kierownik Katedry i Kliniki Chorób Wewnętrznych i Diabetologii Uniwersytetu Medycznego im. K. Marcinkowskiego w Poznaniu

**C**ukrzyca to choroba społeczna - taką diagnozę ma około 2,5 mln Polaków. Na rynku farmaceutycznym dostępnych jest wiele leków przeciwcukrzycowych o różnych mechanizmach działania, w leczeniu często stosuje się jednocześnie nawet kilka preparatów. Jedną z najnowszych klas doustnych środków przeciwhiperlipidemicznych są inhibitory kotransportera sodowo-glukozowego 2 (SGLT2), nazywane flozynami.

Skąd wrzawa wokół flozyn? Nie bez przyczyny zyskały one miano inteligentnych leków przeciwcukrzycowych. Wyróżniają się tym, że nie tylko ułatwiają utrzymanie prawidłowego stężenia glukozy we krwi, ale też umożliwiają kontrolę ciśnienia tętniczego oraz zaburzeń lipidowych. Dodatkowo przyczyniają się do obniżenia masy ciała i działają korzystnie na układ krążenia. Wywierają więc efekt terapeutyczny na bolączki zdrowotne większości współczesnego społeczeństwa.

Przypomnijmy szczególnie mechanizm działania flozyn. Jest to grupa leków obniżających stężenie cukru we krwi poprzez wzrost wydalania glukozy wraz z moczem. Podawanie inhibitorów SGLT2 wywołuje znaczny cukromocz - białko powodujące zwrotne wchłanianie sodu i glukozy przez nerki jest blokowane przez leki. Dodatkowo utrata glukozy wraz z moczem oznacza również utratę kalorii, a co za tym idzie - spadek masy ciała pacjenta i pewne obniżenie ciśnienia tętniczego krwi. Flozyny można zastosować na każdym etapie leczenia, gdyż zachowują swoje



działanie niezależnie od tego, czy trzustka chorego wytwarza insulinę, czy też nie. Nie wywołują niedocukrzeń, toteż mogą je przyjmować pacjenci leczeni innymi lekami przeciw cukrzycy, w tym insuliną. Początkowo flozyny były podawane jako dodatek do metforminy i pochodnych sulfonilomocznika, od niedawna są jednak traktowane jako lek pierwszego rzutu na równi z metforminą. Flozyny nie wpływają w żaden sposób na działanie insuliny,

dzięki czemu nie wywołują hipoglikemii, co jest ich niewątpliwą zaletą.

Mimo stopniowo poszerzanego dostępu do optymalnego leczenia pacjentów z cukrzycą typu 2 (DMT2 - diabetes mellitus type 2), wciąż jest grupa chorych, która nie ma zagwarantowanego dostępu do flozyn uznanych - jak wspomniano - za standard leczenia na świecie. Chodzi o osoby z DMT2 obciążone wysokim ryzykiem powikłań sercowo-naczyniowych i hospitali-

zacji ze względu na te powikłania. Zgodnie z wytycznymi klinicznymi Polskiego Towarzystwa Diabetologicznego, Europejskiego Stowarzyszenia Badań nad Cukrzycą oraz rekomendacjami towarzystw naukowych powinni być oni objęci leczeniem już od pierwszej linii leczenia inhibitorami SGLT 2, niezależnie od kontroli glikemii.

### Jaką rolę odgrywają flozyny w leczeniu pacjentów z cukrzycą typu 2? Czy są to leki wciąż nowe, czy można mówić o nich, że stały się już standardem w leczeniu?

Nie są to leki bardzo nowe, ponieważ mają już 10-letnią historię stosowania. Nie można też powiedzieć, niestety, że flozyny są standardem w leczeniu – w każdym razie nie są nim w naszym kraju. Leki te są mocno osadzone w zaleceniach międzynarodowych towarzystw medycznych, a także Polskiego Towarzystwa Diabetologicznego. Niestety z racji ograniczeń refundacyjnych wprowadzonych przez resort zdrowia nie są u nas lekami tak szeroko stosowanymi, jak być powinny zgodnie ze wskazaniami rejestracyjnymi.

### Jakie są ograniczenia refundacyjne w ich stosowaniu?

Kryteria refundacyjne stosowania flozyn rysowały się w miarę historii publikacji wyników badań z udziałem tych leków. Mówię o tym, bo wskazania refundacyjne trzeba rozumieć z perspektywy czasu. Chodzi m.in. o to, że kiedy inicjowano refundację flozyn wiele lat

## Głos pacjentów

Choć według standardów światowych omawiane leki powinny być udostępniane chorym w I linii leczenia, polskie środowisko pacjentów jest świadome ograniczeń systemowych i postuluje w 2025 r. wprowadzenie ich choćby w drugiej linii leczenia wraz z obniżeniem wartości HbA1c do 7%. Jest to propozycja pośrednia pomiędzy obecnym wskazaniem refundacyjnym, a wskazaniem wynikającym z wytycznych klinicznych. Jak mówią przedstawiciele środowiska, obecnie pacjenci z wysokim ryzykiem sercowo-naczyniowym muszą czekać na pogorszenie zdrowia, by uzyskać dostęp do flozyn. Każda kolejna hospitalizacja to nie tylko obciążenie dla państwa, ale dramat chorego i jego najbliższych. Można tego uniknąć, chociażby przeznaczając na dostęp do terapii środki z opłaty cukrowej.

-naczyniowym, zdefiniowanym (refundacyjnie) trochę inaczej aniżeli to ryzyko jest określane standardowo, według kalkulatora oceny ryzyka. Bardzo wysokie ryzyko sercowo-naczyniowe rozumiane w kryteriach refundacyjnych to: potwierdzona choroba sercowo-naczyniowa lub uszkodzenie innych narządów – objawiające się białkomoczem albo przerostem lewej komory, albo retinopatia cukrzycowa, albo – i to jest kolejna alternatywa – obecność trzech lub więcej głównych czynników ryzyka: wiek (mężczyzn  $\geq 55$  lat, kobiet  $\geq 60$  lat), nadciśnienie tętnicze, dyslipidemia, otyłość oraz palenie papierosów.


Kiedy konstruowano wspomniane kryteria refundacyjne, nie było jeszcze wyników tych badań, które pokazały, że flozyny mają wartość niezależnie od naturalnej historii cukrzycy typu 2. Są nawet badania, które spowodowały rejestrację

### Czyli im wcześniej zastosuje się te leki, tym lepiej dla pacjentów. A nie stopniowo, jak wcześniej.

Natura nam podpowiada, w którym miejscu powinny być uplasowane flozyny w leczeniu cukrzycy typu 2. Jeśli spojrzymy na czynniki, które generują hiperglikemię, oraz na to, że cukrzyca jest zdefiniowana wartością glikemii przygodnej  $\geq 200$  mg/dl, a powyżej 180 mg/na dl cukier pojawia się w moczu, a gdy się pojawia cukier w moczu to rośnie ekspresja kotransportera sodowo-glukozowego typu 2, to jest to właśnie ten moment, w którym powinniśmy omawianą patologię wyciszyć. A wyciszymy ją podaniem flozyn, które powinniśmy więc wdrożyć u pacjenta wraz z rozpoznaniem DMT2. To bardzo logiczne.

### Czy ograniczenie ryzyka powikłań to ważny argument w dyskusji o zasadności stosowania leku?

Patrząc w perspektywie dalekosiężnej, po to, żeby zminimalizować ryzyko powikłań u pacjentów, tj. odsunąć ich wystąpienie jak najdalej w czasie, powinniśmy postępować zgodnie z zaleceniami – dostęp flozyn powinien być poszerzony z uwzględnieniem osób, które mają wysokie ryzyko sercowo-naczyniowe.

Barierą w udostępnieniu, de facto refundacji inhibitorów SGLT2 dla większej grupy pacjentów, jest cena leku, która dla starszych osób może być problematyczna. Gdyby się ona zmniejszyła, lek najprawdopodobniej stałby się szerzej dostępny. Zarówno lekarze, jak i pacjenci czekają na to. Liczymy, że tak się stanie. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

## Liczne badania wskazują na to, że flozyny powinny być stosowane od razu u większości pacjentów wraz z rozpoznaniem cukrzycy jako leki pierwszego rzutu.

temu, to wiedzieliśmy na ich temat zdecydowanie mniej niż obecnie, i to rzeczy znaczących terapeutycznie. Pamiętajmy, że wskazania w zakresie stosowania inhibitorów SGLT2 w cukrzycy typu 2, choć nieco zmodyfikowane, ale bardzo podobne do pierwotnego, dotyczy pacjentów leczonych co najmniej dwoma lekami przeciwhiperglikemicznymi, mających wartości hemoglobiny glikowanej  $\geq 7,5\%$  oraz z bardzo wysokim ryzykiem sercowo-

flozyn do stosowania u pacjentów bez cukrzycy, ale z przewlekłą niewydolnością serca bądź z przewlekłą chorobą nerek i wykazały wartość nawet w prewencji cukrzycy typu 2 w grupach zwiększonego ryzyka zachorowania. Liczne dalsze badania porefundacyjne wskazują na to, że flozyny powinny być tak naprawdę stosowane od razu u większości pacjentów wraz z rozpoznaniem cukrzycy jako leki pierwszego rzutu.

Rozmawiała **AGNIESZKA FEDORCZYK**



### Czym grozi źle wyrównana cukrzyca?

To jest bardzo poważny problem. Cukrzyca znacząco skraca życie, zwiększa ryzyko występowania takich chorób, jak choroba wieńcowa, zawał serca, niewydolność serca, zaburzenia rytmu serca, ale też udar mózgu, demencja, niewydolność nerek, retinopatia, polineuropatia, owrzodzenia podudzi. Cukrzyca wraz z jej powikłaniami nie tylko znacząco skraca życie, ale też upośledza jego jakość, między innymi prowadząc do inwalidztwa. Przyczynami inwalidztwa u osób z cukrzycą mogą być między innymi znaczące ograniczenie wydolności fizycznej, szybko postępująca demencja, ślepotą albo amputacja dolnej kończyny.

Trudno sobie wyobrazić narząd w ciele człowieka, którego funkcja nie byłaby upośledzona z powodu cukrzycy, szczególnie nieleczonej lub niewystarczająco dobrze leczonej.

### Jakie są najczęstsze powikłania sercowo-naczyniowe cukrzycy?

W pierwszym rzędzie – choroba wieńcowa, zawał serca, niewydolność serca, zaburzenia rytmu serca, także udary mózgu oraz miażdżycę tętnic kończyn dolnych, prowadząca czasem do amputacji kończyny dolnej.

### Jak dużym problemem jest cukrzyca u osób starszych?

Częstość występowania cukrzycy istotnie rośnie z wiekiem. O ile u dzieci, młodzieży, młodych osób dorosłych jej częstość nie przekracza 1-2 proc., to w średnim wieku wynosi kilkanaście procent, a po 65. roku życia 25-30 proc. Trzeba jeszcze dodać inne formy zaburzeń gospodarki węglowodanowej: stan przedcukrzycowy może mieć formę nietolerancji węglowodanów albo wysokiego stężenia glukozy na czczo. Ocenia się, że w polskiej populacji stan przedcukrzycowy stwierdza się u około kilkunastu procent starszych osób. Reasumując, zaburzenia gospodarki węglowodanowej stanowią istotny problem kliniczny dla około 40 proc. polskich seniorów.

### Dlaczego tak ważne jest dobre monitorowanie cukrzycy u wszystkich pacjentów, zwłaszcza u osób starszych?



# Monitorowanie cukrzycy okiem kardiologa

Rozmowa z **PROF. PIOTREM JANKOWSKIM**,  
kierownikiem Katedry i Kliniki Chorób  
Wewnętrznych i Gerontokardiologii Szpitala  
im. prof. W. Orłowskiego CMKP w Warszawie.

Ciągłe monitorowanie stężenia glukozy pozwala lepiej i skuteczniej leczyć cukrzycę, lepiej dostosowywać leczenie do potrzeb pacjenta. Co ważne, u osób z cukrzycą groźna jest nie tylko hiperglikemia, czyli wysokie stężenie glukozy, ale również niskie jej stężenie, hipoglikemia, do której może dochodzić nawet u osób leczonych nowocześnie. Trzeba przy tym zaznaczyć, że hipoglikemia jest nawet groźniejsza niż hiperglikemia, szczególnie dla neuronów. Nawracające epizody glikemii mogą być przyczyną postępującej demencji.

Ciągłe monitorowanie glikemii pozwala ocenić częstości pojawiania się i nasilenie hipoglikemii, również tych przebiegających skąpoobjawowo. Co więcej, nowoczesne systemy mogą alarmować pacjenta o nadmiernym obniżaniu się stężenia glukozy, jeszcze zanim pojawią się objawy hipoglikemii, co często pozwala pacjentowi na odpowiednią reakcję i zapobiegnięcie na przykład śpiączce hipoglikemicznej. Zmniejszenie ryzyka występowania epizodów istotnej hipoglikemii dzięki zastosowaniu ciągłego monitorowania stężenia glukozy, a także świadomość, że u dane-

go pacjenta zagrożenie hipoglikemią jest niskie, powoduje, że możemy odważniej leczyć cukrzycę, co ostatecznie przekłada się na mniejsze ryzyko występowania powikłań, w tym ryzyko chorób serca i naczyń. Ponadto pacjenci stosujący ciągle monitorowanie glikemii często czują się bezpieczniej, chętniej podejmują aktywność fizyczną. Mogą w większym stopniu cieszyć się życiem.

Ważnym aspektem jest również to, że ciągle monitorowanie glikemii jest bardzo dobrym narzędziem edukacji pacjentów z cukrzycą albo zagrożonych wystąpieniem cukrzycy. To dotyczy również osób w wieku senioralnym, dlatego że pacjent, który ma monitor stężenia glikemii, widzi w czasie rzeczywistym, co się dzieje, jeśli zje niezdrowy posiłek, gdy posiłek zawiera za dużo kalorii, szczególnie jeśli jest skomponowany z produktów o wysokim indeksie glikemicznym. Proszę uwierzyć, że takie osoby zmieniają swoje wybory żywieniowe! Jestem głęboko przekonany, że stosowanie ciągłego monitorowania glikemii powinno być uważane za nowoczesną, praktyczną i skuteczną formę edukacji, która zmienia zachowania pacjentów i w ten sposób zmniejsza ryzyko występowania wielu chorób, w tym problemów zdrowotnych ze strony układu krążenia.

**Dlaczego tak ważne jest, żeby mogły z tych systemów korzystać wszystkie osoby, które przyjmują insulinę, nie tylko osoby na intensywnej insulinoterapii?**

Z wszystkich wymienionych powyżej powodów. Po pierwsze ryzyko wystąpienia hipoglikemii jest szczególnie duże u osób leczonych insuliną. Nie tylko u pacjentów leczonych w schemacie intensywnej insulinoterapii. I ono jest istotnie większe niż w przypadku pacjentów leczonych lekami doustnymi. Po drugie, ciągle monitorowanie glikemii w tej grupie osób pozwala na odważniejsze dawkowanie zarówno insuliny, jak i innych leków. W związku z tym poprawia się kontrola cukrzycy i zmniejsza ryzyko rozwoju albo progresji chorób powodowanych przez cukrzycę.

**Kto powinien korzystać z nowoczesnych systemów monitorowania glikemii?**

Z systemów monitorowania glikemii powinny korzystać wszystkie osoby z cukrzycą oraz osoby zagrożone cukrzycą, czyli takie, u których oceniamy, że jest wysokie ryzyko rozwoju cukrzycy. Intensywna edukacja tej drugiej grupy może w wielu przypadkach zapobiec rozwojowi cukrzycy. Myślę, że wszystkie osoby, które chciałyby sprawdzić, jak zachowuje się glikemia w zależności od ich codziennych wyborów życiowych, aktywności fizycznej, wyborów żywieniowych, narażenia na takie toksyny jak etanol mogą sięgnąć po to innowacyjne urządzenie. Każda z tych osób może łatwo się przekonać, co się

farmakoterapii. Wiemy na przykład, że niekorzystnie na stężenie glukozy wpływa chociażby nieprzespanie nocy. Gdy osoba, która prowadzi nieregularny tryb życia, nawet młoda, jeszcze bez żadnych chorób, przekona się, jak zachowuje się stężenie glukozy po nieprzespanej nocy, być może zacznie prowadzić bardziej regularny tryb życia, co przełoży się na jej stan zdrowia.

Na pewno jednak przede wszystkim z systemów monitorowania glikemii powinny korzystać osoby stosujące insulinę. To szczególnie ważne u osób starszych – dzięki nowoczesnym syste-


## Hipoglikemia jest nawet groźniejsza niż hiperglikemia, szczególnie dla neuronów. Nawracające epizody glikemii mogą być przyczyną postępującej demencji.

dzieje w jego organizmie, jeśli dokona niezdrowego wyboru – czy to dotyczącego diety, czy aktywności fizycznej, czy narażenia na różne toksyny. Myślę, że w wielu przypadkach gdy te osoby zobaczą na interaktywnych wykresach konsekwencje swoich codziennych wyborów, dużo rzadziej będą podejmować zachowania ryzykowne, a częściej – zachowania zdrowotne. Bo często te niekorzystane dla zdrowia wybory nie wynikają ze złej woli, ale po prostu z braku świadomości – a nowoczesne systemy dają szansę na uzyskanie cennej wiedzy.

Monitorowanie glikemii może dostarczyć danych, które sugerują obecność zaburzeń metabolizmu węglowodanów. W takim przypadku naturalnie potrzebne jest potwierdzenie lub wykluczenie cukrzycy lub stanu przedcukrzycowego za pomocą innych metod. I najczęściej wdrożenie intensywnej zmiany stylu życia, a w wielu przypadkach także

mom można „podejrzeć”, jak wyglądają „skoki” poziomowi glukozy, zorientować się, jak długi czas pacjent jest optymalnie wyrównany. Taki obraz może uzyskać lekarz, ale także np. dorosłe dzieci starszego pacjenta i w odpowiedni sposób zadziałać.

**Jak wygląda obecnie dostępność tych systemów dla polskich pacjentów?**

W uproszczeniu: refundacją objęte są urządzenia dla kobiet w ciąży chorujących na cukrzycę oraz przyszłych mam, u których wystąpi cukrzyca w ciąży, dla osób niewidomych oraz niedowidzących z cukrzycą, dla dzieci z cukrzycą typu 1 i 3 oraz dla dorosłych chorujących na cukrzycę typu 1 i 3, a także na cukrzycę typu 2 pod warunkiem leczenia insuliną podawaną co najmniej trzy razy na dobę. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **ANNA KOPRAS-FIJOŁEK**



### Prof. dr hab. n. med. Piotr Jankowski

– założyciel i kierownik pionierskiego w Polsce oddziału gerontokardiologii w Szpitalu im. prof. Orłowskiego w Warszawie. Współautor wielu wytycznych i stanowisk ekspertów, w tym Mapy Drogowej Cholesterolu Światowej Federacji Serca Cholesterol ROADMAP 2022.

**Ostatnie lata przyniosły dwie rewolucje w leczeniu cukrzycy. Pierwsza to nowe leki w leczeniu cukrzycy typu 2 (flozyny, inkretyny), druga – to systemy monitorowania stężenia glukozy. Czy ta rewolucja przekłada się na codzienną pracę w gabinecie diabetologa?**

Absolutnie tak. W ostatnich latach jesteśmy świadkami dynamicznych zmian w leczeniu cukrzycy, szczególnie typu 2. Nie skupiamy się wyłącznie na glikemii, która oczywiście nadal jest bardzo istotna, ale jednocześnie mamy na uwadze korzyści i postępowanie protekcyjne w zakresie układu sercowo-naczyniowo-nerkowego. Nadrzędnym celem leczenia cukrzycy jest wydłużenie życia chorych i poprawa jego jakości, co oznacza zmniejszenie ryzyka występowania i progresji powikłań cukrzycy, przede wszystkim sercowo-naczyniowych i nerkowych. Zarówno analogi GLP-1, jak i inhibitory SGLT-2, zwane popularnie flozynami, to dwie klasy leków budzące największe nadzieje diabetologów. Modułują one przebieg choroby, mówi się wręcz, że „sięgają korzeni” cukrzycy typu 2 jako choroby. Oferują dodatkowe i niewątpliwie unikatowe korzyści w zakresie protekcji sercowo-naczyniowej, wykraczające poza wpływ na kontrolę glikemii. Ich stosowanie zapobiega powikłaniom, a co najważniejsze – przedłuża życie osób z cukrzycą.

Równie dynamiczne zmiany dotyczą nowoczesnych metod samokontroli. Coraz powszechniej wykorzystujemy potencjał, jaki oferują systemy ciągłego monitorowania stężenia glukozy – systemy CGM. Co więcej, zaczynamy zastanawiać się, czy nadszedł zmierzch nie tylko punktowych pomiarów przy użyciu glukometrów, ale także oznaczania HbA1c. Dysponujemy obecnie dowodami, że kluczowe korzyści kliniczne z zastosowania systemów CGM wykraczają poza efektywną kontrolę glikemii i ograniczenie ryzyka hipoglikemii.

**To rzadko spotykane, żeby systemy służące monitorowaniu leczenia miały skuteczność porównywalną do leków. Czy faktycznie tak jest?**

Stosowanie systemów CGM wiąże się z poprawą innych istotnych wskaźników kontroli cukrzycy, takich jak czas w zakresie docelowym (TIR), uznawany za kluczowy parametr oceny kontroli cukrzycy. Badania wskazują, że każde wydłużenie czasu w za-



## Monitorowanie to także leczenie

Rozmowa z **PROF. JANUSZEM GUMPRECHTEM**, wiceprezesem Polskiego Towarzystwa Diabetologicznego.

kresie docelowym o 10 proc. zmniejsza ryzyko powikłań mikronaczyniowych nawet o 24 proc., a makronaczyniowych, w tym udaru mózgu, nawet o niemal 35 proc. Ponadto, każde zmniejszenie TIR o 10 proc. wiązało się ze zwiększeniem ryzyka progresji retinopatii o 64 proc. oraz z 40 proc. wyższym ryzykiem wystąpienia nefropatii cukrzycowej. Zastosowanie systemów CGM znacząco zmniejsza ryzyko wystąpienia epizodów hipoglikemii, a także skraca czas przebywania w hipoglikemii w porównaniu z monitorowaniem za pomocą glukometru. Ogranicza także ryzyko wystąpienia ciężkich incydentów hipoglikemii, szczególnie w okresie nocnym, a także przyczynia się do zmniejszenia obaw przed wystąpieniem hipoglikemii, wpływając na optymalizację insulinoterapii i poprawę jakości życia. Wykorzystanie obserwowanych zmian profilu glikemii pozwala bardziej zmotywować osoby z cukrzycą do kontroli masy ciała oraz zwiększenia aktywności fizycznej bez obaw o ryzyko wystąpienia hipoglikemii. Systemy

CGM to także narzędzie edukacyjne, dające pacjentom niedostępne wcześniej możliwości lepszego zrozumienia zależności między stylem życia, dietą, aktywnością fizyczną, farmakoterapią a dynamiką zmian stężenia glukozy w organizmie.

**Obecnie systemy monitorowania glikemii są refundowane dla pacjentów z cukrzycą typu 1 i z cukrzycą typu 2 na intensywnej insulinoterapii, a także dla kobiet z cukrzycą w ciąży. Jakie znaczenie miałyby możliwość ich zastosowania u pacjentów z cukrzycą typu 2 stosujących insulinę, ale którzy nie są na intensywnej insulinoterapii?**

Systemy CGM pozwalają na obserwację stężenia glukozy w czasie rzeczywistym, dostarczając danych o zmienności stężenia glukozy i trendach dobowych. Dzięki temu osoby z cukrzycą typu 2 stosujące insulinę w jakimkolwiek ze schematów, nie tylko na intensywnej insulinoterapii, mogą identyfikować zarówno nagłe wahania stęże-



nia glukozy, jak i powtarzające się trendy związane z posiłkami, aktywnością fizyczną czy codziennymi działaniami, co znacząco poprawia kontrolę cukrzycy. Pełniejsze monitorowanie zmian stężenia glukozy pomaga także wykrywać niedostrzegane wcześniej epizody niedocukrzeń, szczególnie w okresie nocnym, oraz zapobiegać ich wystąpieniu. Epizody te często nie są

ponoszone przez płatnika z tytułu refundacji pasków do nich. Chociaż nadal zaleca się sporadyczne korzystanie z glukometru w celu kalibracji systemu CGM lub potwierdzenia wyników w sytuacjach wyjątkowych, zużycie pasków testowych wśród użytkowników systemów CGM jest znacząco niższe w porównaniu z pacjentami korzystającymi wyłącznie z glukometrów. Ponadto dane

trolowana prowadzi do licznych hospitalizacji z powodu jej powikłań. Szacuje się, że 75 proc. wydatków związanych z cukrzycą wynika właśnie z leczenia powikłań.

Zdalne konsultacje oparte na danych CGM mogą być równie efektywne, co wizyty stacjonarne, a jednocześnie wygodne dla pacjentów i mniej kosztowne dla systemu opieki zdrowotnej. Dzięki tej technologii możliwe jest zatem monitorowanie dużych grup pacjentów przy mniejszym obciążeniu personelu medycznego i zasobów placówek medycznych. Optymalne wykorzystanie systemów CGM wpisuje się także w ideę odwrócenia piramidy świadczeń, w której większy nacisk kładzie się na profilaktykę i leczenie ambulatoryjne, redukując potrzebę kosztownych interwencji szpitalnych.

## Systemy CGM u osób stosujących insulinę stanowią o bezpieczeństwie terapii, pozwalają ocenić skuteczność stosowanej insulinoterapii, lepiej dostosować model podawania insuliny, typ insuliny czy też czas jej podania.

wykrywane z wykorzystaniem glukometru. Precyzyjne monitorowanie zmian i trendów stężenia glukozy daje także możliwość bardziej precyzyjnego dostosowania przez lekarza optymalnego schematu insulinoterapii do indywidualnych potrzeb pacjenta.

### Jak obecnie wyglądają zalecenia Polskiego Towarzystwa Diabetologicznego dotyczące stosowania systemów monitorowania glikemii?

Systemy CGM zajmują ważne miejsce w zaleceniach PTD, a ich rekomendacja znajduje się praktycznie w każdym z rozdziałów, gdyż przynoszą korzyści u wszystkich osób z zaburzeniami gospodarki węglowodanowej, niezależnie od stopnia ich nasilenia. Są rekomendowane nie tylko u osób z typem 1 cukrzycy czy leczonych w schemacie intensywnej insulinoterapii, ale także u osób niestosujących insuliny, a nawet w stadiach przedcukrzycowych. Systemy CGM to ważny element edukacji prozdrowotnej. Wiedza w czasie rzeczywistym o tym, że działania mają bezpośredni związek ze zmianą stężenia glukozy, sprawia, że pacjenci są bardziej skłonni do szybkiej i trwałej zmiany zwyczajów żywieniowych i stylu życia z wszystkimi korzystnymi następstwami.

### Korzyści dla pacjenta są ewidentne, ale są też koszty dla płatnika. Czy systemowi ochrony zdrowia „opłacałaby się” szersza refundacja?


Zastosowanie systemów CGM ogranicza liczbę tradycyjnych pomiarów glikemii za pomocą glukometrów, a więc i koszty

uzyskane dzięki systemom CGM pozwalają na bardziej precyzyjne i optymalne dostosowanie dawek insuliny, a także innych leków przeciwhiperglikemicznych, co może prowadzić do ich bardziej efektywnego wykorzystania, a poprzez to do uniknięcia niepotrzebnych wydatków ze strony płatnika.

### System ochrony zdrowia mógłby też zaoszczędzić dzięki temu, że pacjent miałby mniej powikłań, których leczenie jest bardzo kosztowne...

Zdecydowanie tak. Poprawa kontroli metabolicznej ogranicza potrzebę częstych wizyt ambulatoryjnych i wykonywania dodatkowych badań. Zmniejszenie liczby epizodów hipoglikemii i hiperglikemii, które są głównymi czynnikami ryzyka ostrych powikłań cukrzycy wymagających interwencji medycznej, przekłada się na redukcję kosztów związanych z hospitalizacjami i nagłymi interwencjami medycznymi, a przez to kosztów opieki zdrowotnej. Lepsza kontrola glikemii zmniejsza ryzyko rozwoju przewlekłych powikłań mikronaczyniowych i makronaczyniowych, co w konsekwencji zmniejsza długoterminowe koszty leczenia tych schorzeń. Cukrzyca nieskutecznie kon-

### Systemy do ciągłego monitorowania glikemii są zalecane dla wszystkich pacjentów z cukrzycą. Dla jakiej grupy byłoby jednak najważniejsze, żeby ta refundacja została rozszerzona?

Pomimo ewolucji stosowanych preparatów stosowanie insuliny pozostaje sytuacją wymagającą szczególnej uwagi pacjenta i lekarza. Wynika to przede wszystkim z podwyższonego ryzyka występowania hipoglikemii, stanowiącej bezpośrednie zagrożenie dla zdrowia pacjenta na skutek deficytu glukozy w ośrodkowym układzie nerwowym. Nasz mózg nie ma możliwości magazynowania glukozy. Niskie stężenie glukozy prowadzi do zaburzenia jego pracy, może prowadzić do nieodwracalnego uszkodzenia mózgu, a nawet śmierci. Systemy CGM u osób stosujących insulinę stanowią o bezpieczeństwie terapii, pozwalają ocenić skuteczność stosowanej insulinoterapii, lepiej dostosować model podawania insuliny, typ insuliny czy też czas jej podania. To właśnie dla tej grupy pacjentów rozszerzenie zakresu refundacji byłoby najważniejsze. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **KATARZYNA PINKOSZ**



### Prof. dr hab. n. med. Janusz Gumprecht

– diabetolog, Katedra i Klinika Chorób Wewnętrznych, Diabetologii i Nefrologii Śląskiego Uniwersytetu Medycznego, wiceprezes Polskiego Towarzystwa Diabetologicznego i przewodniczący Zespołu ds. Zaleceń PTD.

# Leczmy, a nie „odchudzajmy”

W leczeniu otyłości nie chodzi tylko o redukcję masy ciała, ale przede wszystkim o to, przy przywrócić dobre funkcjonowanie ośrodków głodu i sytości, zredukować masę tłuszczową, budując przy tym masę mięśniową. Celem jest nie tylko redukcja kilogramów, ale też zapobieganie i leczenie powikłań – mówi **PROF. LUCYNA OSTROWSKA**, prezes Polskiego Towarzystwa Leczenia Otyłości.

**Dziś już doskonale wiemy nie tylko to, że otyłość jest chorobą, ale też to, że powoduje ponad 200 powikłań. Najczęstsze z nich to powikłania sercowo-naczyniowe?**

Publikacje naukowe pokazują, jak poważna jest choroba. WHO potwierdziła, że choroba otyłościowa skraca życie o 4 lata, a jeśli są już jej powikłania, to skraca życie nawet o 10 lat. Dlatego trzeba ją traktować w kategoriach życia i zdrowia. Jest punktem wyjścia wielu chorób metabolicznych. Aż u 89 proc. chorych na otyłość rozwinię się nadciśnienie tętnicze. U chorych rozwija się też stan przedcukrzycowy, cukrzyca typu 2, miażdżyca, choroby sercowo-naczyniowe. Pacjent z chorobą otyłościową 7 razy częściej ma udar mózgu, a nawet 8 razy częściej – zawał serca. Onkolodzy podkreślają, że u pacjenta chorego na otyłość ryzyko nowotworu rośnie 40-krotnie. Podczas kongresów onkologicznych coraz częściej mówi się, że nawet 60 proc. nowotworów wywodzi się z zaburzeń, które generuje tkanka tłuszczowa.

Modny jest obecnie ruch body positive; kochajmy swoje ciało, dbajmy o nie, ale dbajmy o nie w kategoriach zdrowia. Jeśli ciało zaczyna chorować, to nie można już mówić o ciałopozytywności. To ciałonegatywność. Choroba otyłościowa rozwija się, powodując coraz więcej powikłań.

**Związek między otyłością i cukrzycą typ 2 wydaje się prosty; niewiele osób uświadamia sobie, że jest też związek: otyłość-zawał serca, otyłość-udar mózgu...**

Wydaje się, że otyłość wciąż nie jest przez wiele osób postrzegana jako choroba. Tłumaczą to sobie, że tak byliśmy wychowani.

W przeszłości otyłość była postrzegana jako symbol bogactwa. Na obrazach Rubensa widać kobiety piękną, zadbaną; otyłość to był kanon nie tylko piękna, ale też dobrobytu. Nasze babcie, dziadkowie przeżywali okresy głodu; wiedzieli, że trzeba jeść, żeby przeżyć. Jedzenia brakowało, ludzie ciężko pracowali. Jedli tłusto, ale nie torty z bitą śmietaną i lody, bo ich nie było. Dziś jedzenia jest pod dostatkiem, a myślenie: „Jedz, to będziesz zdrowy” wciąż jest utrwalone. Podobnie jak przekonanie, że nie wolno zostawiać jedzenia na talerzu, bo to niegrzeczne. Zatraciliśmy rozumienie i poczucie głodu i sytości.

A przecież nadmierne odżywienie często nie oznacza zdrowia; można być przekarmionym pod względem białek, tłuszczów, węglowodanów, a mieć niedobory witaminowo-mineralne. Często tak jest – nawet u pacjentów z otyłością.

**Polskie Towarzystwo Leczenia Otyłości już od kilku lat edukuje, że otyłość jest chorobą, a nie kwestią wyglądu;**

łłość. W chorobie otyłościowej nie chodzi o „grubość”, tylko o to, co za tą „grubością” stoi. Dlatego uważam, że każdy w dorosłym życiu powinien zrobić badanie składu ciała i zobaczyć, jakie ma rozłożenie tkanki mięśniowej i tkanki tłuszczowej i jak ta ostatnia rozkłada się w organizmie: ile jest tkanki tłuszczowej podskórnej, ile trzewnej, a ile ektopowej, czyli wbudowanej w serce, nerki, trzustkę, wątrobę.

Jeśli tkanka tłuszczowa jest wbudowana w narządy, to jak one mają normalnie pracować? Jak ma pracować serce, kurczyć się i rozkurczać, skoro zmniejsza się tam ilość tkanki mięśniowej, a zwiększa zawartość tłuszczu? Jeśli mięsień sercowy jest przerośnięty tłuszczem, to może wtedy dochodzić do jego niewydolności czy migotania przedsionków.

**Serce osoby z chorobą otyłościową ma inną budowę?**

Tak, gdyż wbudowuje się w nie tłuszcz. Nie tylko w serce. Mówimy: stłuszczone

**Onkolodzy podkreślają, że u pacjenta chorego na otyłość ryzyko nowotworu rośnie 40-krotnie.**

**że nie chodzi o „grubość”, a tkanka tłuszczowa jest potężnym organem wydzielania wewnętrznego...**

Otyłość wciąż jest postrzegana wizualnie. A przecież osoba, która „nie mieści się w drzwiach”, może mieć nadmiar masy mięśniowej, jak np. zawodnicy sumo. Oni nie są osobami z otyłością, mają nadmiar masy mięśniowej. Wygląd nie stanowi o tym, że dana osoba jest chora na oty-

wątroba. A to oznacza, że nie może ona prawidłowo funkcjonować, przetwarzać białek, tłuszczów, węglowodanów, kumulować witamin. Po stłuszczeniu następują mechanizmy włóknienia: prawdopodobnie to jest proces nieodwracalny. Pojawia się stan zapalny, marskość wątroby. Kardiolodzy biją na alarm, bo stłuszczone wątroba to bardzo poważny czynnik ryzyka chorób sercowo-naczyniowych.

Tkanka tłuszczowa trzewna jest potrzebna – to m.in. magazyn cholesterolu, niezbędnego do budowy hormonów tarczycowych, nadnerczowych, witaminy D – ale nie w nadmiarze. Osoby chore na otyłość mają zaburzone funkcjonowanie ośrodków głodu i sytości. Nie czują sytości: być może powodem jest nadmiar wydzielania greliny w żołądku, ale też zmniejszone wydzielania w jelitach hormonów inkretynowych (GLP-1, GIP, cholecystokina, PYY i inne). Nie mają prawidłowej sygnalizacji w ośrodku sytości, co powoduje brak uczucia sytości

rom możemy zobaczyć, w jaki sposób tkanka tłuszczowa rozkłada się w organizmie: pod skórą, w jamie brzusznej, ektopowo – na/lub w narządach wewnętrznych.

### **Na pacjentach robi to wrażenie, gdy zobaczą, co dzieje się wewnątrz organizmu?**

Ogromne. To moment uświadomienia sobie, czym naprawdę jest otyłość. Można zobaczyć całkowitą zawartość tkanki mięśniowej, tłuszczowej, skład ciała – zawartość białek, tłuszczów, wody. BMI to prosty parametr, który mówi tylko o masie

jest. Teraz potrafimy zobaczyć, jak tkanka tłuszczowa rozkłada się w organizmie. Wiemy też, jakie substancje może wydzielać. Widzimy też, że to ona steruje naszym metabolizmem razem z tkanką mięśniową, wątrobą i trzustką.

### **Sterują nami hormony?**

Odkąd zaczęliśmy badać wydzielanie greliny – czyli hormonu żołądkowego, który mówi: „Idź i jedz” – to wiemy, że zwiększa się ono wraz z masą ciała. Czyli u osoby, która ma nadmierną masę ciała, wydziela się więcej greliny; dlatego ta osoba wciąż czuje głód. Poza tym grelina u osoby, która ma prawidłową masę ciała, obniża się po posiłku, zaś u pacjenta z otyłością wydziela się przez cały czas. Jedna z moich pacjentek powiedziała, że gdy kolejny raz usłyszała w gabinecie lekarskim, że „powinna mniej jeść”, to pomyślała, że chciałaby zobaczyć, co ta pani doktor by zrobiła, gdyby jej wstrzyknąć grelinę. Niestety, wciąż jest duże niezrozumienie, czym jest choroba otyłościowa – także wśród lekarzy.

W trakcie posiłku poziom greliny powinien spadać, za to powinny zacząć wydzielać się hormony jelitowe, które powodują poczucie sytości. U osób z otyłością tak nie jest. Dlatego we współczesnym leczeniu chodzi o to, żeby przywrócić fizjologię: zwiększyć wydzielanie hormonów jelitowych, które dotrą do mózgu i przywrócą sygnalizację sytości. Jedna z moich pacjentek, która leczy się, określiła to tak: „Kiedyś zjadałam naraz całe opakowanie lodów, a teraz zjadam trochę i więcej już nie dam rady”.

### **Wciąż wiele osób uważa, że wystarczy „więcej się ruszać, a mniej jeść”. Ale duże badanie naukowe, które m.in. Pani prowadziła, pokazało, że w przypadku choroby otyłościowej sama aktywność fizyczna i dieta to za mało...**

Tak; to było międzynarodowe badanie, którego projekt zakładał, że w ciągu pół roku osoby biorące w nim udział schudną 10 proc. wyjściowej masy ciała i utrzymają ją do końca badania (1,5 roku). Pacjenci mieli wydawane posiłki o określonej liczbie kalorii, a trzy razy w tygodniu mieli zapewnione ćwiczenia fizyczne: do wyboru nordic walking lub basen. W grupie, którą ja się zajmowałam, średnia masa ciała wynosiła 93 kg; wystarczyło więc schudnąć 9 kg. Okazało się, że nikomu nie udało się utrzymać redukcji



w trakcie spożycia odpowiedniej ilości pożywienia i/lub zasycenia poposiłkowego. Poza tym przerośnięta tkanka tłuszczowa „wyrzuca” z siebie mnóstwo cytokin zapalnych, które uszkodzają śródbłonek naczyń krwionośnych. Mogą tworzyć się blaszki miażdżycowe, pojawia się także nadciśnienie tętnicze.

Obecnie dzięki tomografii komputerowej, rezonansowi magnetycznemu i skane-

ciała (w kilogramach, względem wzrostu wyrażonego w metrach do kwadratu), ale nie wiemy, czy pacjent w związku z tą nadmierną masą ciała ma za dużo wody w ustroju (np. z powodu obrzęków), czy może ma dużo zbudowanej w trakcie ćwiczeń fizycznych tkanki mięśniowej, czy w końcu ma nadmiar tkanki tłuszczowej.

Dopóki nie potrafiliśmy tego zobrazować, wiedzieliśmy tylko, że tkanka tłuszczowa



masy ciała do końca badania! A były nawet osoby, które po jego zakończeniu ważyły nawet więcej niż wcześniej!

### Co było powodem?

Nie były w stanie utrzymać restrykcji. Zwykle najszybciej rezygnowali z odpowiedniej ilości aktywności fizycznej, potem także z restrykcji kalorycznych; zaczynali poza posiłkami podjadać.

Opisując wtedy to badanie, napisaliśmy, że brak efektów to „wina” pacjentów, któ-

dzi o taką aktywność fizyczną, jaką można wykonywać przez całe życie, by utrzymać masę mięśniową, aby nie spadała.


Lekarz rodzinny, który ma 15 minut dla pacjenta, nie da rady dobrać dla niego indywidualnie diety, aktywności fizycznej. A nie wystarczy też przekaz: wypisuję receptę, proszę brać leki, mniej jeść i więcej się ruszać. Chcemy włączyć otyłość do opieki koordynowanej, żeby lekarz POZ mierzył każdego, ważył, rozpoznawał otyłość, dawał pierwsze wskazówki, a jeśli to jest konieczne

insulinooporności, cofa się stan przedcukrzycowy, cukrzyca. Leki te obniżają też poziom trójglicerydów, dlatego cofają się powikłania kardiologiczne.

**Dane pokazują, że ok. 5 lat pacjent chodzi do gabinetów różnych lekarzy, zanim usłyszy diagnozę choroby otyłościowej, a sama choroba wciąż jest słabo dostrzegana przez system ochrony zdrowia. Jeśli to się nie zmieni, jakie będą konsekwencje?**

Wciąż leczymy powikłania choroby otyłościowej, których jest ponad 200, a warto leczyć ich przyczynę, czyli samą chorobę otyłościową. Amerykanie pokazali to jasno: 1 dolar zainwestowany w leczenie otyłości powoduje 6 dolarów oszczędności, których nie wyda się dzięki temu na leczenie powikłań. Zawsze bardziej opłaca się leczenie choroby od samego początku niż potem leczenie powikłań.

**Co jest konieczne, by zatrzymać rozwój epidemii otyłości w Polsce? Czy jest kraj, który poradził sobie z tym problemem, który może być wzorem?**

Wspólnie z „Partnerstwem na rzecz Profilaktyki i Leczenia Otyłości” opracowaliśmy raport, co należy zrobić, żeby zatrzymać epidemię otyłości w Polsce. Raport powstał w oparciu o najlepsze rozwiązania ze świata. Wydaje się, że jeśli chodzi o profilaktykę, to najlepsze rozwiązania przyjęto w Hiszpanii. Podstawą jest edukacja zdrowotna rozpoczęta już na poziomie przedszkola, a później kontynuowana w szkole. Ważne jest, żebyśmy aktywność fizyczną promowali już od dziecka. Moim zdaniem w ramach profilaktyki każdy dorosły powinien też wykonać badanie składu ciała, żeby widzieć, w jakim punkcie się znajduje i okresowo kontrolować swoją masę ciała i obwód w pasie. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **KATARZYNA PINKOSZ**

## Wiemy, że dieta i aktywność fizyczna to fundamenty, których musimy pilnować, ale potrzebne są też filary, czyli leczenie. Dziś mamy nowoczesne leki.

rzy nie przestrzegali reżimów aktywności fizycznej i żywieniowych. Wówczas nie byliśmy świadomi tego, że włączyły się w nich mechanizmy adaptacyjne. Nie wiedzieliśmy też, że skuteczność działań powinniśmy oceniać, analizując skład ciała, a nie tylko kilogramy. Chodzi o to, by stracić masę tłuszczową, ale budować masę mięśniową.

Dziś już wiemy, że dieta i aktywność fizyczna to są fundamenty, których musimy cały czas pilnować, ale potrzebne są też filary, czyli leczenie. Dziś mamy nowoczesne leki. Ważne jest jednak, żeby zrozumieć, że to nie są „leki na odchudzanie”; to nie jest tak, że „wstrzyknę sobie lek i schudnę”. Na początku to działa: pojawia się uczucie sytości, je się mniej, więc masa ciała się zmniejsza. Jednak lek daje czas, żeby pacjent nauczył się jeść właściwe porcje. Konieczna jest zmiana diety i aktywność fizyczna. Ruch jest ważny, ponieważ buduje masę mięśniową, a dieta musi dostarczać białko, które buduje masę mięśniową.

**To pokazuje, dlaczego tak ważne jest to, żeby pacjentem zajmował się wielospecjalistyczny zespół, składający się również z dietetyka...**

To konieczne. Nie chodzi o to, żeby tylko przyjmować leki. Wypisanie recepty to za mało. Pacjent cieszy się, bo chudnie, ale... tak jest tylko przez pewien okres, a potem znów zacznie przybierać na masie ciała, jeśli nie zmieni przyzwyczajzeń żywieniowych i zapomni o aktywności fizycznej, która musi być dla niego odpowiednio dobrana. Cho-

– kierował pacjenta do poradni metabolicznej lub innej specjalistycznej przeznaczonej dla pacjenta. Chcemy też stworzyć ośrodki kompleksowego leczenia choroby otyłościowej dla osób z BMI powyżej 30.

Nie można kończyć leczenia na wypisaniu recepty. Problem polega na tym, że te leki również wpływają na redukcję masy mięśniowej, ponieważ organizm zabiera energię, skąd może. Jeśli więc będziemy te leki przyjmowali długo i tracili masę mięśniową, to być może będziemy szczupli, ale słabi. Chodzi o to, żeby stracić masę tłuszczową, ale zachować tkankę mięśniową, dlatego konieczna jest aktywność fizyczna dostosowana do możliwości chorego.

**Leczenie otyłości to nie tylko zmniejszenie masy ciała, ale też ryzyka powikłań, np. kardiologicznych?**

To jest najważniejsze w leczeniu otyłości – pacjent nie tylko traci masę ciała, ale również zmniejszają się powikłania metaboliczne. Leczenie poprawia metabolizm, receptory z powrotem uwrażliwiają się na insulinę, dzięki czemu cofa się zjawisko



### Prof. Lucyna Ostrowska

– prezes Polskiego Towarzystwa Leczenia Otyłości, kierownik Zakładu Dietetyki i Żywienia Klinicznego Uniwersytetu Medycznego w Białymstoku; od 2000 r. członkini zespołu ds. przeciwdziałania otyłości przy Radzie do spraw Zdrowia Publicznego.



## Ten program to rewolucja

Jeśli ktoś mnie spyta, dlaczego operuję chorych na otyłość, to odpowiedź jest tylko jedna: aby uratować im zdrowie i życie – mówi **PROF. MARIUSZ WYLEŻOŁ**, prezes elekt Polskiego Towarzystwa Leczenia Otyłości.

**KOS-BAR – pod tym akronimem kryje się program, który jest innowacją na skalę światową. Obejmuje pacjentów, którzy do tej pory byli właściwie pozbawieni opieki: chorujących na ciężką postać otyłości. Ale nie tylko to jest w tym programie przełomowe...**

Cały świat zмага się z problemem finansowania opieki zdrowotnej, ponieważ w większości systemów – zarówno finansowanych przez płatnika publicznego, jak i przez ubezpieczenia prywatne działające na rynku medycznym – płaci się za poszczególne procedury: konsul-

tacje, badania, operacje, wizyty. Jako anegdotę powiem, że przed 1997 r. jako młody asystent na polecenie prof. Mariana Zembali miałem zaszczyt jeździć Polskę z prof. Nancy Ascher, wybitną chirurg transplantomolog wątroby. Usłyszałem słowa, które wtedy były dla mnie niezrozumiałe: że medycyna może „skonsumować” wszystkie środki finansowe, niezależnie, ile byśmy zainwestowali. Zrozumiałem te słowa po latach, kiedy zaczęliśmy w Polsce finansować system opieki zdrowotnej podobnie jak w innych krajach. Dziś nie jest problemem zlecenie pa-

centowi kolejnych badań, kierowania na niekończące się konsultacje...

### Z których często niewiele dla pacjenta wynika...

Ostatnio słyszałem dyskusję między dwoma lekarzami, dlaczego kierują chorych z nowotworami do konkretnego ośrodka. Okazało się, że dlatego, że w tym ośrodku wszystkim wykonywane jest badanie PET. Ale czy ono jest naprawdę konieczne? Popatrzmy, jak rozrosła się diagnostyka obrazowa: oczywiście, z jednej strony to bardzo dobrze, jednak we wszyst-

kim musi być umiar, a przede wszystkim musi być w tym wszystkim sens: o tym mówi Value Based Healthcare (VBHC).

**Czyli: medycyna oparta na wartości. Innymi słowy: sprawdzamy, czy wykonywanie określonych procedur ma sens, czy przekłada się na korzyści dla pacjenta, jak też czy jest to opłacalne?**

I to właśnie wyróżnia program KOS-BAR. Wszystkie ośrodki, które zaczęły realizować program pilotażowy KOS-BAR, pracują według takiej samej ścieżki, realizują taki sam program. Płatnik płaci nie za konkretne badanie, wizytę, operację, tylko za kompleksową opiekę, za pakiet usług, których celem jest przygotowanie do operacji, jej wykonanie i opieka przez rok nad pacjentem; obejmuje też wykonanie rehabilitacji przedoperacyjnej, pooperacyjnej – w określonych ramach czasowych. Jest to zunifikowanie opieki nad chorymi w całym kraju w ośrodkach realizujących program, oparcie opieki na systemie VBHC, gdzie płacimy za efekt, a dodatkowo możemy porównać wyniki między ośrodkami. Zapewniamy chorym kompleksową opiekę w najważniejszym okresie leczenia: przygotowania do operacji oraz pierwszego roku po operacji. Nie wysyłamy chorego na konsultacje, badania, tylko nim się opiekujemy od początku do końca.

O ten program jesteśmy pytani na każdej konferencji zagranicznej, ponieważ w innych krajach tak ta opieka nie działa. W momencie wejścia do programu pacjent wie, że w ciągu 3-6 miesięcy będzie operowany; wie, jaki zakres badań będzie wykonany, jak będzie wyglądało przygotowanie; dowiaduje się tego jeszcze przed włączeniem do programu. Czy w jakiegokolwiek in-



**Jakie korzyści ma pacjent z programem KOS-BAR?**

Po pierwsze – ma wytyczoną ścieżkę; wie, co go spotka na każdym etapie. Po drugie – ma zapewnioną kompleksowość opieki, czego do tej pory system mu nie zapewnił. Przed włączeniem do programu pacjenci dostają pisemną informację, jak będzie wyglądać opieka, co po kolei się wydarzy. Oczywiście, zdarzają się niespodziewane sytuacje. Niestety, nasze społeczeństwo ma małą wiedzę na temat swojego zdrowia; szczególnie dotyczy to osób chorujących na otyłość, ponieważ tymi chorymi w naszym systemie nikt się nie zajmuje. Gdy pacjent chce rozpo-

-BAR odkryliśmy wiele nowotworów złośliwych, szczególnie u kobiet – w zakresie narządu rodowego.

**Wykrycie nowotworów to, można powiedzieć, niespodziewany „skutek uboczny” programu KOS-BAR, dzięki czemu kolejna grupa pacjentów zyskała szansę na życie...**

Niestety, otyłość zwiększa częstość występowania nowotworów złośliwych, a chorzy na najbardziej zaawansowane formy otyłości mają ograniczone możliwości diagnostyki: po pierwsze ze względu na nadal niestety dyskryminujące podejście części lekarzy, a po drugie – ze względu na możliwości diagnostyczne. Zdarza się, że specjalista USG zamiast rozpoznania pisze: „Bardzo duża ilość tkanki tłuszczowej utrudniająca badanie”. A chory znów słyszy, żeby się za siebie „wziął”.

W ramach naszej opieki prawdopodobieństwo niewłaściwych zachowań, jak też niedopatrzeń diagnostycznych jest mniejsze, ponieważ lekarze zajmujący się tą grupą chorych pracują z nimi na co dzień.

Z punktu widzenia osoby pracującej w systemie opieki zdrowotnej mogą powiedzieć: ten program to rewolucja, absolutny przełom, ponieważ do tej pory chory dostawał skierowanie, a potem sam mu-

**W momencie wejścia do programu pacjent wie, że w ciągu 3-6 miesięcy będzie operowany; wie, jaki zakres badań będzie wykonany, jak będzie wyglądało przygotowanie. Wszystko jest dokładnie ustalone.**

nej dziedzinie medycyny działa podobny program? Zwykle do lekarza pacjent idzie z wielką niepewnością, co go czeka, jakie jeszcze będzie musiał wykonać badanie, ile będzie na nie czekać. W ramach programu KOS-BAR wszystko jest dokładnie ustalone.

część diagnostykę, leczenie, często słyszy: „Musi Pan/ Pani ze sobą coś zrobić, bo nie będę Pana/Pani leczyć”. To powoduje naturalny odruch: chorzy na otyłość unikają chodzenia do lekarza, jeśli jest to absolutnie konieczne. Muszę powiedzieć, że przy okazji programu KOS-



## Nie wysyłamy chorego na konsultacje, badania, tylko nim się opiekujemy przez całe leczenie. O ten program jesteśmy pytani na każdej konferencji zagranicznej, ponieważ w innych krajach tak ta opieka nie działa.

siał szukać dla siebie specjalisty, badania, czekał na wynik, zapisywał się na wizytę, a kiedy ona w końcu doszła do skutku, to nierzadko okazywało się, że wynik jest już nieważny.

**Przełomem jest również to, że pacjent ma przed operacją zapewnioną rehabilitację; i to odpowiednią, skróconą na miarę. Jest też monitorowany po operacji.**

Wiele osób mówi na początku: „Po co mi ta rehabilitacja, przecież ja się ruszam”. Ale 99 proc. chorych po rehabilitacji mówi: „Było super! Nareszcie wiem, jak to robić bezpiecznie, co mogę, a czego nie”. Jedna z pacjentek niedawno powiedziała mi, że dzięki naszej rehabilitacji „uzależniła się” – w bardzo pozytywnym znaczeniu – od aktywności fizycznej. Dla chorych z tak zaawansowanymi postaciami otyłości nie jest oczywiste, jak ma u nich wyglądać aktywność fizyczna. My kierujemy pacjentów do rehabilitacji po ocenie ogólnej stanu zdrowia, gdy wiemy, że jest to dla niego bezpieczne: ma wydolny układ oddechowy, zdrowe serce, kontrolowane nadciśnienie, cukrzycę. W ramach programu KOS-BAR chorego najpierw bada lekarz, potem specjalista w zakresie rehabilitacji i dobiera dla niego zakres ćwiczeń, by nie doszło do uszkodzenia narządu ruchu. Gdzie jeszcze taką możliwość ma pacjent chorujący na otyłość?

Efekty są znakomite. Widzimy, że chorzy, którzy uczestniczą w KOS-BAR zdecydowanie szybciej mobilizują się po operacji, lepiej znoszą wczesny okres pooperacyjny.

**Jak udało się taki program stworzyć: dobrze ułożony, dający korzyści nie tylko pacjentowi, ale też systemowi ochrony zdrowia?**

To było zderzenie idei, by stworzyć program kompleksowej opieki; tworzyliśmy go wspólnie z ekspertami zarządza-

nia w opiece zdrowotnej, z ekspertami Uczelni Łazarskiego, który jest – można powiedzieć – ośrodkiem kompetencji, jeśli chodzi o VBHC. Program został oparty na wynikach badań naukowych, na podstawie których wiemy, jak postępować z chorym.

Udało nam się przygotować program, napisać go, a potem przekonywaliśmy decydentów, by go wdrożyć. Pilotażowy program miał trwać dwa lata, a następnie miał wejść w życie jako trwałe rozwiązanie w systemie opieki zdrowotnej, z modyfikacjami wynikającymi z programu pilotażowego.

**Jako program pilotażowy KOS-BAR istnieje od 2022 r., obecnie jest przedłużony do 2026 r. Wciąż jako program pilotażowy?**

Niestety, mieliśmy dwie przerwy w programie, często dewastujące dla ośrodków nim się zajmujących, jak również dla chorych. Wciąż nie mamy pewności, ponieważ obecnie większość ośrodków przestała kwalifikować chorych do leczenia w ramach programu – ostatnie operacje możemy wykonać pod koniec czerwca 2025 r.


**Są jednak zapowiedzi, że program wejdzie do koszyka świadczeń gwarantowanych...**

Podczas posiedzenia Zespołu ds. Przeciwdziałania i Leczenia Otyłości wiceminister Konieczny przekazał nam informację, że na posiedzeniu kierownictwa Ministerstwa Zdrowia zapadła decyzja o tym, że program będzie przekazany do dalszych

działań, by wejść jako stałe rozwiązanie w naszym systemie opieki zdrowotnej.

Diabeł jednak tkwi w szczegółach, bo pytanie brzmi: jak będzie realizowany, żeby nie została z niego „proteza”, „wydmuszka”. Jako środowisko już po pierwszym zakończeniu programu zrobiliśmy jego ewaluację, przekazaliśmy wnioski, co można byłoby zmienić. Wiemy, że Ministerstwo Zdrowia zajmuje się wieloma tematami, a program KOS-BAR jest jednym z nich. Dotyczy jednak choroby, która dotyka ogromnej grupy pacjentów i która dewastująco wpływa na zdrowie i życie, dlatego powinien być jednym z priorytetów.

**Mając doświadczenia z kilku lat funkcjonowania programu KOS-BAR, co Pana zdaniem należałoby w nim zmienić?**

Na pewno uważam, że powinno być pewnego rodzaju równouprawnienie: ośrodki leczenia mają obowiązki względem chorego, jednak pewne obowiązki powinny być również po stronie pacjenta. Niestety, 1-2 proc. chorych permanentnie nie zgłasza się na badania, na wizyty, wciąż im coś „wypada”. Albo po wykonaniu 90 proc. badań przygotowujących do operacji dochodzą do wniosku, że jeszcze się nad tym zastanowią, przestają odbierać telefony, odpisywać na SMS-y. Oczywiście, to śladowy odsetek chorych, ale bardzo destrukcyjnie wpływający na osoby zajmujące się chorymi. Muszę powiedzieć, że tego się nie spodziewałem. Uważam, że jeśli ktoś włączy się w system, to jednak powinno go to również do czegoś zobowiązywać. Można powiedzieć, że angażując środki systemu ochrony zdrowia, a potem rezygnując, odbiera się innej osobie szansę na leczenie w programie. 

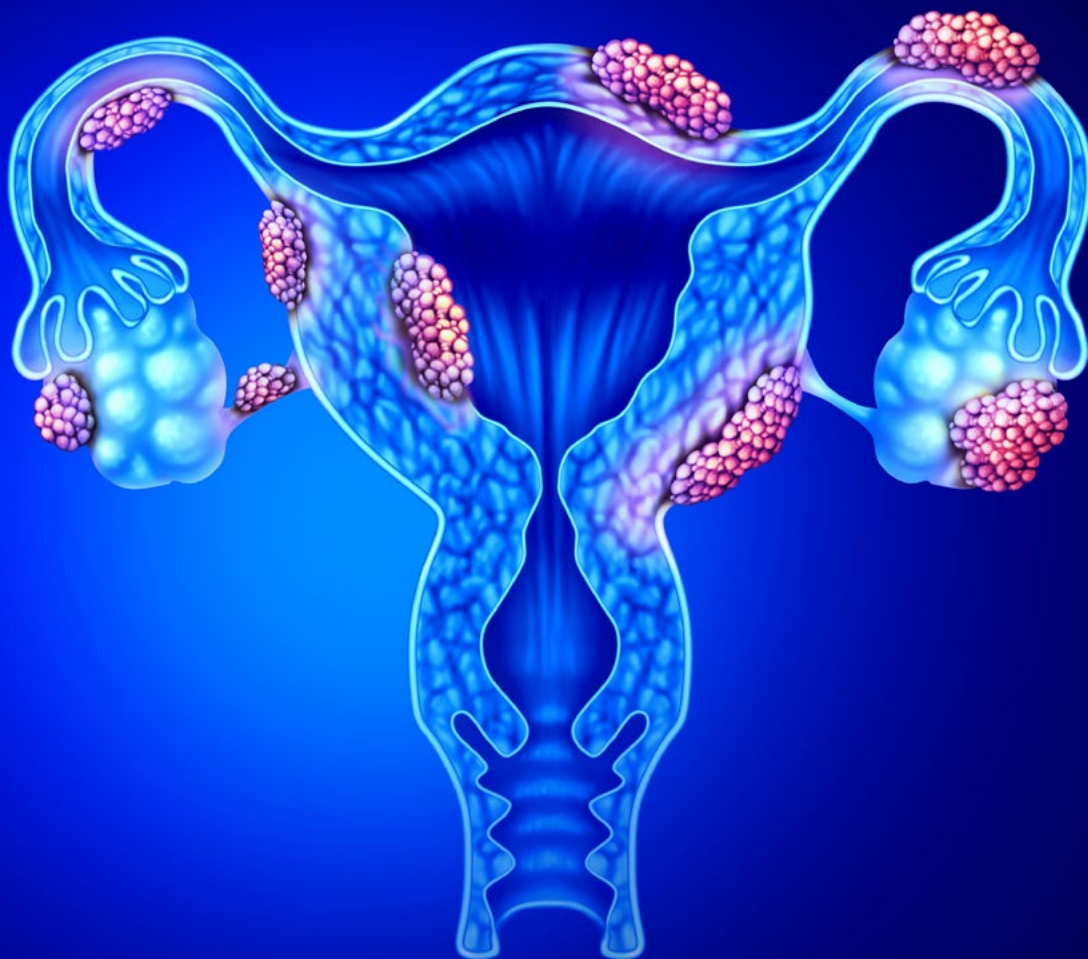
© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **KATARZYNA PINKOSZ**



### Dr hab. n. med. Mariusz Wyleżół

– prezes elekt Polskiego Towarzystwa Leczenia Otyłości, kierownik Warszawskiego Centrum Kompleksowego Leczenia Otyłości i Chirurgii Bariatrycznej.



# Ta choroba może dotyczyć nawet co dziesiątej kobiety

Tekst: ANNA KOPRAS-FIJOŁEK

**K**obiety, które zmagają się z endometriozą, najpierw przez wiele lat „błąkają się” od lekarza do lekarza, zanim usłyszą trafną diagnozę. Opóźnienie w podjęciu leczenia sprawia, że choroba z każdym rokiem coraz bardziej niszczy organizm. Niejednokrotnie dochodzi do zmian, które utrudniają lub uniemożliwiają skuteczne leczenie.

Ta choroba może dotyczyć nawet co dziesiątej kobiety. To niewiarygodne, ale te pacjentki nadal są „niewidoczne” w systemie. Potrzebne są pilne zmiany, i to w wielu obszarach. Dostęp do odpowiedniej diagnostyki endometriozy oraz wiedza na jej temat muszą stać się powszechne. Leki powinny być nie tylko dostępne, ale również – refundowane. Dziś wiele kobiet nie może

sobie pozwolić na ich zakup. Endometrioza to choroba, która powoduje ogromne problemy w zakresie życia społecznego, psychicznego, zawodowego. Stąd ważne jest także wsparcie psychologiczne, dietetyczne, fizjoterapeutyczne. Mówi o tym szefowa fundacji, która działa na rzecz pacjentek, a także specjaliści, którzy widzą, jak kobiety cierpią i z czym się zmagają.

### Kiedy mogą pojawić się pierwsze objawy endometriozy?

Praktycznie w każdym wieku. Na ogół pojawiają się w wieku rozrodczym, ale bywają przypadki endometriozy u młodocianych, i to bardzo dokuczliwe. Spotykamy również przypadki objawowej endometriozy u kobiet w okresie pomenopauzalnym.

### Z jakimi objawami zmagają się kobiety?

Jest ich mnóstwo. To choroba wysokoobjawowa, z niesłychanie szeroką paletą objawów, począwszy od ogólnych, jak napięcie przedmiesiączkowe, bóle piersi, migreny, huśtawki nastroju, zmęczenie, bezsenność itd., poprzez te, które nas, ginekologów, najbardziej interesują i też najczęściej skłaniają pacjentkę do poszukiwania pomocy lekarskiej, czyli tzw. cykliczne bóle brzucha związane z występowaniem miesiączki, a także bóle o innym „kalendarzu” występowania, zaburzenia cyklu miesiączkowego, nieregularne, obfite krwawienia miesiączkowe i pozamiesiączkowe, bolesne współżycie.

Problemem, który jest ściśle związany z endometriozą, jest niepłodność. Często szukając przyczyny problemu z zajściem w ciążę, napotykamy endometriozę. Są też objawy ze strony układu pokarmowego, jak biegunka, zaparcia, nudności, wymioty. Niekiedy występują problemy dotyczące układu moczowego, jak częste czy bolesne oddawanie moczu. Pacjentki skarżą się też na obecność krwi w moczu lub w stolcu w przypadku ognisk endometriozy zlokalizowanej w innych narządach niż rozrodcze. Objawów jest więc mnóstwo, bywają bardzo mocno nasilone. Ich konstelacja bywa różna. Najczęstsze są bóle w obrębie miednicy mniejszej, bolesne miesiączkowanie i bolesne stosunki seksualne: ok 34 proc. pacjentek ma taką właśnie konstelację objawów. Mniej niż 10 proc. kobiet, które mają ogniska endometriozy, nie zgłasza żadnych dolegliwości. A zatem ogromna większość pacjentek, u których się rozwija endometrioza, to są kobiety, które z tego powodu cierpią.

### Co może maskować endometrioza?

Ta choroba może się objawić w sposób skłaniający pacjentkę do zgłoszenia się nie do ginekologa, tylko do gastrologa czy urologa lub do lekarza rodzinnego z powodu bólu brzucha. Diagnostyka nie jest łatwa, bo nie mamy markerów, czy to biochemicznych,

# W endometriozie trzeba mieć plan za całe życie

– mówi **PROF. TOMASZ PASZKOWSKI**, kierownik III Katedry i Kliniki Ginekologii Uniwersytetu Medycznego w Lublinie.



czy z zakresu diagnostyki obrazowej, które jednoznacznie powiedzą, że pacjentka ma endometriozę albo jej nie ma. Nawet laparoscopia jako metoda już inwazyjna może w przypadku tzw. endometriozy głębokiej nie odpowiedzieć na pytanie, czy mamy do czynienia z tą chorobą.

Wieloobjawowość powoduje, że diagnostyka bywa trudna. Tu upatrywać trzeba przyczyn smutnej statystyki – od pojawienia się pierwszych objawów do rozpoznania endometriozy upływa średnio 8 lat. To 8 lat „wyrwanych” z dobrego życia, 8 lat zrujnowanej jakości życia, zanim leczenie celowane na endometriozę po postawieniu diagnozy zostanie wdrożone.

### Na endometriozę można mieć „spółżycie”?

Pomysł, plan terapeutyczny na endometriozę trzeba mieć na całe życie pacjentki, bo to nie jest choroba jak wyrostek robaczkowy, że się go wyrzuci „do kosza” i choroby nie ma. Jeżeli tę chorobę rozpoznamy, trzeba mieć plan walki z nią dotyczący całego życia. Najpierw uwolnić pacjentkę od dolegliwości, głównie od bólu, poprawić jakość życia. Przychodzi moment, kiedy walczymy głównie o to, żeby mogła zająć w ciążę. Wycofujemy się wtedy z pewnych leków czy procedur na rzecz takich, które umożliwią jej zajście w ciążę i jej utrzymanie. Potem jest kwestia jakości życia między ciążami. Następnie pojawia się okres zamknięcia prokreacji – wtedy skupiamy się tylko na łagodzeniu dolegliwości i unikaniu, jak tylko się da, powtarzających się zabiegów operacyjnych. U pacjentek z endometriozą są one czasami



konieczne, ale zawsze bardzo trudne, a niekiedy nawet ryzykowne. Szczególnie te powtarzające się. Niestety, nie przynoszą na ogół jakiegos efektu definitywnego, który uwalnia pacjentkę od choroby.

To jest w pewnym sensie choroba nieuleczalna. Trzeba mieć na nią plan, nie na dzisiaj, jutro czy pojutrze, tylko plan na całe życie pacjentki.

### Jaka powinna być ścieżka pacjentki do prawidłowej diagnozy?

Na początek musi odwiedzić lekarza. Najlepiej, żeby to był ginekolog. Czasami

innych chorób. Kiedy leczenie endometriozy jest nieskuteczne, szukamy innych przyczyn bólu. Bywa też nierzadko tak, że mamy wielochorobowość, tj. przyczyną bólu nie jest jedna choroba, tylko kilka. To też nie ułatwia diagnozy i skutecznego leczenia.

### Jakie są współczesne opcje leczenia farmakologicznego endometriozy?

Mamy metody leczenia objawowego (leki przeciwbólowe rozkurczowe), leczenia hormonalnego (tych leków jest wiele) i leczenie operacyjne. „Nawigujemy” między tymi trzema „opcjami”. Nie da się bowiem

w Polsce dostępny jeden lek z tej grupy zawierający jako substancje czynne relugoliki oraz niskie dawki estrogeny i progestagenu.

### Do tej grupy leków należy również linzagolix...

W Europie już jest, na rynku polskim jeszcze go nie ma. To preparat, na który czekamy, bo ten segment powinien się rozwijać. Ważne jest, żebyśmy mieli jak najszerzy dostęp do najnowocześniejszych leków w Polsce. Lek musi być jednak dostępny. Im większy wybór produktu ma lekarz, tym lepiej. Lekarz musi mieć wybór, ale pacjentkę musi też być stać na zakup leku, dlatego jestem gorącym orędownikiem przynajmniej częściowej refundacji nowoczesnych terapii endometriozy. Choroba ta, jej powszechność, uciążliwość i dewastujący wpływ na jakość życia, to jest coś, co bezwzględnie moim zdaniem powinno kwalifikować tego typu nowoczesne terapie do refundacji. Pamiętajmy, że choroba ta dotyczy być może nawet co dziesiątej kobiety.

## Plan terapeutyczny na endometriozę trzeba mieć na całe życie pacjentki, bo to nie jest choroba jak wyrostek robaczkowy, że się go wyrzuci „do kosza” i choroby nie ma. Jeżeli tę chorobę rozpoznamy, trzeba mieć plan walki.

widzę pacjentki, które już odwiedziły wielu różnych lekarzy, wykonując mnóstwo nieprzyjemnych i kosztownych zabiegów i po kilku czy kilkunastu latach trafiają wreszcie do kogoś, kto stawia diagnozę i podejmuje się leczenia. To nie są sytuacje jakieś kazuistyczne. Widzę je, niestety, dosyć często. Opóźnienie w podjęciu leczenia celowanego na chorobę bywa naprawdę wieloletnie.

Jeśli pacjentka, która ma dolegliwości, trafi do ginekologa, mamy szansę wdrożyć odpowiednie działania diagnostyczne, jak najszybciej zacząć leczyć. Jeżeli natomiast nie przychodzi, bo ktoś jej mówi, że z tym bólem trzeba żyć i trzeba sobie radzić lekami bez recepty, to często traci wiele lat. Nierzadko ma objawy niepożądane leków, a choroba postępuje. Gdy trafia do kogoś, kto by miał podjąć leczenie, nierzadko okazuje się, że doszło już do dewastujących zmian w jamie brzusznej, co utrudnia lub wręcz uniemożliwia skuteczne leczenie.

### Z jakimi chorobami można pomylić endometriozę?


Z wieloma. Diagnostyka różnicowa powinna iść w kierunku wielu chorób, począwszy od choroby zrostowej, adenomiozy, mięśniaków macicy, polipów endometrialnych. Trzeba wziąć pod uwagę również zespół jelita drażliwego, chorobę Crohna i wiele

wyleczyć pacjentki samym lekiem przeciwbólowym, samym hormonem czy samą operacją. Musimy często korzystać z tych trzech kierunków postępowania.

Wśród leków hormonalnych mamy cztery grupy. To złożona antykoncepcja hormonalna, na ogół w postaci tabletki, ale też plastra czy pierścienia. Następnie progestageny, czyli jednorodna grupa hormonów i wreszcie tzw. analogi GnRH, czyli analogi hormonu uwalniającego gonadotropinę. Ta grupa dzieli się na agonistów i antagonistów. Stosujemy też inhibitory aromatazy. To jest właściwie klasyczne podejście do leczenia hormonalnego. Często tabletki antykoncepcyjne jest leczeniem pierwszego wyboru w walce z bólem spowodowanym endometriozą.

Najnowocześniejszą grupę leków, najbardziej obiecującą, są antagoniści GnRH. Myślę, że to przyszłość, jeśli chodzi o farmakologiczne leczenie endometriozy. Mamy

### Jak długo można stosować leki?

Nie ma tu sztywnych reguł. Jak wspomniałem – musi być plan skrojony na miarę tzw. personalizowany plan terapeutyczny. To wszystko zależy, jakie pacjentka stawia cele terapeutyczne, jakie ma oczekiwania, jakie są główne jej problemy i objawy itd. Jakie ma plany prokreacyjne, kiedy i jak chce je realizować. Czy była już operowana, czy nie. Czy wymaga w tym momencie leczenia operacyjnego. To wszystko trzeba wziąć pod uwagę, planując rodzaj i czas prowadzenia terapii endometriozy. Bardzo często endometrioza wymaga leczenia długoterminowego. Całkowite wyleczenie z endometriozy w wielu przypadkach jest niemożliwe. My mamy łagodzić objawy albo pomagać osiągać cele stawiane przez pacjentkę, na przykład realizację planów prokreacyjnych. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała ANNA KOPRAS-FIOLEK



### Prof. dr hab. n. med. Tomasz Paszkowski

– specjalista w dziedzinie ginekologii i położnictwa. Kierownik III Kliniki Ginekologii Uniwersytetu Medycznego w Lublinie w Uniwersyteckim Szpitalu Klinicznym nr 4.

# Niewidzialna, niedostrzegana, często nas przerasta

– mówi **PROF. PAWEŁ BASTA**, specjalista ginekologii onkologicznej z Kliniki Ginekologii i Ginekologii Onkologicznej Szpitala Uniwersyteckiego w Krakowie oraz Katedry Ginekologii i Położnictwa Uniwersytetu Jagiellońskiego Collegium Medicum.

## Endometrioza wzbudza wiele emocji w medycynie XXI wieku...

Wciąż nie znamy przyczyn powstawania tej choroby, a lubimy wiedzieć, zwłaszcza my, lekarze, dlaczego coś powstaje, jaka jest przyczyna. Tymczasem całkiem niedawno wyszło na jaw, że najprawdopodobniej wśród dużego odsetka cierpiących kobiet nie potrafiliśmy rozpoznać tej choroby i nadal pewnie nie potrafimy.

W wielu przypadkach ta choroba imituje albo może imitować inne rodzaje schorzeń. Dlatego też tak trudno ją zdiagnozować. Ta choroba często nas przerasta, jeżeli chodzi o nasze możliwości diagnostyczne.

## Czy kobiety chorujące na endometriozę mają w Polsce dobrze zorganizowaną opiekę medyczną?

Niestety, rzeczywistość wygląda tak, że jest to jeden z najbardziej zaniedbanych obszarów opieki zdrowotnej, jeżeli chodzi o systemowe podejście. Świadczy o tym choćby fakt, że najbardziej zaawansowane przypadki endometriozy, które są leczone operacyjnie, bardzo rzadko są kodowane prawidłowo w systemie ICD-10, międzynarodowym systemie kodowania chorób. Najczęściej są notowane jako inne schorzenia narządów objętych chorobą, a rzadko są określane wprost jako endometrioza, czyli numerem N80. Dzieje się tak dlatego, że klasyfikacja procedur medycznych, ICD-9, nie uwzględnia współczesnego, nowoczesnego leczenia chirurgicznego.

Te chore, które chorują na endometriozę, bardzo często są niewidoczne w systemie opieki zdrowotnej. To też budzi bardzo wiele emocji. Swego czasu konsultant krajowy w dziedzinie położnictwa i ginekologii poprosił o wykaz procedur, które szpitalne



oddziały ginekologiczne wykonują z powodu endometriozy. Okazało się, że najwięcej przypadków kodowanych jako endometrioza to zmiany w powłokach i w obrębie przydatków, czyli jajników i jajowodów. Czyli takie, które wg współczesnej wiedzy często nie wymagają w ogóle rozległego, resekcyjnego zabiegu operacyjnego. A te, które są naprawdę ciężkie i poważne, czyli endometrioza układu, przewodu pokarmowego, przewodu moczowego, przepony, układu nerwowego, w ogóle nie są kodowane jako choroba zasadnicza. W ogóle ich nie ma. Te chore nie istnieją. Myślę, że nie ma drugiej takiej sytuacji, żeby choroba, która obejmuje, według ostrożnych szacunków 5-7 proc. populacji kobiet w wieku rozrodczym, nie była widoczna w większości przypadków w systemie opieki zdrowotnej.

## Czy system kształcenia lekarzy, przede wszystkim ginekologów-położników podąża za aktualną wiedzą?

Staramy się jako osoby odpowiedzialne za kształcenie w uczelniach medycznych, w towarzystwach naukowych, które to instytucje współtworzą programy specjalizacji oraz kształcenia podyplomowego, bardzo intensywnie nadrobić pewne istotne zaległości w zrozumieniu tej choroby. Osobiście wygłosiłem kilkadziesiąt wykładów i prelekcji na ten temat na różnych spotkaniach tylko w roku ubiegłym. To świadczy o tym, że jest wola i potrzeba, żeby uaktualnić wiedzę na temat zrozumienia patomechanizmów tej choroby, jej prawidłowego rozpoznawania oraz aktualnych możliwości leczenia dotkniętych nią kobiet.

Jeżeli mnie pani zapyta natomiast, czy

aktualna wiedza lekarzy – mam na myśli przede wszystkim ginekologów-położników i lekarzy innych specjalności – jest zgodna z aktualnym stanem wiedzy na temat tego, co nauka osiągnęła w temacie endometriozy, odpowiem: z pewnością nie. Musi upłynąć pewien czas, zanim zweryfikujemy nasze przyzwyczajenia, nasze standardowe myślenie o tej chorobie, nabyte w trakcie nauki na studiach czy w trakcie specjalizacji, które nie koresponduje już dłużej z tym, czego dowiedzieliśmy się o niej na przestrzeni ostatnich 5-10 lat.

**Endometrioza wpływa na życie kobiet w wielu obszarach. Może powodować różnorodne objawy, co sprawia, że przez każdą kobietę właściwie jest odczuwana indywidualnie. Wspólnym objawem jest dla wielu pacjentek silny, uporczywy ból. Jakie są nowoczesne możliwości zmniejszenia bólu, krwawienia, dyskomfortu w podbrzuszu spowodowanych właśnie endometriozą?**

**Należy upowszechnić dostęp do odpowiedniej diagnostyki endometriozy oraz wiedzę na jej temat. Pewne leki, które stosujemy w farmakoterapii, nie są refundowane. Są bardzo drogie i wiele kobiet nie może sobie na nie pozwolić.**

To jest właśnie chyba największe wyzwanie. Odnoszę się może do takiego prostego przykładu – jesteśmy na tygodniowym wyjeździe, mamy ból zęba, co robimy? Nie mamy stomatologa, do którego chodzimy, więc bierzemy środek przeciwbólowy, jeden, drugi, mocny i jakoś przetrwamy. Jednocześnie umawiamy się na wizytę, aby po powrocie stomatolog pomógł nam pozbyć się bólu, co najczęściej robi szybko i skutecznie. To jest działanie wycelowane w przyczynę powstania problemu. Stomatolog założy lek, zaplombuje dziurę czy w ostateczności wyrwie ząb. W przypadku endometriozy często mamy do czynienia z sytuacją, gdy kobieta stosuje leki przeciwbólowe, ponieważ one w jakimś stopniu uśmierzają ból, ale nie ma skutecznego sposobu, aby w sposób trwały ten ból wyłączyć, nie narażając się przy tej okazji na poważne objawy uboczne leków, które zastosujemy. To trudna sytuacja.

## Endometrioza

może dotyczyć nawet co 10. kobietę w wieku rozrodczym. To przewlekła choroba o podłożu hormonalnym (estrogenozależna), która charakteryzuje się tym, że komórki błony śluzowej macicy, tzw. endometrium, pojawiają się poza jej naturalnym miejscem występowania, czyli poza jamą macicy. Niezależnie od miejsca, w którym się znajdują, komórki te reagują na zmiany hormonalne zachodzące naturalnie podczas cyklu menstruacyjnego, co w rezultacie prowadzi m.in. do wytworzenia się stanów zapalnych.

Endometrioza jest chorobą zależną od działania hormonów płciowych, przede wszystkim estrogenów. One ją jakby „napędzają”. Jednocześnie u podłoża tej choroby, którą można z pewnością w wielu przypadkach zaliczyć do grona schorzeń autoimmunologicznych, leży przewlekły proces zapalny. Stąd trzeba mieć świadomość, że leki, które będziemy stosować, aby zmniejszyć czy „wyłączyć” całkowicie działanie estrogenów, będą powodować

**Jakie kluczowe potrzeby zmian w systemie organizacji opieki nad pacjentkami z endometriozą dostrzega pan profesor w obszarze leczenia chirurgicznego, farmakologicznego i w innych obszarach opieki nad pacjentką?**

Przede wszystkim, aby zmiany systemowe przyniosły konkretny skutek w postaci poprawy komfortu życia kobiet względem dolegliwości bólowych, jak i poprawy leczenia niepłodności, musi to być proces kompleksowy. Nie możemy skoncentrować się tylko i wyłącznie na poprawie dostępności do leczenia chirurgicznego czy do farmakoterapii, nie biorąc pod uwagę bardzo dużych deficytów w zakresie diagnostyki. Problem należy potraktować holistycznie. Należy upowszechnić dostęp do odpowiedniej diagnostyki endometriozy oraz wiedzę na jej temat. Pewne leki, które stosujemy w farmakoterapii, nie są refundowane. Są bardzo drogie i wiele kobiet nie może sobie na nie pozwolić.

dyskomfort w innych obszarach życia. Będą powodować zaburzenia nastroju, zaburzenia metaboliczne, prowadzić do wystąpienia objawów wypadowych. Wśród znaczącej grupy kobiet, które chcą zająć w ciąży, sprawią, że nie będzie to możliwe. Leki, które mamy do dyspozycji, mimo że teoretycznie działają na przyczynę, czyli na wydzielanie hormonów, mają jednak bardzo dużo objawów ubocznych. To sprawia, że po pewnym czasie wiele kobiet po prostu rezygnuje z tej terapii.

Trzeci obszar to chirurgia, która jest absolutnie niedoszacowana, niedofinansowana, jeżeli chodzi o najbardziej zaawansowane przypadki. Oczywiście, to wymaga wsparcia finansowego, ale też pewnej centralizacji. Te zabiegi są skomplikowane i obciążone dużym ryzykiem powikłań. Muszą być ośrodki, które wykonują tych zabiegów dużo, regularnie. I według określonych standardów, żeby nie okazało się, że bardzo duży odsetek kobiet jest okaleczonych.



## Dr hab. n. med. Paweł Basta

– specjalista ginekologii onkologicznej z Kliniki Ginekologii i Ginekologii Onkologicznej Szpitala Uniwersyteckiego w Krakowie oraz Katedry Ginekologii i Położnictwa Uniwersytetu Jagiellońskiego Collegium Medicum.



Te trzy elementy muszą być równolegle wzięte pod uwagę. A jednocześnie nie należy zapominać, że jest to choroba, która powoduje ogromne problemy w zakresie życia społecznego, psychicznego, zawodowego. Stąd ważne jest także wsparcie psychologiczne, dietetyczne, fizjoterapeutyczne. Istotne jest, aby to wszystko było rozwijane w sposób bardzo symetryczny.

### **Wspomniał pan profesor o lekach. Jedną ze skutecznych terapii jest pierwszy antagonistą GnRH w skojarzeniu z hormonalną terapią uzupełniającą...**


Lek należy do bardzo nowoczesnej grupy środków farmakologicznych, które nazywamy antagonistami hormonów gonadotropowych. Jako substancja aktywna występuje relugoliks. Jest to nowoczesny preparat, który na pewno w części kobiet może być i jest bardzo skuteczny.

### **Czy jest w Polsce refundowany? Jak wygląda dostęp do tej terapii na tle Europy?**

Preparat, o którym mówimy, nie jest w Polsce refundowany w takim wskazaniu, jak endometrioza. Jest refundowany jedynie w terapii mięśniaków macicy. Jeżeli chodzi inne kraje Europy, to jest on refundowany w 14 krajach w leczeniu endometriozy. Oczywiście, chcielibyśmy mieć też dostęp do tej terapii dla pacjentek w Polsce.

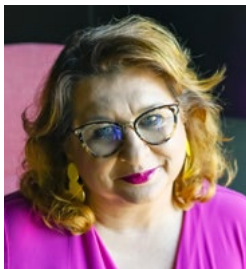
Aktualnie mamy dostępnych kilka innych substancji aktywnych z tej grupy leków, jednak szeroki dostęp do różnych opcji jest ważny, gdyż czasem jedna substancja nie jest dobrze tolerowana przez kobietę, a inna już tak.

### **Co powinno się zmienić, by poprawiła się sytuacja, jeśli chodzi o rozpoznawanie i leczenie endometriozy?**

Dla mnie bardzo istotne jest, żeby ta choroba znalazła się w systemie kształcenia nie tylko ginekologów-położników, ale również, nawet w jakiejś ograniczonej formie, lekarzy innych specjalności. Schorzenie to rozwija się bowiem w obrębie wiele organów. Wiedza lekarzy rodzinnych, gastroenterologów, reumatologów, ortopedów, chirurgów ogólnych, urologów na ten temat jest bardzo istotna. Ważne jest, żeby mieli świadomość, że taka choroba istnieje oraz że może prezentować niespecyficzne objawy, często sugerujące schorzenia z zakresu kręgu zainteresowań tych specjalności. To też bardzo poprawi i skróci ścieżkę od wystąpienia objawów do rozpoznania. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **ANNA KOPRAS-FIJOŁEK**



### **OKIEM PACJENTKI:**

## **Trzeba ratować kobiety, żeby żyła bez bólu, mogła zajść w ciążę**

**Lucyna Jaworska-Wojtas, prezes Fundacji „Pokonać Endometriozę”:**

Kobiety chore na endometriozę w Polsce potrzebują przede wszystkim zaopiekowania się nimi. W systemie leczenia nie ma opieki specjalistycznej nad kobietą chorą na endometriozę. Potrzebują ścieżki pacjenta, wyceny świadczeń oraz powołania centrów diagnozy i leczenia endometriozy. Holistycznej, całościowej opieki przez państwo.

To są młode kobiety, które jeszcze mają przed sobą wiele lat życia z chorobą i nie wiadomo, ile razy ona powróci. Trzeba ratować kobietę, żeby ona żyła bez bólu. Ratować też to, żeby miała możliwość zajścia w ciążę.

Dlaczego cały koszt leczenia i fizjoterapii, holistycznego podejścia do siebie, musi pokrywać pacjentka ze swoich pieniędzy? W tej chwili tak właśnie jest – chore na endometriozę ponoszą praktycznie każdy koszt każdej części leczenia. I ginekologa – to musi być prywatny specjalista – i eksperckiego badania USG. Normalnie kobieta idzie do ginekologa, wydaje 250-350 zł na wizytę, jeśli jest prywatna. My płacimy 700 zł. Eksperckie badanie USG czasem jest wyliczone w cenę, czasami to dodatkowo 350 zł. Jeżeli taka kobieta potrzebuje leków, również musi za nie płacić. Natomiast jeżeli idzie na operację w prywatnej klinice, musi zapłacić za operację od 30-50 tysięcy do 120 tysięcy.

Chciałabym, by AOTMiT zrozumiał, że to nie jest wycięcie woreczka żółciowego albo wyrostka, gdzie się wyceni operację na 2-3 tys. zł. Nawet wyceny raka prostaty są o wiele większe. Wyceny onkologiczne są bardzo duże, a przecież zmiany onkologiczne są o wiele łatwiejsze do wycięcia.

My chcemy, żeby procedury były jasne, wyodrębnione dla endometriozy – operacja endometriozy głębokonaciekającej, w której było potrzebne wycięcie kawałka jelita, kawałka zmiany na pęcherzu czy wycięcie nerki. Operacja endometriozy jest multidyscyplinarna, musi być zrobiona na wielu narządach jednocześnie i precyzyjnie wykonana. Tak, żeby choroba nie miała szansy powrotu.

Ja jestem żywym świadectwem ciężkiej postaci endometriozy. Choruję od 12. roku życia. Od małej dziewczynki, poprzez dziewczynę, dorastającą kobietę. Praktycznie – całe życie. Miałam w tym czasie 17 operacji. Ta choroba cały czas gdzieś krąży, cały czas daje znaki.

Moim marzeniem jest, by powstały ośrodki – centra diagnozy i leczenia endometriozy. Będę walczyła o dziewczynki, o ginekologię dziewcząt, o zaopiekowanie się dziewczyną od pierwszego okresu. Żeby lekarze mieli większą wiedzę na ten temat, żeby była w Polsce edukacja na temat endometriozy. Żeby żadna dziewczyna się nie wstydziła mówić, że ją boli, że jest chora. Żeby od razu szła do eksperta i była dobrze zdiagnozowana i zaopiekowana.

Musi w końcu nastąpić przełom. Endometrioza musi wejść do systemu. To jest bardzo ważne i właśnie w tym momencie – prezydencji Polski w Unii Europejskiej.

Jestem pełna nadziei, bo dopinamy z Ministerstwem Zdrowia wejście do systemu endometriozy. Mam nadzieję, że w czerwcu 2025 r., na moje imieniny, ogłoszę tą radosną wieść i to będzie mój dzień zwycięstwa.

**Dlaczego w diagnostyce onkologicznej badania genetyczne, a w szczególności badanie kompleksowego profilowania genomowego (CGP) wykonywanego metodą wysokoprzepustowego sekwencjonowania następnej generacji (NGS), są tak ważne?**

Badania CGP (ang. Comprehensive Genomic Profiling) są wykonywane w technologii sekwencjonowania następnej generacji. To badania wielkoskalowe, czyli o znacznie większym zakresie i skali niż te, które były wykonywane do tej pory w onkologii w technologii NGS, i znacznie większe niż te, które są obecnie finansowane przez NFZ.

Zwiększenie skali badań genetycznych jest niezbędne w związku z coraz większą dostępnością terapii ukierunkowanych molekularnie i koniecznością sprawdzania nie tylko odpowiedzi na leczenie, ale też metabolizowania leków, cytotoksyczności, a także wielu czynników związanych z nowotworami dziedzicznymi i chorobami współtowarzyszącymi. W tej chwili badania CGP nie są finansowane przez NFZ.

**W jakich nowotworach przyniosłoby szczególne korzyści pacjentom?**

W nowotworach, w których terapii celowanych jest najwięcej, istnieje potrzeba wykonywania badań wielkoskalowych. Chodzi przede wszystkim o raka płuca i jajnika. W nowotworach płuca – dlatego że tu jest najwięcej celów molekularnych, różnego rodzaju klas zaburzeń genetycznych, które trzeba zbadać. Natomiast w raku jajnika – poza oceną genów *BRCA1*, *BRCA2* – trzeba zbadać sygnaturę genomową HRD (ang. Homologous recombination deficiency – deficyt rekombinacji homologicznej); inaczej mówiąc, tzw. skazę genetyczną. W całym genomie komórek nowotworowych szukamy zaburzeń genetycznych, które powstały na skutek nieprawidłowo działającego systemu naprawy DNA. Do zidentyfikowania takich zaburzeń konieczne jest badanie wielkoskalowe NGS, takie jak CGP NGS.

**Jakich pacjentek to dotyczy?**

W Polsce takie badanie powinno być wykonane u około 3 tys. pacjentek z rakiem jajnika. Połowa pacjentek, u których nie identyfikuje się zmian w genach *BRCA1*, *BRCA2*, ma szansę otrzymać leczenie po zbadaniu i identyfikacji deficytu rekombinacji homologicznej (HRD). Badanie CGP NGS



## Czekamy na możliwość wykonywania CGP

– mówi **DR N. MED. ANDRZEJ TYSAROWSKI**, koordynator ds. wytycznych diagnostyki molekularnej w ramach Narodowej Strategii Onkologicznej, prezes Polskiej Koalicji Medycyny Personalizowanej – Stowarzyszenie.

jest w tym nowotworze wskazane, bo identyfikuje bardzo dużą grupę pacjentek, które mogłyby odnieść korzyść terapeutyczną (około 50 proc. pacjentek, u których nie zidentyfikowano mutacji w genach *BRCA1/2*).

To badanie nie jest finansowane. Mamy więc paradoks: program lekowy wprowadzony przez Ministerstwo Zdrowia mówi: „zrobmy badanie w kierunku HRD, żeby pacjentka dostała leczenie celowane”, ale jednocześnie przez publicznego płatnika (NFZ) nie zostały zapewnione środki finansowe na pokrycie kosztów takiego badania.

**A jakie korzyści z badań CGP NGS mogliby odnieść chorzy na raka płuca?**

Obecnie finansowane badania genetyczne w raku płuca umożliwiają identyfikację najistotniejszych celów terapeutycznych w programach lekowych. Nie uwzględniają jednak dynamiki zmian i kolejnych celów terapeutycznych. Prowadzonych jest wiele

badan klinicznych, które wskazują jeszcze więcej celów molekularnych. W przypadku raka płuca te markery z badań klinicznych przechodzą do programów lekowych. Tak więc to dobry moment, żeby wprowadzić diagnostykę za pomocą badania CGP NGS, bo za chwilę klasyczny panel badań genetycznych, finansowanych przez NFZ, nie obejmie już wszystkich celów terapeutycznych, które będą wymagane w programach lekowych.

W obecnym systemie refundacji nie uwzględniono sytuacji, kiedy w raku płuca nie ma materiału tkankowego pacjenta do badań albo jest go bardzo mało. Wówczas trzeba wykonać szerokie badanie CGP NGS na materiale z płynnej biopsji. Zapowiedziane wprowadzenie refundacji badań z zakresu CGP umożliwi wykonanie badania genetycznego NGS z płynnej biopsji.

W raku płuca jest też ważne, by jednocześnie, z jednej porcji materiału, wykonać pełny profil genetyczny guza, bo jeśli będzie-

my wykonywać testami jednogenowymi te badania, to nie wystarczy nam materiału tkankowego. To jest dodatkowa istotna rola wielkoskalowych badań CGP NGS.

A przede wszystkim: w raku płuca wykonanie szerokiego spektrum badania genetycznego bardzo przyspiesza diagnostykę i decyzje terapeutyczne. To niezwykle istotny aspekt. Dzięki CGP możemy badać m.in. np. geny związane z opornością na immunoterapię, czyli brakiem wrażliwości na nią.

### **Płynna biopsja w diagnostyce nowotworów płuca nie jest refundowana?**

Obecnie nie można sfinansować badania z materiału świeżego, czyli krwi obwodowej, w nowotworach dziedzicznych, nowotworach piersi czy trzustki, a także w raku płuca i raku prostaty w ramach ambulatorium. Konieczna jest kosztowna, zazwyczaj zbędna, hospitalizacja pacjenta, aby zlecić i zrefundować te badania. Wielu pacjentów w trakcie leczenia nie wymaga hospitalizacji, wyjątek stanowią sytuacje np. wykonania zabiegu operacyjnego.

Płynna biopsja jest nowoczesnym, innowacyjnym badaniem, które w wielu sytuacjach daje dostęp do leczenia celowanego w przypadku braku materiału tkankowego i pozwala poszerzyć leczenie o identyfikację mutacji wtórnych, zmieniać terapię pod aktualny profil nowotworu. Jest niezastąpionym materiałem do monitorowania efektów leczenia.

### **Jakie korzyści dla pacjenta i systemu miałyby wykonywanie ambulatoryjnie płynnej biopsji?**

To przede wszystkim znaczna oszczędność kosztowa i czasowa. Nie ma potrzeby przyjmować pacjenta do szpitala tylko w celu pobrania mu krwi obwodowej na badanie genetyczne. Obecny system finansowania badań genetycznych w ramach umowy „leczenie szpitalne” nie umożliwia sfinansowania badania genetycznego w przypadku konieczności zmiany decyzji terapeutycznej z materiału świeżego, czyli np. krwi obwodowej. Możliwe jest to tylko w przypadku zlecenia badania genetycznego z materiału archiwalnego, jakim jest bloczek parafinowy. Usunięcie tej bariery systemowej pozwoliłoby na zlecenie badań genetycznych w przypadku nowotworów piersi i trzustki z krwi obwodowej, co znacząco usprawniłoby dostęp do leczenia

w tych nowotworach, odciążąłoby poradnie genetyczne, a także znacząco przyczyniło się do profilaktyki przeciwnowotworowej. W przypadku nowotworów takich jak rak płuca czy prostaty rozwiązałyby problem badań genetycznych wykonywanych z płynnej biopsji w przypadku braku dostępności do materiału tkankowego, a także dałoby

### **Czy badania CGP w krajach Europy są standardem diagnostycznym?**

Tak, w wybranych nowotworach, m.in. w raku jajnika i raku płuca, te wielkoskalowe badania genetyczne CGP NGS są już standardem w kilku krajach Europy. Badania CGP NGS powinny być już także u nas standardem choćby w wyżej wska-


## **Płynna biopsja jest niezwykle efektywna. Jest badaniem, które daje dostęp do leczenia celowanego w przypadku braku materiału tkankowego.**

możliwość monitorowania profilu genetycznego pacjentów leczonych terapiami ukierunkowanymi molekularnie.

Obecnie jedyną możliwością sfinansowania badania genetycznego z materiału świeżego dają tzw. świadczenia oddzielnie kontraktowane (ŚOK). Są one kontraktowane jedynie w nielicznych ośrodkach posiadających poradnie genetyczne, a refundacja badania nie pokrywa kosztów testów wielogenowych wykonywanych w technologii NGS. Finansowane są tylko testy jednogenowe. Daje to możliwość finansowania testów jednogenowych z płynnej biopsji w przypadku pojedynczych markerów genetycznych, jak *KRAS*, *BRAF* i *EGFR*. Umożliwia to wykonanie np. badania genetycznego w przypadku chorych z niedrobnokomórkowym rakiem płuca (NDRP), którzy nie mieli zidentyfikowanego zaburzenia w genach *EGFR*, *ALK*, *ROS1* i otrzymali w 1 linii leczenia immunoterapię i/lub chemioterapię, a nie mieli przed 1 linią oznaczanej obecności mutacji G12C w genie *KRAS*. W takim przypadku należałoby jak najszybciej wykonać badanie mutacji *KRAS* G12C np. z płynnej biopsji – zanim dojdzie u nich do progresji podczas obecnej linii leczenia, po to, aby mieć pewność, czy mogą skorzystać z dostępnego od 2 linii leczenia refundowanego inhibitora *KRAS* G12C.

zanych nowotworach. Na pierwszy rzut oka są kosztowne (wycenia się je na 8 tys. zł), jednak w porównaniu do kosztu całego procesu leczenia, który opiewa na kilkadziesiąt lub kilkaset tysięcy złotych, nie wydaje się już tak drogie, bo uzyskujemy pełną informację genetyczną pacjenta onkologicznego. Można powiedzieć, że wykonanie takiego badania na początku leczenia jest pewnego rodzaju oszczędnością w określonych sytuacjach klinicznych. Już na początku daje informację o rodzaju nowotworu i o wielu istotnych aspektach genetycznych.

### **Ministerstwo Zdrowia zapowiedziało wprowadzenie refundacji badań CGP NGS w nowotworach jajnika i płuca. Na jakim etapie są prace?**

Prace są zaawansowane, to już ostatnia prosta, ostatnie stadium wprowadzenia tego projektu. Jesteśmy na etapie opiniowania warunków przeprowadzania tego badania i wskazania wytycznych diagnostyczno-terapeutycznych. Z niecierpliwością oczekujemy realizacji obietnic resortu zdrowia co do ich wprowadzenia wiosną tego roku. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **DOROTA BARDZIŃSKA**



### **Dr n. med. Andrzej Tysarowski**

– prezes Polskiej Koalicji Medycyny Personalizowanej  
– Stowarzyszenie. Jest koordynatorem ds. wytycznych diagnostyki molekularnej w ramach Narodowej Strategii Onkologicznej.



# Możemy zwiększyć szanse na wyleczenie

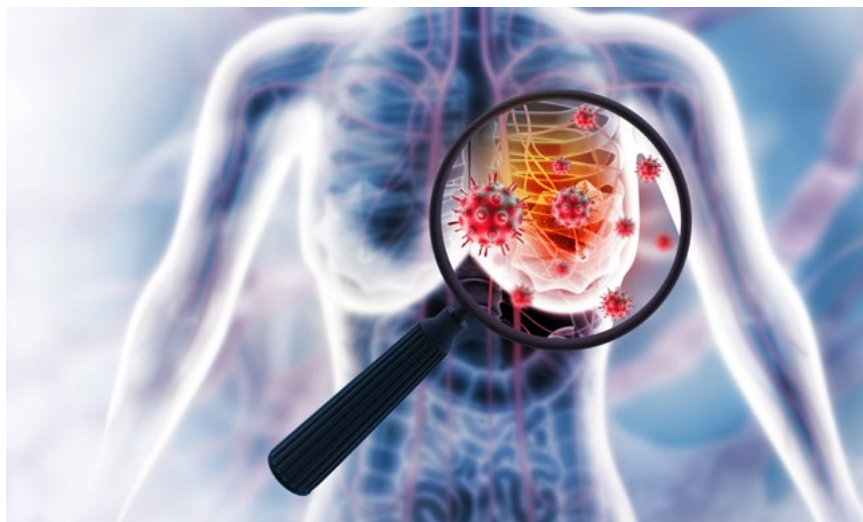
Rozmowa z **PROF. BARBARĄ RADECKĄ**, ordynator Kliniki Onkologii Opolskiego Centrum Onkologii im. prof. Tadeusza Koszarowskiego w Opolu i Uniwersytetu Opolskiego.

**Rak piersi to najczęściej występujący nowotwór u kobiet i druga najczęstsza przyczyna zgonów nowotworowych u kobiet. Chcemy, by każdy nowotwór wykrywać możliwie jak najwcześniej. Ale rokowanie zależy nie tylko od stopnia zaawansowania, ale również od podtypu tego nowotworu?**

Tak, to prawda. Wymieniła Pani dwa zasadnicze aspekty mające wpływ na rokowanie: to tzw. aspekt ilościowy i jakościowy raka piersi.

Aspekt ilościowy oznacza zaawansowanie choroby w chwili jej rozpoznania. To, czy choroba jest rozpoznana w stadium wczesnym, zaawansowanym, czy też w stadium przerzutów do innych narządów, ma kluczowe znaczenie dla rokowania. Ta zasada dotyczy wszystkich nowotworów. Mówiąc obrazowo – zawsze lepiej jest mieć „mniej raka” niż „więcej raka”.

Aspekt jakościowy to podtyp raka. Doskonale wiemy, że rak piersi jest chorobą niejednorodną. Na etapie diagnostyki, kiedy zostaje pobrany fragment tkanki guza (w drodze biopsji gruboigłowej lub biopsji otwartej), w pierwszej kolejności patomorfolog – lekarz oglądający pod mikroskopem preparat przygotowany z tej tkanki – ustala, czy mamy do czynienia z rakiem. Jeśli tak,



to automatycznie oznacza się tak zwane biomarkery, które pozwalają nam zaszerzować raka do określonego podtypu. Dzisiaj są to cztery biomarkery, stanowiące standard: receptory estrogenowe, receptory progesteronowe, receptory HER2 i tak zwane białko proliferacji Ki-67, czyli wskaźnik mówiący nam o tym, jak szybko w danym guzie mnożą się komórki.

Oznaczenie tych biomarkerów umożliwia nam zdefiniowanie podtypu raka

piersi. Są to: rak luminalny (zwany potocznie hormonozależnym, aczkolwiek jest to określenie nieprecyzyjne i czasami mylące), rak HER2 dodatni oraz rak potrójnie ujemny.

## Te podtypy różnią się rokowaniem?

Tak; ale nie tylko rokowaniem – podtyp raka ma wpływ na dobór leczenia. Należy też podkreślić, że ten przytoczony przeze mnie prosty podział nie wyczerpuje różnorodności raka piersi. Już dziś wiemy, że pojawiają się nowe biomarkery, które będą zmuszały nas do bardziej dokładnego podziału nowotworów.

Im dłużej przyglądamy się tym podziałom, tym bardziej rozumiemy, że heterogenność w nowotworach jest dużo większa niż wszelkie podziały, które potrafimy w medycynie stworzyć, nawet wiedząc coraz więcej o nowotworach.

**Najczęściej diagnozowanym podtypem raka jest hormonozależny HER2**

## Przesiewowa mammografia

Każda kobieta w wieku 45–74 lat może wykonać bezpłatnie badanie profilaktyczne przesiewowe (bez skierowania). Wykonanie badania jest zalecane co 2 lata.

W przypadku wysokiego ryzyka zachorowania, badanie może być wykonywane częściej (decyduje lekarz). Do ginekologa kobieta powinna się również zgłosić jak najszybciej, jeśli zauważy niepokojące zmiany, jak: zmiana wielkości i kształtu piersi, która nie ustąpiła po miesiączce; guzki lub zgrubienia wyczuwalne w piersi lub pod pachą, zmiana koloru skóry piersi, wciąganie skóry piersi, pomarszczenie lub łuszczenie skóry piersi, zmiany w obrębie brodawki.

## ujemny rak piersi. Jak wygląda rokowanie pacjentek, u których ten nowotwór został wcześniej wykryty? Walczymy o wyleczenie?

Zawsze w przypadku wykrycia raka na wczesnym etapie prowadzimy leczenie radykalne, czyli takie, którego celem jest wyleczenie. Zamierzamy uchronić pacjentkę przed nawrotem choroby i przedwczesnym zgonem. Mówiąc nieco bardziej obrazowo, chodzi nam o to, aby choroba nowotworowa nie skróciła ludzkiego życia.

rapii. Niestety te testy nie są jeszcze objęte w Polsce refundacją.

U pacjentek z wysokim ryzykiem nawrotu staramy się zastosować możliwie szerokie pierwotne leczenie radykalne, aby ryzyko nawrotu zminimalizować.


**Ryzyko wznowy choroby wiąże się nie tylko z ryzykiem zgonu, ale też z koniecznością leczenia choroby przewlekłej, zaawansowanej? Nie mówiąc już osferze psychiki pacjentek ze wznową?**

są nosicielkami mutacji genów BRCA1/2 możemy zastosować w razie wysokiego ryzyka nawrotu lek molekularny olaparab, który jest dostępny w programie lekowym.

Oczekujemy również na refundację cyklibów w przypadku wczesnego raka piersi w przypadku pacjentek z dużym ryzykiem nawrotu. Cykliby to leki, które obecnie są refundowane w leczeniu choroby zaawansowanej. Bardzo wartościowe byłoby stosowanie tych leków w leczeniu radykalnym, u pacjentek z wysokim ryzykiem nawrotu. Te leki mogą bowiem zmniejszyć ryzyko nawrotu o kilka punktów procentowych. Oznacza to zatem poprawę rokowania.

Obecnie w tym wskazaniu zarejestrowane są dwa takie leki: abemacyklib i rybocyklib. Pierwszy z nich jest w trakcie procesu refundacyjnego; w odniesieniu do drugiego taki proces prawdopodobnie niebawem się rozpocznie. Są to leki doustne. Jeśli chodzi o abemacyklib, to lek stosuje się przez dwa lata (oczywiście mówimy tu o sytuacji pacjentek z wczesnym rakiem piersi i wysokim ryzykiem nawrotu choroby). W przypadku rybacyklibu lek stosuje się przez trzy lata. Liczymy na te zmiany, będzie to kolejna „cegiełka”, która przyczyni się, że kolejne pacjentki nie będą miały nawrotu choroby, zostaną wyleczone.

Oczekujemy także refundacji wspomnianych testów wielogenowych, gdyż mogą one pomóc w identyfikowaniu chorych na raka luminalnego HER2-dodatniego, by podjąć decyzję, jakie leczenie zastosować oraz czy pacjentka odniesie korzyść z zastosowania chemioterapii.

Staramy się robić wszystko, by poprawić rokowanie pacjentek z rakiem piersi. Najważniejsze jest jednak to, żeby nowotwór wcześniej rozpoznać. Badajmy piersi co miesiąc (samobadanie) i zgłaszajmy się profilaktycznie na badania mammograficzne. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **KATARZYNA PINKOSZ**

## Oczekujemy również na refundację cyklibów w przypadku wczesnego raka piersi w przypadku pacjentek z dużym ryzykiem nawrotu.

Ta zasada dotyczy wszystkich nowotworów złośliwych i oczywiście wszystkich podtypów raka piersi, w tym raka luminalnego HER2 ujemnego.

### U jak dużej części pacjentek z tym podtypem nowotworu dochodzi do wznowy choroby i przerzutów?

W raku luminalnym HER2 ujemnym nawrotu choroby doświadcza ok. 1/3 pacjentek. Należy jednak podkreślić, że ryzyko nawrotu jest bardzo zróżnicowane i zależy od wyjściowego zaawansowania, a konkretnie – od wielkości guza w piersi oraz ewentualnej obecności przerzutów w pachowych węzłach chłonnych. Są pacjentki o bardzo dobrym rokowaniu (guzek o średnicy nieprzekraczającej 2 cm, pachowe węzły chłonne bez przerzutów), u których ryzyko nawrotu wynosi kilka procent. Są też pacjentki o wysokim, sięgającym nawet 50 proc. ryzyku nawrotu (przerzuty w kilku, a nawet kilkunastu pachowych węzłach chłonnych).

Znaczenie rokownicze ma także ekspresja określonych genów związanych w ryzykiem progresji choroby.

W ostatnich latach wprowadzono testy wielogenowe, dzięki którym możemy stwierdzić, czy w komórkach danego guza są obecne takie geny. Dla klinicystów testy te są dodatkowym narzędziem, które pozwala lepiej stratyfikować pacjentki pod względem ryzyka nawrotu; podjąć decyzję, jakie leczenie zastosować, czy pacjentka odniesie korzyść z zastosowania chemiote-

Nawrót choroby nowotworowej to zawsze bardzo niekorzystny zwrot w życiu pacjentek. Nawroty nie zawsze dobrze poddają się leczeniu, a z czasem choroba staje się oporna na znane medycznie sposoby leczenia. Dlatego warto stosować optymalne pierwotne leczenie, aby uchronić pacjentki przed nawrotem choroby.

Najbardziej rozbudowane algorytmy leczenia obejmują stosowanie różnych metod – hormonoterapii, chemioterapii, nowych leków molekularnie ukierunkowanych. Takie leczenie daje największe szanse, wiąże się także z działaniami niepożądanymi. Co więcej, leczenie takie wydłuża się w czasie. Obecnie u wielu pacjentek planujemy leczenie trwające nawet 10 lat.

**Jakie dziś widzi Pani niezaspokojone potrzeby we wczesnym, hormonozależnym (HR+) HER2 ujemnym raku piersi? Co można poprawić, by dać jak największe szanse na wyleczenie, zmniejszyć ryzyko nawrotu choroby?**

Obecnie mamy szeroki dostęp do hormonoterapii oraz chemioterapii. U kobiet, które



### Dr hab. n. med. Barbara Radecka

– internista, specjalista onkologii klinicznej, specjalista chemioterapii nowotworów, ordynator Oddziału Kliniki Onkologii z Odcinkiem Dziennym Opolskiego Centrum Onkologii w Opolu.

# Ważna jest jakość życia

Rozmowa z **ANNA KUPIECKA**, prezes Fundacji OnkoCafe – Razem Lepiej.

## Jakie są największe bariery w dostępie do badań przesiewowych w kierunku raka piersi i co można zrobić, aby je zniwelować?

Jednym z głównych wyzwań w realizacji programu przesiewowej mammografii w Polsce jest brak skutecznej komunikacji. Informacje o programie często nie docierają do kobiet. Wiele kobiet utożsamia mammografię z badaniami wykonywanymi w mammobusach. Nasze badania potwierdzają, że takie przekonanie jest powszechne. Dodatkowo w społeczeństwie funkcjonuje wiele mitów – na przykład, że potrzebne jest skierowanie od lekarza lub że na mammografię czeka się miesiącami. Niska wiara w sprawność systemu opieki zdrowotnej przenosi się na programy przesiewowe, osłabiając zaufanie i poczucie dostępności badań. Wiele kobiet nie wie, że mogą zgłosić się bezpośrednio do placówki stacjonarnej realizującej program, często blisko miejsca zamieszkania, i umówić się na badanie w ciągu kilku dni. Sytuacja wygląda inaczej w przypadku kobiet z małych miejscowości, oddalonych od dużych ośrodków, jednak to właśnie dla nich przewidziane są mammobusy. Te mobilne pracownie regularnie odwiedzają lokalne społeczności, a ich trasy i harmonogramy można z łatwością sprawdzić online – w wyszukiwarce dostępnej od kilku lat. Wystarczy również skontaktować się z realizatorem programu, aby dowiedzieć się, kiedy mammobus pojawi się w danym regionie i zapisać się na badanie.

Kobiety często nie wiedzą też, w jakim wieku kwalifikują się do bezpłatnej mammografii. Niektórym wydaje się, że muszą mieć objawy, aby skorzystać z badania, podczas gdy programy przesiewowe są właśnie dla osób zdrowych. Kluczowe jest, aby te informacje docierały do kobiet w sposób przystępny i zrozumiały.

## Jak skutecznie zwiększać świadomość?

Na 1 lutego 2025 r. zgłaszalność do programu przesiewowej mammografii wynosi zaledwie 31,61 proc. – wynika z danych

NFZ. Sytuacja ta wymaga pilnego podjęcia skutecznych działań. Kluczowe wydaje się kontynuowanie kampanii edukacyjnych, ale z naciskiem na bardziej indywidualne, spersonalizowane podejście do pacjentek – na przykład poprzez wysyłanie przypomnień SMS, powiadomień w Internetowym Koncie Pacjenta (IKP) czy wiadomości e-mail. Takie rozwiązania były już testowane, jednak te działania należy zintensyfikować, zwłaszcza że zakres wieku kwalifikującego się do badań został niedawno rozszerzony. Obecnie program obejmuje kobiety od 45. do 74. roku życia. Równie istotne byłoby zaangażowanie lekarzy podstawowej opieki zdrowotnej i pielęgniarek, którzy podczas wizyt, nawet niezwiązanych z profilaktyką raka piersi, przypominaliby pacjentkom o badaniach przesiewowych i wskazywali konkretne placówki realizujące program.

Podobne podejście powinno funkcjonować również w medycynie pracy. Lekarze, wystawiając zaświadczenia o zdolności do pracy, mogliby rekomendować skorzystanie z programu, wręczając materiały edukacyjne

kobieta może umówić się na badanie nawet na następny dzień.

Jednym z kluczowych problemów jest zbyt długa i skomplikowana ścieżka diagnostyczna. Kobiety często nie wiedzą, gdzie i jak szybko wykonać niezbędne badania. Przykładowo, pacjentka, która wyczuje guz, powinna od razu trafić do specjalistycznej poradni chorób sutka, gdzie mogłaby przejść kompleksową diagnostykę (USG, mammografia) w jednym miejscu. Niestety, wiele kobiet błądzi po systemie, nieświadomych istnienia kart DiLO czy specjalistycznych ośrodków, takich jak Breast Cancer Units, które oferują kompleksową opiekę.

Kolejnym wyzwaniem jest diagnostyka molekularna i genetyczna. Choć niektóre badania, jak mutacje BRCA1/BRCA2, są refundowane, to brakuje powszechnego dostępu do szerokiego profilowania genomowego (CGP), które pozwala precyzyjnie dostosować terapię do potrzeb pacjentki.

Jeśli chodzi o samo leczenie, Polska ma dobrze rozwinięty program lekowy, oferujący dostęp do nowoczesnych terapii.

## Podskórne formy podania leków dają pacjentce poczucie, że to nie jest tradycyjna chemioterapia. Kobieta nie musi spędzać wielu godzin pod kroplówką.

lub ulotki. Kluczowa jest jednak rozmowa, która rozwiałaby wątpliwości i pokazała, jak łatwo znaleźć najbliższą placówkę wykonującą badania. Takie połączenie szeroko zakrojonej kampanii informacyjnej z bezpośrednim kontaktem z pacjentkami może realnie zwiększyć zgłaszalność i poprawić skuteczność profilaktyki raka piersi w Polsce.

## Czy programy badań przesiewowych są wystarczająco dostępne i co można zrobić, aby więcej kobiet z nich skorzystało?

Programy badań przesiewowych są obecnie dość dostępne. Placówki i mammobusy często mają wolne terminy, a w Warszawie

Jednak wciąż istnieją obszary wymagające poprawy, szczególnie w kontekście jakości życia pacjentek. Nowoczesne formy podania leków, jak tabletki czy zastrzyki podskórne, które można przyjmować w domu, znacząco poprawiają komfort życia. Niestety, choć jeden lek podskórny jest refundowany, inne wciąż nie są dostępne w ramach refundacji, co ogranicza możliwości terapeutyczne.

## Jakie działania są potrzebne, aby poprawić jakość życia pacjentek z rakiem piersi na różnych etapach choroby?

Można wymienić szereg działań, które mogą poprawić jakość opieki onkologicznej. Jednym z nich jest upowszechnienie terapii





podskórnych oraz optymalizacja organizacji leczenia, tak aby pacjentki spędzały jak najmniej czasu w procesie diagnostyki – zarówno na wczesnym etapie, jak i w trakcie samego leczenia. Być może Krajowa Sieć Onkologiczna przyczyni się do uporządkowania ścieżki pacjentki, eliminując sytuacje, w których kobiety muszą samodzielnie szukać pomocy. Dzięki temu, trafiając do jednej placówki, będą mogły liczyć na kompleksowe prowadzenie przez cały proces leczenia.

### **Innowacyjne terapie, w tym podskórne formy podawania leków, mogą wpłynąć na codzienne funkcjonowanie pacjentek?**

Podskórne formy podania leków dają pacjentce poczucie, że to nie jest tradycyjna chemioterapia. Kobieta nie musi spędzać wielu godzin pod kroplówką – zamiast tego może przyjść do placówki, wykonać niezbędne badania, a następnie udać się do gabinetu zabiegowego, przyjąć zastrzyk podskórny, odczekać chwilę i wyjść. Czas pobytu jest znacznie krótszy. Lęk i skojarzenia z wiszącymi nad głową kolorowymi workami z lekami są zupełnie inne. To ma ogromny wpływ nie tylko na oszczędność czasu, ale także na samopoczucie pacjentki.

Wiele nowoczesnych leków jest już w formie tabletkowej. Niektóre z nich są w formie podskórnej. Efekt kliniczny jest dokładnie taki sam, tylko przy podaniu podskórnym mamy tę wartość dodaną. To są leki, które były stosowane dotychczas we wlewach do-

żylnych. Mamy doświadczenia z tymi lekami również w kraju. Wiemy, że bezpiecznie możemy je podawać. Jeśli pojawia się inna formuła podania, czyli krótszego, szybszego, mniej inwazyjnego podania podskórnego, to absolutnie musimy z tego korzystać.

To jest moim zdaniem również minimalizacja kosztów, dlatego że pobyt pacjentki w ambulatorium a pobyt pacjentki szpitalnej jest też różny. Być może powinno pojawić się inne świadczenie – mamy pobyt szpitalny, mamy pobyt jednodniowy, ale nie mamy wycenionego krótkiego pobytu na wizytę ambulatoryjną w programie lekowym.

### **Wprowadzenie nowoczesnych form leczenia może pomóc pacjentkom w utrzymaniu aktywności zawodowej i społecznej?**

Jako pacjentka, która była leczona tą grupą leków, doskonale rozumiem, jak ważne jest to, ile czasu spędza się w szpitalu. Czy muszę iść na oddział chemioterapii, spędzić tam wiele godzin, leżąc na łóżku obok innych pacjentów, czy mogę otrzymać lek biologiczny w formie monoterapii podany w gabinecie zabiegowym? To różnica i korzyść dla pacjentki – czas spędzony w placówce jest znacznie krótszy.

Lęk związany z podaniem dożylnym a podskórnym (np. w udo) jest zupełnie inny – ten drugi jest dużo mniejszy. Skracają się również czas pobytu w placówce, co zmniejsza narażenie na zakażenia i ma ogromne znaczenie psychologiczne. Zwłaszcza że

współczesna pacjentka z rakiem piersi – w zależności od stanu zdrowia i etapu leczenia – często prowadzi aktywne życie zawodowe i rodzinne. Każda godzina, każda chwila jest dla niej na wagę złota.


Wszystko, co może ułatwić kobiecie funkcjonowanie w życiu codziennym i zawodowym, ma nieocenioną wartość. Jeśli istnieje możliwość skorzystania z szybszego, sprawniejszego podania leku, które mniej angażuje zarówno personel szpitala, jak i pacjentkę, warto wprowadzać jak najwięcej takich rozwiązań. To nie tylko korzyść dla pacjentek, ale także oszczędność dla systemu.

14 lat temu – kiedy ja się leczylam – często chodziliśmy na zwolnienia lekarskie, zasiłki rehabilitacyjne, później renty, żeby zakończyć leczenie. Mniej pacjentek pracowało. Idąc na wlew, na podanie dożylnie, spędzały tam większość dnia. Przy podaniach podskórnych to jest krótszy proces, mniej obciążający emocjonalnie i fizycznie. Można wziąć jedynie pół dnia wolnego.

### **Jakie są najważniejsze potrzeby pacjentek, o których decydenci i lekarze powinni pamiętać przy kształtowaniu tej polityki zdrowotnej w onkologii?**

Musimy skupić się na jakości oraz dostosowaniu leczenia onkologicznego w taki sposób, aby ścieżka pacjentki była jak najkrótsza, szczególnie na etapie diagnostyki. Diagnostyka powinna być celowana, obejmująca również badania molekularne i genetyczne, co pozwoli na zindywidualizowane podejście do każdej kobiety. Dzięki temu będzie można dobrać terapię precyzyjnie dostosowaną do podtypu nowotworu oraz występujących mutacji.

Kolejnym ważnym aspektem jest optymalizacja ścieżki leczenia, zwłaszcza pod kątem skrócenia czasu pomiędzy poszczególnymi procedurami. Warto również zwrócić uwagę na opiekę psychoonkologiczną. Liczba i dostępność psychoonkologów pozostawia wiele do życzenia, a to kluczowy element wsparcia dla pacjentek.

Nie można również zapominać o rehabilitacji, która wymaga dopracowania i lepszej integracji z procesem leczenia. Wszystkie te elementy są niezbędne, aby zapewnić pacjentkom kompleksową i skuteczną opiekę. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **ANNA KOPRAS-FIJOŁEK**

**W przypadku większości nowotworów zachorowalność co prawda rośnie, ale spada śmiertelność. Niechlubnym wyjątkiem jest rak endometrium (trzonu macicy): w tym przypadku rośnie nie tylko zachorowalność, ale też śmiertelność. Mówimy o tym już od pewnego czasu. Jak to wytłumaczyć? Ten nowotwór „opiera się” postępowi w medycynie?**

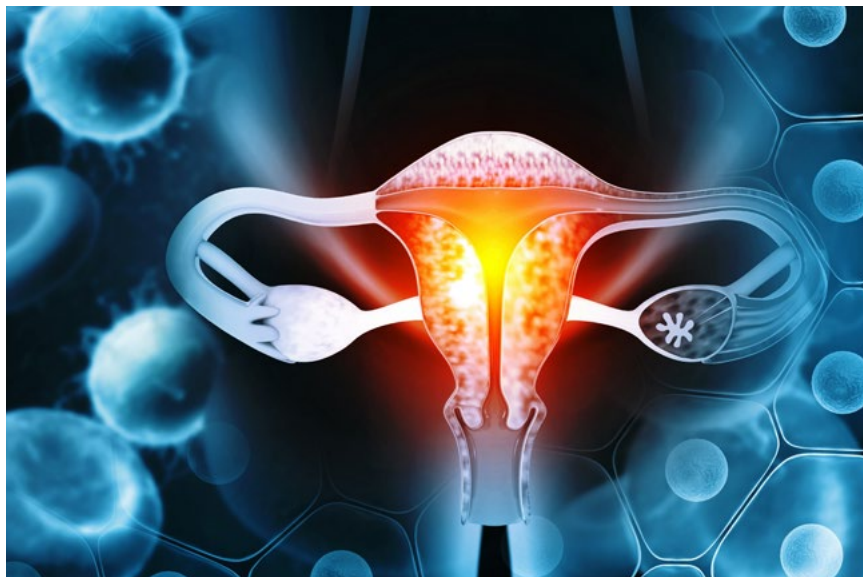
Kiedyś myśleliśmy, że rak endometrium to jedna choroba – dziś wiemy, że są co najmniej cztery typy raka endometrium, z których trzy znamy dość dobrze, a w przypadku czwartego jeszcze do końca nie wiemy, na czym polegają podstawowe mechanizmy, które powodują nowotworzenie. Część podtypów odpowiada bardzo dobrze na leczenie, inne – bardzo źle. Niektóre wymagają raczej immunoterapii, z kolei inne – chemioterapii. Wszystko to powoduje, że podejście do pacjentki z rakiem endometrium powinno być niezwykle spersonalizowane, jeśli chodzi o leczenie.

**Już od dwóch lat mamy zalecenia Polskiego Towarzystwa Ginekologii Onkologicznej; czy lepsza diagnostyka i zrozumienie biologii raka endometrium mogą przelożyć się na lepsze efekty leczenia?**

Oczywiście. Mamy już nowe zalecenia europejskie, które ukazały się w lutym 2025 r., one jeszcze bardziej uwzględniają to, co wynika z diagnostyki molekularnej. Musimy dziś przekonać całe środowisko medyczne, że leczenie pacjentek bez rozpoznania podtypu raka endometrium jest błędem. Musimy to również uświadomić naszym pacjentkom. Bardzo często w swojej praktyce widzę, że pacjentka jest po operacji, czeka na wynik histopatologiczny, ale gdy mówimy, że musimy poczekać na wynik badań molekularnych – co potrwa 2-3 tygodnie – to jej kojarzy się to z ryzykiem, że choroba może wymknąć się spod kontroli.

Staramy się edukować pacjentki, żeby zrozumiały, że tylko dobrze dopasowane leczenie jest w stanie z jednej strony pomóc, a z drugiej – nie narazić na nadmierne skutki uboczne.

**Wspomniała Pani o diagnostyce molekularnej – kiedy należałoby ją wykonać?**



## Immunoterapia wydłuża życie

Rozmowa z **PROF. EWĄ KALINKĄ**, kierownik Kliniki Onkologii Instytutu Centrum Zdrowia Matki Polki.

Odpowiem z naszej praktyki. W Instytucie Centrum Zdrowia Matki Polki w Łodzi 2,5 roku temu postawiliśmy sobie za cel, żeby wykonywać diagnostykę od razu w momencie potwierdzenia raka endometrium. Kiedy przychodzi pacjentka z rakiem endometrium, musimy zrobić badania obrazowe, rezonans miednicy, tomografię i dopiero wówczas poddać kwalifikacji do leczenia operacyjnego. Mamy więc trochę czasu, by dopełnić diagnostyki. Wykorzystujemy to i z materiału pierwotnego określamy podtyp molekularny nowotworu.

Najpóźniej taka diagnostyka powinna być wykonana z materiału pooperacyjnego. To konieczne, ponieważ musimy zdecydować o rodzaju leczenia uzupełniającego. Nie możemy tego zrobić bez określenia podtypu molekularnego. Najwięcej pacjentek jest w pierwszym i drugim stadium zaawansowania; one bezwzględnie wymagają określenia podtypu molekularnego, by leczyć je adekwatnie do ich potrzeb.

**Jak w leczeniu raka endometrium sprawdza się immunoterapia? U jakich pacjentek ona jest najbardziej skuteczna?**

Immunoterapię możemy obecnie stosować w Polsce u naszych pacjentek, które mają albo pierwotnie przerzuty w momencie rozpoznania, albo wznowę nieoperacyjną. Generalnie, u ok. 1/3 leczonych przez nas pacjentek dochodzi do rozsiewu choroby. Określenie podtypu molekularnego pozwala nam na wyodrębnienie kobiet, które reagują szczególnie dobrze na immunoterapię; to pacjentki, które mają tzw. niestabilność mikrosatelitarną lub podtyp p53. Możemy je leczyć w drugiej linii, ale wiemy, że już w pierwszej linii reagują one rewelacyjnie na immunoterapię. Pacjentki z innymi podtypami reagują znacznie słabiej – choć obecne rejestracje światowe mówią, że w pierwszej linii powinniśmy podawać immunoterapię wszystkim pacjentkom, u których nie ma przeciwwskazań. Jednak korzyści są bardzo

różne w poszczególnych podgrupach. Największe korzyści osiągają pacjentki z niestabilnością mikrosatelitarną i podtypem p53. W tym przypadku nie ma żadnych wątpliwości, że powinny otrzymywać takie leczenie.

W Polsce stosowanie immunoterapii jest jeszcze nierefundowane w pierwszej linii. Mówię „jeszcze”, ponieważ wszyscy trzymamy kciuki za nową listę refundacyjną i bardzo liczymy na to, że przed wakacjami taka opcja stanie się dostępna dla polskich pacjentek.

**Obecnie w Polsce immunoterapia może być stosowana w nawrocie choroby lub wówczas, gdy od razu przy rozpoznaniu mamy do czynienia z rozsiewem?**

Tak, dziś mamy w Polsce dostępne leczenie w drugiej linii, czyli w sytuacji progresji po chemioterapii, oraz wtedy, gdy choroba została rozpoznana w stadium rozsiewu. Immunoterapia jest wskazana w tym przypadku dla pacjentek z niestabilnością mikrosatelitarną.

Obecnie w programie lekowym jest dostępny dostarlimab, czyli pierwsza immunoterapia, która pokazała się w raku endometrium, jak również pembrolizumab. Doświadczenia z dostarlimabem są najdłuższe; lek jest w Polsce refundowany już od ponad roku. Mamy już sporo pacjentek w ten sposób leczonych; jeśli zareagują na leczenie, to odpowiedź na nie jest bardzo długa, choroba nie postępuje.

**Dlaczego tak ważne jest to, żeby była możliwość stosowania immunoterapii już w pierwszej linii, a nie dopiero w nawrocie?**

Ma to ogromne znaczenie. W chorobie rozsianej wiele pacjentek tracimy w momencie progresji po pierwszej linii, gdyż progresja choroby nowotworowej często wiąże się z dużym pogorszeniem stanu sprawności, wydolności narządów i pacjentki nie są kandydatkami do leczenia w drugiej linii. Tracimy ok. 50 proc. pacjentek, które mogłyby odnieść korzyść, gdyby były leczone immunoterapią w pierwszej linii. Jeśli nie wykorzystamy optymalnie pierwszego planu leczenia, by uzyskać największe korzyści, to w przypadku wielu kobiet może nie być już nawet możliwe leczenie w drugiej linii.

**Odpowiedź na leczenie w pierwszej linii może być też dłuższa?**

Tak, to naturalne w chorobie zaawansowanej, że najdłużej trwa pierwsza odpowiedź na leczenie. Kolejne są coraz krótsze. Dlatego największa korzyść z interwencji jest w przypadku leczenia w pierwszej linii rozsianej choroby nowotworowej.

Jeśli chodzi o możliwość zastosowania immunoterapii w pierwszej linii, to są już rejestracje europejskie dla trzech


leków – dostarlimabu, pembrolizumabu i durwalumabu. Pierwsze dane na temat leczenia w pierwszej linii zostały opublikowane pod koniec marca 2023 r.; dotyczyły bardzo dużej grupy pacjentek leczonych dostarlimabem. Jest ona przez cały czas obserwowana, są również analizy podgrup molekularnych poszczególnych podtypów raka endometrium. Tego jeszcze nie mamy w przypadku atezolizumabu i durwalumabu.

**Te wszystkie działania: lepsza diagnostyka, immunoterapia w pierwszej**

**W Polsce stosowanie immunoterapii jest jeszcze nierefundowane w pierwszej linii. Mówię „jeszcze”, ponieważ wszyscy trzymamy kciuki za nową listę refundacyjną.**

linii dają szansę na to, że mniej kobiet będzie umierać z powodu raka endometrium?

Tak, rak endometrium to w pewnym sensie choroba cywilizacyjna, często kojarząca się z otyłością, nadciśnieniem, zespołem metabolicznym. Na pewno musimy zapobiegać czynnikom ryzyka, jednak na raka endometrium chorują też kobiety szczupłe. Wiele z nich umierało. Dzięki dopasowaniu odpowiednich metod leczenia do podtypu raka endometrium mamy szansę uderzyć w nowotwór z adekwatną siłą.

Immunoterapia wydłuża życie. Być może nie potrafimy jeszcze dzięki niej wyleczyć pacjentek, jednak możemy spowodować, że będą one żyły znacznie dłużej i w znacznie lepszym komforcie. Na pewno będzie to bardziej realne, gdy będziemy mieć możliwość zastosowania immunoterapii już w pierwszej linii. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

**Leki stosuje się długo, do progresji choroby. Czy immunoterapia jest bezpieczna przy długim stosowaniu?**

Na pewno jest to terapia dużo bezpieczniejsza niż długotrwała chemioterapia. Oczywiście, ma swoją specyfikę, mogą wystąpić działania niepożądane. Leki z grupy immunoterapii mają za zadanie pobudzić naszą odporność, odpowiedź zapalną organizmu względem nowotworu. To się udaje, jednak w wyniku pobudzenia odporności może dojść do powikłań wynikających z tego, że powstają stany zapalne naszych własnych tkanek. Może dojść do zapale-

Rozmawiała **KATARZYNA PINKOSZ**



### Dr hab. n. med. Ewa Kalinka

– specjalistka chorób wewnętrznych i onkologii klinicznej. Kieruje Kliniką Onkologii ICZMP w Łodzi. Jest twórcą i przewodniczącą komitetu naukowego konferencji „Immunoterapia nowotworów”.



# Radioligandy, czyli precyzyjna radioterapia

Rozmowa z **DR N. MED. IWONĄ SKONECZNĄ**, kierującą Oddziałem Chemioterapii w Szpitalu Grochowskim.



beta zawartą w cząsteczce promieniotwórczego lutetu-177, mającą na celu zabicie komórki nowotworowej.

Terapie radioligandowe są więc precyzyjną celowaną terapią izotopową, dostarczającą cząsteczki radiofarmaceutyku działającego w komórce nowotworowej. Idea polega na tym, żeby znaleźć taki punkt uchwytu na komórce nowotworowej, który znajduje się wyłącznie na niej, a później dostarczyć do niej radiofarmaceutyk.

**Czyli tego typu leczenie można zastosować w leczeniu nowotworów, które mają specyficzne receptory na powierzchni komórek nowotworowych. Jednym z takich nowotworów jest rak prostaty. Jak terapia radioligandowa działa w przypadku tego nowotworu?**

Komórki nowotworowe muszą mieć ekspresję konkretnego antygenu. W przypadku raka prostaty jest nim antygen błonowy PSMA (prostate specific membrane antigen). To białko bardzo często występuje na komórkach raka prostaty, zwłaszcza w przypadku przerzutów. A jednocześnie jest ono bardzo rzadko stwierdzane w prawidłowych tkankach. Właśnie dlatego PSMA stanowi idealny punkt uchwytu dla przeciwnowotworowej terapii celowanej.

To przykład leczenia ukierunkowanego na cel. Warunkiem zastosowania go jest wykonanie diagnostyki, żeby sprawdzić, czy na przerzutowych komórkach raka prostaty występuje odpowiednia ekspresja antygenu PSMA. Wtedy możemy myśleć o tym, by do tego miejsca dostarczyć radiofarmaceutyk 177Lu-PSMA-617. Jest to związek zbudowany z radioaktywnego lutetu (emituje promieniowanie beta niszczące komórki nowotworowe), połączonego z ligandem, czyli cząsteczką, która po wprowadzeniu do organizmu łączy się z antygenem PSMA. Dzięki temu lutet wnika do komórek no-

**Leki celowane, coraz bardziej nowoczesna immunoterapia – w ostatnich latach w onkologii widać prawdziwą rewolucję. A teraz wkracza kolejny rodzaj leczenia: celowane terapie radioligandowe. Na czym polega mechanizm ich działania?**

W leczeniu onkologicznym chcielibyśmy dostarczać precyzyjnie lek do miejsca, gdzie jest choroba nowotworowa, z ominięciem wszystkich prawidłowych komórek – to nasz cel w leczeniu syste-

mowym. Naprzeciw takim oczekiwaniom wychodzą terapie radioligandowe. Terapia radioligandowa Lutetu177 (wipiwozyd tetraksetanu) składa się z ligandu (łącącego się z antygenem błonowym specyficznym dla prostaty – PSMA) i cząsteczki promieniotwórczej Lutetu-177. Ligand ma na celu odnalezienie komórki nowotworowej i połączenie się z występującym na jej powierzchni specyficznym receptorem, następnie kompleks wnika do jej wnętrza i tam uwalnia energię promieniowania

wotworowych, co wystawia je na działanie promieniowania jonizującego.

### Na jakim etapie rozwoju raka prostaty można zastosować terapię radioligandową?

Wszystkie nowe leki zazwyczaj na początku są badane u pacjentów, dla których nie mamy już skutecznego leczenia, ponieważ najpierw staramy się wykorzystać

Radiofarmaceutyki – czyli leczenie z wykorzystaniem cząsteczek promieniotwórczych podawanych dożylnie – były już stosowane m.in. w raku prostaty. Wcześniej w celu leczenia przeciwbólowego u pacjentów z przerzutami do kości wykorzystywaliśmy izotopy strontu lub samaru. Kolejnym radiofarmaceutykiem, który może wydłużać życie u chorych rakiem prostaty z przerzutami do ko-

### Jak oceniane jest bezpieczeństwo terapii radioligandowej w raku prostaty?

Bezpieczeństwo jest duże, ponieważ lek dociera tylko tam, gdzie mamy duże gromadzenie PSMA, czyli do komórek raka prostaty. Oszczędza się więc inne prawidłowe tkanki. Takie leczenie jest dużo lepiej tolerowane niż klasyczna chemioterapia, a poważnych objawów ubocznych było dużo mniej.

Na pewno warto tę opcję leczenia rozważyć u pacjentów z rakiem prostaty opornym na kastrację, z przerzutami, którzy mają ekspresję PSMA. Dzięki takiemu leczeniu możemy wydłużyć życie pacjentów, jednocześnie oferując leczenie, które jak najmniej pogarsza jakość życia. Tak więc na pewno jest to ważna opcja leczenia, która być może z czasem będzie stosowana również na wcześniejszym etapie.

## To pierwszy radioligand, czyli lek, gdzie cząsteczka radiofarmaceutyku została „przyczepiona” do ligandu. Lek może docierać do wszystkich miejsc organizmu gdzie występują przerzuty (nie tylko w kościach), ale warunkiem jest gromadzenie w przerzutach PSMA.

te metody, o których wiemy, że pomagają. Dlatego lutet początkowo był badany u pacjentów z rakiem opornym na kastrację, z przerzutami, którzy otrzymywali już klasyczne leki hormonalne, później nowoczesne leki hormonalne, chemioterapię opartą na taksanach, a mimo to doszło do rozsiewu i progresji choroby.

W badaniu klinicznym, które doprowadziło do rejestracji, część pacjentów otrzymywało Lu-PSMA w połączeniu z najlepszą standardową terapią; pozostali stanowili grupę kontrolną, otrzymującą najlepszą standardową terapię. Wyniki badania potwierdziły, że zastosowanie radioligandu spowodowało w istotny sposób wydłużenie życia pacjentów, opóźnienie progresji choroby, zmniejszenie ryzyka wystąpienia objawowych zdarzeń kostnych i bólu.

W przypadku pacjentów mających ekspresję antygenu PSMA nie ma wątpliwości, że jest to kolejna opcja leczenia do zastosowania, dzięki której mogą oni żyć dłużej. Lek ten został zarejestrowany dla pacjentów z zaawansowanym rakiem prostaty z przerzutami, opornym na kastrację, którzy mają wysoką ekspresję PSMA, a wcześniej byli leczeni nowoczesną hormonoterapią i chemioterapią opartą na taksanach. Obecnie toczą się badania kliniczne, w których lek jest stosowany na wcześniejszych etapach raka prostaty.


### Radiofarmaceutyki to nowy sposób leczenia nowotworów?

ści, jest dostępny dla polskich pacjentów rad-223.

Lutet-177-PSMA-617 jest pierwszym radioligandem, czyli lekiem gdzie cząsteczka radiofarmaceutyku została „przyczepiona” do ligandu: cząsteczka lutetu 177 jest połączona z PSMA-617. Lek może docierać do wszystkich miejsc organizmu, gdzie występują przerzuty (nie tylko w kościach), ale warunkiem jest gromadzenie w przerzutach PSMA.

Jak wspomniałam, przed zastosowaniem takiego leczenia, konieczne jest wykonanie odpowiedniej diagnostyki. Najdokładniejszym badaniem, które ma pokazać, gdzie są przerzuty choroby nowotworowej, jest obrazowanie nowej generacji PET PSMA, czyli tomografia pozytonowa PET z wykorzystaniem PSMA. Musimy wykonać badanie PET PSMA i sprawdzić, czy we wszystkich przerzutach raka prostaty jest gromadzenie tego znacznika. U pacjentów, którzy nie mają ekspresji PSMA, możemy zastosować chemioterapię kolejnego rzutu.

### Terapie radioligandowe mogą stać się nową gałęzią leczenia w onkologii?

W onkologii mamy już podobne leki – terapie ukierunkowane molekularnie np. koniugaty lekowe, czyli połączenie przeciwciała obecnego tylko na komórkach nowotworowych z chemioterapeutyką. Dużym problemem w tego typu terapiach jest znalezienie celu (targetu), do którego dostarczymy lek (farmaceutyk – lub radiofarmaceutyk). Problemem jest to, że dosyć trudno znaleźć takie cele, które są obecne tylko na komórkach nowotworowych, a nie występują na komórkach prawidłowych. Objawy uboczne leczenia celowanego wynikają właśnie z tego, że ta cząsteczka (receptor czy antygen) jest obecna na innych komórkach, nie tylko nowotworowych. W przypadku raka prostaty wydaje się, że ten cel udało się odnaleźć, dlatego na pewno jest to ważna opcja dla pacjentów z tą chorobą. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **KATARZYNA PINKOSZ**



### Dr n. med. Iwona Skoneczna

– onkolog kliniczny, kieruje Oddziałem Chemioterapii w Szpitalu Grochowskim w Warszawie.

**Gdy mówimy o nowotworach hematologicznych, to zwykle obiałczkach, chłoniakach. Mielofibroza jest mniej znana. Co to za choroba?**

Mielofibroza to choroba należąca do grupy nowotworów mieloproliferacyjnych, podobnie jak przewlekła białaczka szpikowa, czerwienica, nadpłytkowość. Zachorowalność jest niska (średnio w ciągu roku 0,5 osoby na 100 tys. mieszkańców), jednak to choroba przewlekła, dlatego mamy pod opieką sporą grupę pacjentów.

**W tej chorobie włóknieje szpik. Jakie to powoduje skutki?**

Głównym problemem jest rzeczywiście włóknienie szpiku, indukowane patologicznie zmienionymi prekursorami płytek krwi, czyli megakariocytami. Wydzielają one szereg cytokin prozapalnych, które między innymi stymulują włóknienie.

Gdy szpik włóknieje, staje się mało wydolny, co może powodować niedobory różnych rodzajów krwinek – białych, czerwonych, płytek krwi, co jest przyczyną takich objawów, jak osłabienie odporności, niedokrwistość, krwawienia. Mielofibrozie często towarzyszą objawy zapalenia: stany podgorączkowe, intensywne pocenie, świąd skóry, bóle kości, często bardzo dokuczliwe dla pacjenta.

**To pierwsze objawy, z jakimi pacjent zgłasza się do lekarza?**

W przypadku wczesnej mielofibrozy może w ogóle nie być objawów. Zdarza się, że choroba jest wykryta dzięki przypadkowo wykonanej morfologii, w której są widoczne zmiany – np. jest za dużo płytek krwi. W pierwszej, niezaawansowanej fazie mielofibrozy – mówimy o tzw. fazie przedwłóknieniowej – często występuje właśnie nadpłytkowość. To zwraca uwagę lekarza. Również w USG jamy brzusznej może być widoczne powiększenie śledziony. Postępujące włóknienie szpiku i jego niewydolność powoduje, że krwiotworzenie przenosi się do śledziony, która się powiększa. W przypadku zaawansowanej mielofibrozy powiększenie śledziony jest duże, często powoduje to objawy związane z wypełnieniem jamy brzusznej.

**Stąd niechęć do jedzenia, szybkie uczucie sytości, bóle brzucha?**

# Ogromny problem chorych na mielofibrozę

Rozmowa z **PROF. JOANNĄ GÓRĄ-TYBOR**, konsultant ds. hematologii w województwie łódzkim.



Tak; mielofibroza jest bardzo heterogenna, jeśli chodzi o objawy. W dużej mierze zależy to od zaawansowania choroby. Wczesna faza, przedwłóknieniowa, może trwać latami i nie dawać żadnych objawów. Choroba rozpoznawana we wczesnych fazach może przebiegać stabilnie pod postacią nadpłytkowości, z niewielkim powiększeniem śledziony.

Jednak u niektórych osób choroba postępuje szybko. W przypadku zaawansowanej mielofibrozy pojawiają się małopłytkowość, powiększenie śledziony, niedokrwistość wymagająca nawet przetoczeń krwi.

**Czy ma znaczenie wczesne rozpoznanie choroby? Czyli warto wykonywać co roku morfologię?**

Wczesne wykrycie choroby zawsze jest istotne. Każdy z nas powinien co roku wykonać profilaktycznie morfologię, ponieważ wiele chorób możemy podejrzewać na podstawie zmian w krwi. Wczesne rozpoznanie ma ogromne znaczenie, gdyż możemy odpowiednio dobrać leczenie do pacjenta i w wielu przypadkach opóźnić postępowanie choroby.

**Jak obecnie wygląda rokowanie pacjentów?**

Mielofibroza jest chorobą przewlekłą, wielu pacjentów żyje z nią przez wiele lat,



choć oczywiście dużo zależy od stopnia zaawansowania w momencie diagnozy, a także czynników prognostycznych, które możemy dziś już dobrze ocenić.

### A jak wyglądają możliwości leczenia w Polsce, patrząc na międzynarodowe wytyczne?

Jeśli chodzi o wyleczenie, to obecnie jest ono możliwe tylko za pomocą transplantacji szpiku od dawcy. Żeby kwalifikować się do transplantacji szpiku, pacjent musi być jednak w dobrym stanie ogólnym, nie mieć poważnych chorób współistniejących. W przypadku mielofibrozy transplantacja szpiku jest trudnym zabiegiem, obarczonym licznymi powikłaniami, także groźnymi dla życia, dlatego trzeba bardzo wyważyć, czy warto go przeprowadzić i w jakim momencie. To trudna decyzja zarówno dla lekarza, jak i dla pacjenta, ale transplantacja szpiku jest jedyną terapią dająca szansę na wyleczenie.

Jeśli chodzi o farmakoterapię, to mamy dostępny dobrze znany w onkologii lek: hydroksykarbamid, który może spowodować zmniejszenie śledziony, stabilizować podwyższone krwinki czerwone, białe, ale generalnie nie wpływa na przebieg choroby. We wczesnym, przedwłóknieniowym stadium stosuje się też interferon alfa – może on spowolnić postępujące włóknienie.

Bardzo ważną grupą leków, które stały się przełomem w terapii mielofibrozy, są inhibitory kinazy JAK. Mają one wpływ na molekularne podłoże choroby: w jej przebiegu bardzo ważna jest aktywacja szlaku JAK-STAT. Inhibitory kinazy JAK to leki, które ją hamują. Pierwszym lekiem z tej grupy jest ruksolitynib, a kolejnym – fedratynib. Obydwa są dostępne w Polsce w ramach programu lekowego. Opanowują objawy ogólne mielofibrozy, zmniejsza się pod ich wpływem śledziona. Czekamy na jeszcze jeden lek z tej grupy – najnowszy inhibitor kinazy JAK – momelotynib; mamy nadzieję, że znajdzie się w programie lekowym.

### Dlaczego ten lek jest potrzebny?

Z inhibitorami JAK, które obecnie możemy wykorzystywać, mamy pewien problem, ponieważ mogą one nasilać niedokrwistość, która i tak jest częstym

## Mielofibroza

Liczba nowych zachorowań na mielofibrozę w ciągu roku wynosi ok. 0,5 osoby na 100 tys.; choroba występuje z równą częstością u kobiet i u mężczyzn. Średni wiek w momencie rozpoznania wynosi 65 lat, jednak u około 10 proc. mielofibrozę rozpoznaje się przed 45. rokiem życia.

powikłaniem u chorych na mielofibrozę. U pacjentów leczonych momelotynibem często poprawiają się parametry czerwonych krwinek. Byłyby to cenny lek – dla pacjentów, którzy już wyjściowo mają niedokrwistość lub dla tych, u których niedokrwistość pogłębia się istotnie przy stosowaniu innych inhibitorów JAK.

### Niedokrwistość to poważny problem pacjentów?

Niedokrwistość występuje u dużej części pacjentów już w momencie rozpoznania mielofibrozy, a u prawie wszystkich pojawi się później. To ogromny problem. Staramy się go zmniejszyć, stosując np. steroidy, danazol jednak ich skuteczność jest bardzo ograniczona.

W zaawansowanej fazie mielofibrozy wielu pacjentów musi mieć częste przetoczenia krwinek czerwonych. To ogromny problem dla chorego: częste pobyty w szpitalu, obciążenie organizmu żelazem, co ma negatywny wpływ na wiele narządów, w tym serce. Jest to też bardzo duże obciążenie dla systemu zdrowia.

W trakcie badań są też leki, które stymulują dojrzewanie krwinek czerwonych – np. luspatercept, zarejestrowany dotychczas do leczenia niedokrwistości


u chorych z nowotworami mielodysplastycznymi; mamy nadzieję, że znajdzie zastosowanie również u pacjentów z niedokrwistością w przebiegu mielofibrozy.

### Nowy inhibitor JAK byłby stosowany zamiast tych, które już są dostępne?

Chcielibyśmy go stosować od początku u pacjentów, którzy mają dużą niedokrwistość, a także u tych chorych, którzy wyraźnie reagują pogłębieniem niedokrwistości przy stosowaniu innych inhibitorów JAK.

Ma on nieco inny mechanizm działania, ponieważ z jednej strony hamuje kinazę JAK – czyli zmniejsza objawy ogólne, rozmiar śledziony – a jednocześnie obniża poziom hepcydyny, zwiększając dostępność żelaza i pobudzając erytropoezę, czyli tworzenie krwinek czerwonych. Badania kliniczne wykazały, że mniejszy odsetek pacjentów stosujących momelotynib ma powikłania pod postacią niedokrwistości, a u części chorych wyraźnie się ona zmniejsza.

### Co jeszcze, prócz dostępu do nowej terapii, byłoby ważne dla pacjentów z mielofibrozą?

Potrzebna byłaby szybsza diagnostyka, wsparcie lekarzy podstawowej opieki zdrowotnej (POZ), ale też większa dostępność do transfuzji krwi. Jeśli są konieczne, to ważne, żeby można było je wykonywać nie tylko w oddziałach hematologicznych, ale także internistycznych. Jest to już dziś możliwe, jednak procedury są słabo wycenione, oddziały internistyczne bardzo obciążone – stąd trudność dla pacjentów. Bardzo dużym udogodnieniem byłoby stworzenie „oddziałów dziennych” dla chorych wymagającym przetoczeń krwi. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **KATARZYNA PINKOSZ**



## Prof. dr hab. n. med. Joanna Góra-Tybor

– konsultant ds. hematologii w województwie łódzkim, kierownik Oddziału Hematoonkologii z Pododdziałem Chemioterapii Diennej Wojewódzkiego Wielospecjalistycznego Centrum Onkologii i Traumatologii im. M. Kopernika w Łodzi.



# Ten lek byłby wybawieniem

Rozmowa z **PROF. ANETĄ SZUDY-SZCZYREK** z Katedry i Kliniki Hematoonkologii i Transplantacji Szpiku Uniwersytetu Medycznego w Lublinie.

## Ciężka mastocytoza indolentna: o jakiej grupie chorych mówimy?

Szacuje się, że mastocytoza indolentna występuje u 1 na 10 tys. osób, nie ma jednak rejestrów, które podawałyby twarde dane liczbowe dotyczące zachorowań. Na pewno nie ma takiego rejestru w Polsce. Liczba chorych jest z pewnością niedoszacowana. Jest to choroba, która może mieć wiele różnych objawów klinicznych. Dlatego ciężko zakwalifikować ją do problemu tylko dermatologicznego bądź tylko hematologicznego. Spektrum objawów jest bardzo szerokie, występuje w różnych narządach.

## Jaka postać mastocytozy występuje najczęściej?

U osób dorosłych najczęściej występuje rzadsza i cięższa postać układowa, czyli taka, kiedy zajęte są narządy poza skórą, gdy mastocyty rozrastają się w szpiku kostnym. Dochodzi wówczas do niewydolności wielonarządowej i ta postać ma

obraz agresywnego nowotworu hematologicznego. W przypadku osób z zaawansowaną chorobą występuje więcej problemów zdrowotnych, a oczekiwana dalsza długość trwania życia jest krótsza niż w zdrowej populacji

Najczęstszą postacią choroby jest postać łagodna – indolentna. Pacjenci prezentują objawy wynikające z tzw. uwalniania mediatorów komórkowych (hormonów, histamin, innych substancji aktywnych) z patologicznych, nowotworowo zmienionych mastocytów. Tacy chorzy są narażeni na poważne reakcje alergiczne, w tym ciężkie reakcje alergiczne, nawet wstrząsy anafilaktyczne. Mam pacjentów, którzy kilkakrotnie przeżyli taki wstrząs, nawet z zatrzymaniem akcji serca.

Inne objawy mogą wynikać z chorobowego zajęcia skóry. U dorosłych na skórze występuje najczęściej wysypka plamisto-grudkowa – zazwyczaj na tułowi, kończynach dolnych i rzadko, na szczęście, na twarzy. Choroba postępuje z biegiem lat (zmiany imitujące skórę biedronki albo żyrafy). Zmiany skórne pieką, swędzą, są bardzo wrażliwe na różnice temperatur, na pokarmy. Dla chorych stanowi to poważny dyskomfort.

Inna grupa objawów to te wynikające z powodu oddziaływania substancji wydzielanych przez mastocyty na przewod pokarmowy. Chorzy mają przewlekłe biegunki, zaparcia, przewlekłe bóle brzucha, objawy imitujące chorobę wrzodową. Ponadto skłonność do osteoporozy, gdy mastocyty zajmują kości. Objawy z układu krążenia mogą imitować zespoły endokrynologiczne – nagle hipotonie, czyli spadki ciśnienia, bądź zaczerwienienie twarzy.

## Proszę opowiedzieć o swoich pacjentach, jak żyją z tą chorobą?

Jedna z moich pacjentek z postacią indolentną przeżyła trzy wstrząsy anafilaktyczne, w tym dwa na przyjęciach weselnych – raz po wypiciu białego wina,

**Apelujemy o udostępnienie leku dla grupy chorych z postacią indolentną. Ci ludzie, nie mając wyjścia, żyją po cichu, na uboczu. Liczą jednak na możliwość leczenia.**

## Mastocytoza

Pod tą nazwą kryje się grupa rzadkich chorób, w których dochodzi do nadmiernego wytwarzania komórek mastocytarnych (inaczej tucznych). Mastocyty są komórkami układu odpornościowego, które uczestniczą w reakcjach alergicznych i w odpowiedzi zapalnej. W przypadku mastocytozy ma miejsce nieprawidłowy wzrost i nagromadzenie komórek tucznych w różnych tkankach ciała, co prowadzi do rozmaitych objawów. Choroba może przebiegać w postaci skórnej indolentnej (komórki tuczne gromadzą się w skórze) lub w zaawansowanej postaci układowej, znacznie cięższej, kiedy zajęte są narządy wewnętrzne. Osób z postacią indolentną jest znacznie więcej. Według aktualnej klasyfikacji mastocytoza zaliczana jest do chorób nowotworowych. W większości przypadków nie wymaga jednak typowego leczenia onkologicznego.

a drugi raz po zjedzeniu ryby. Od tego czasu nie jest już zapraszana na uroczystości rodzinne.

Druga z moich pacjentek, młoda dziewczyna, mówi, że nie daje już rady funkcjonować. Skóra ją cały czas piecze, choroba osłabia ją fizycznie, ma ciągle biegunki, a przy sytuacjach stresowych objawy się wzmacniają, więc wtedy całkowicie czuje się zablokowana i wycofana z życia. Nie mówiąc o tym, że nigdzie nie może się rozebrać (ani na plaży, ani na basenie, ani latem), bo jej skóra wygląda właśnie jak u żyrafy. Ciało ma w ciapki, ludzie się przyglądają.

Inny pacjent, mężczyzna, ma tak wrażliwą skórę, że gdy np. zimą wchodzi do sklepu i następuje zmiana temperatury, to cała twarz nagle mu czerwienieje. A on widzi spojrzenia ludzi, którzy biorą go za alkoholika. Wszystkie te osoby, w tym także inni moi pacjenci odczuwają ogromny dyskomfort w życiu.

### Jak przebiega rozpoznanie?

Tu można mówić o fatum chorób rzadkich. Upływa co najmniej kilka miesięcy, a częściej kilka lat, zanim zostanie postawiona właściwa diagnoza. Do naszego ośrodka kierowani są pacjenci, którzy wcześniej byli badani przez gastrologów, dermatologów, endokrynologów. Objawy są tak przeróżne, że, jak wspomniałam, mogą imitować wiele różnych chorób. Trzeba mieć szczęście, by trafić na lekarza, który wszystko to połączy w całość i skieruje chorego do pogłębianej diagnostyki hematologicznej.

### Na czym polega leczenie? Czy jest skuteczne?

Mamy bardzo ograniczone możliwości leczenia. Lekarze prowadzący muszą pamiętać o tym, żeby pacjenta wyedukować, jeśli chodzi o styl życia, o dietę, o czynniki zwiększające ryzyko anafilaksji. Chory powinien przyjmować stale leki przeciwalergiczne, mieć przy sobie (gdzieś blisko) adrenalinę, ponieważ – jak mówiłam – ryzyko anafilaksji jest wpisane w tę chorobę, a pamiętajmy, że jest to sytuacja zagrażająca życiu. Rodzina również powinna być wyedukowana w tym zakresie i wiedzieć, że taka sytuacja może się zdarzyć.


U chorych z postacią indolentną mamy bardzo ograniczone możliwości leczenia. Stosujemy leki przeciwhistaminowe, podajemy anty-H1, H2 blokery, które hamują wydzielanie histaminy przez nowotworowe mastocyty. Takim leczeniem nie modyfikujemy przebiegu choroby, działamy objawowo, ale w żaden sposób nie spowalniamy choroby.

Mamy możliwości leczenia zaawansowanej choroby, kiedy już dojdzie do uszkodzenia narządowego. W Polsce są od kilku lat dostępne inhibitory kinazy tyrozynowej

– pierwsza była midostauryna, a w tym roku wprowadzono drugi lek awaprytynib, dostępny dla chorych z postacią zaawansowaną w drugiej linii leczenia.

Warto pamiętać także o pacjentach z postacią indolentną, których jest znacznie więcej, to są chorzy w różnym wieku, w tym młodzi, którzy mają bardzo pogorszoną jakość życia, a sami o sobie mówią, że nie mają żadnej jakości życia. Choroba może się rozwijać. Proszę sobie też wyobrazić naszą, lekarzy, sytuację, gdy rozpoznajemy mastocytotę indolentną i nic z nią nie możemy zrobić. To jest prawdziwy dramat.

Na świecie dokonał się przełom w terapii pacjentów z postacią indolentną. W połowie 2023 r. zarejestrowano inhibitor kinazy tyrozynowej po raz pierwszy do stosowania właśnie w mastocytocie indolentnej. Mam na myśli awaprytynib, w Polsce dostępny jedynie dla chorych z postacią układową zaawansowaną. Dla chorych z mastocytotą indolentną terapia ta nie jest jeszcze możliwa. A chodzi tu o małą dawkę leku: 1/4 tej, która jest stosowana u pacjentów z postacią zaawansowaną. I jest to lek, który ma potencjał modyfikacji choroby, jej przebiegu, a nawet jej wycofania i zatrzymania. Poprawia pacjentom jakość życia. Jest to lek doustny, więc terapia jest wygodna. Można go w łatwy sposób przyjmować i normalnie funkcjonować w społeczeństwie.

My, lekarze, wraz pacjentami postulujemy o udostępnienie tego leku dla grupy chorych z postacią indolentną. Ci ludzie, nie mając wyjścia, żyją po cichu, na uboczu. Jednak liczą na możliwość leczenia. Dla nich ten lek byłby wybawieniem. Oczekujemy dostępności leku dla osób z postacią indolentną, którzy mimo profilaktyki mają objawy choroby. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **AGNIESZKA FEDORCZYK**



### Dr hab. n. med. Aneta Szudy-Szczyrek

– hematolog; pracuje w Katedrze i Klinice Hematoonkologii i Transplantologii Szpitala Uniwersyteckiego w Lublinie



# Leczenie szyte na miarę to przyszłość i dla chorób rzadkich

– mówi **PROF. JOLANTA SYKUT-CEGIELSKA**, prof. Instytutu Matki i Dziecka w Warszawie, konsultant krajowy w dziedzinie pediatrii metabolicznej, kierownik Kliniki Wrodzonych Wad Metabolizmu i Pediatrii IMiD.

**Dobrze się dzieje, że o chorobach rzadkich mówi się coraz częściej i coraz głośniej, ale jednak wciąż za mało, skoro nawet lekarze – i to specjaliści – mają problem z ich rozpoznaniem. A opóźniona diagnostyka, właśnie szczególnie w przypadku tego rodzaju schorzeń, to podjęte zbyt późno leczenie i związany tym cały szereg późniejszych konsekwencji. Z czego to wynika?**

Istotnie, choroby rzadkie, a zwłaszcza utrarzadkie, były, są i myślę, że jeszcze długo będą rozpoznawane z opóźnieniem. Z jednej strony wynika to z ich specyfiki, różnorodności, co wymaga zastosowania specjalistycznych metod diagnostycznych, czujności diagnostycznej. Z drugiej strony wykazanie się tą czujnością jest możliwe tylko wówczas, gdy lekarz, do którego na pierwszym etapie trafi pacjent, będzie posiadał odpowiednią wiedzę na temat chorób rzadkich. W każdym przypadku, gdy widzimy, że coś nie pasuje do obrazu częściej choroby, należy rozważyć możliwości występowania choroby rzadkiej, która będzie zupełnie inaczej leczona. W diagnostyce różnicowej trzeba uwzględnić rzadkie przyczyny obserwowanych objawów, w tym metaboliczne, szczególnie jeśli częste powszechniejsze choroby można wykluczyć na podstawie określonych badań.

Większość chorób rzadkich jest uwarunkowana genetycznie, ale to nie znaczy, że w ich rozpoznawaniu będziemy się opierać tylko na badaniach genetycznych. One powinny być dostępne i wykorzystywane równoległe z dostępnymi badaniami biochemicznymi, wysokospecjalistycznymi badaniami laboratoryjnymi. Jest to uzasadnione zwłaszcza w tych przypadkach, kiedy zmiany w konkretnych genach nie zostały jeszcze opisane.



**Jednak nawet te badania laboratoryjne, oczywiście mówimy o tych wysokospecjalistycznych, nie są u nas w pełni refundowane...**

Niestety. Mam nadzieję, że to się zmieni, gdyż Plan dla Chorób Rzadkich zakłada powszechniejszy dostęp do dużo szerszej diagnostyki. I wydaje się, że decydenci wreszcie zrozumieli, jak ważne jest wczesne rozpoznawanie tych chorób. Czas od pojawienia się pierwszych objawów klinicznych do postawienia właściwej diagnozy powinien być jak najkrótszy. Liczymy, że takie badania będą refundowane na równi z wielkoskalowymi badaniami genetycznymi. Zwiększenie nakładów na wysokospecjalistyczne, zazwyczaj kosztowne procedury diagnostyczne to dziś konieczność. Wymaga to oczywiście zwiększenia liczby ośrodków referencyjnych świadczących taką diagnostykę. Bo tylko

wtedy chorzy otrzymają szansę na bardziej skuteczną diagnostykę i leczenie, które powinno być spersonalizowane, a tam, gdzie możliwe, też skorelowane z genotypem. Leczenie szyte na miarę to przyszłość szczególnie dla chorób rzadkich.

**Organizacje pacjenckie i eksperci zwracają uwagę na rozszerzenie obecnego katalogu skriningu noworodków pod kątem chorób rzadkich. Jak to wygląda obecnie, bo jeśli chodzi o lizosomalne choroby spichrzeniowe, to chyba takich badań jeszcze nie mamy?**

W katalogu badań przesiewowych noworodków aktualnie mamy 30 jednostek chorobowych, w tym 26 stanowią wrodzone wady metabolizmu. Przymierzamy się do takich badań w chorobie Gauchera, Fabry'ego, Pompego, mukopolisacharydo-

zie typu I oraz w galaktozemii i ciężkim złożonym zaburzeniu odporności (SCID). To nie będzie łatwe, ponieważ diagnostyka przedobjawowa w powyższych chorobach niesie ze sobą wiele wyzwań. W przypadku lizosomalnych chorób spichrzeniowych należą do nich m. in. trudna diagnostyka różnicowa, brak dostępnych analiz weryfikujących podejrzenie choroby, konieczność wieloletniego monitorowania pacjentów w ośrodkach referencyjnych z określeniem optymalnego czasu rozpoczęcia specyficznej terapii. Najpierw planowane jest wprowa-

**Jak wyglądamy na tle innych krajów europejskich, jeśli chodzi o programy przesiewowe noworodków?**


Mamy się czym chwalić. Zarówno w przypadku diagnostyki przedobjawowej, jak i wczesnoobjawowej. Eksperti z innych krajów nawet proszą nas o podzielenie się z nimi informacjami na temat naszych programów pilotażowych i późniejszymi doświadczeniami realizacji badań populacyjnych. Jest to wyraz docenienia jakości prowadzonego ogólnopolskiego programu badań

dla Chorób Rzadkich. W wielu przypadkach tę opiekę dałoby się z powodzeniem realizować w warunkach domowych, ponieważ mamy już takie terapie, które nie wymagają pobytu w szpitalu. Dla kogoś, kto chce prowadzić aktywne życie – głównie dotyczy to dorosłych – takie możliwości leczenia domowego mają ogromne znaczenie. Inna sprawa, że niektórzy pacjenci wolą leczyć się w warunkach szpitalnych i przyjeżdżać na podanie leku kilka razy w miesiącu. No, ale najważniejsze, żeby mieli wybór.

**Jak Pani widzi rolę telemedycyny w opiece nad chorymi z chorobami rzadkimi? Czy ze względu na ich specyfikę jest to w ogóle możliwe?**

Jak najbardziej. Jednak musi to być świetnie zorganizowane na każdym etapie. Telemedycyna może się doskonale sprawdzić np. w konsultacjach ekspertów, bo, przypomnę, choroby rzadkie wymagają współpracy wielu specjalistów z różnych dziedzin medycyny, omawiania konkretnych przypadków, wymiany doświadczeń. Także w nawiązaniu do przeniesienia części opieki klinicznej do opieki domowej, telemedycyna będzie przydatna i umożliwi odciążenie, również finansowe, dla całego systemu.

**Poprawa diagnostyki i terapii w chorobach rzadkich wydaje się więc nie możliwa bez zmian systemowych?**

Zmiany systemowe są konieczne, a tą drogą jest Plan dla Chorób Rzadkich. Są tam zapisy, które, jeśli będą bez opóźnień realizowane, z pewnością poprawią sytuację chorych i ich rodzin. Bo tu nie wystarczy okazjonalne akcje czy tylko ratunkowe procedury dostępu do leków sierocych. I dobrze, że choroby rzadkie przestały być niewidzialnymi chorobami. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **BOŻENA STASIAK**

**To, że możemy rozpoznawać chorobę na etapie, gdy nie pojawiły się objawy, i już w tym momencie zacząć ją leczyć, to ogromny sukces medycyny.**

dzenie programu pilotażowego, a po ocenie jego wyników podjęcie decyzji o kontynuacji skринingu noworodkowego w całej populacji. Optymistycznie patrząc, plan pilotażowy mógłby się rozpocząć jeszcze w tym roku.

**Na czym polega skринing noworodków i jakie ma on znaczenie?**

Skринing noworodków to program badań przesiewowych wykonywanych u wszystkich nowo narodzonych dzieci. Dzięki badaniom przesiewowym noworodków ewentualną chorobę można wcześniej zidentyfikować, a więc wcześniej zacząć dziecko leczyć, zanim ujawnią się objawy kliniczne. Istnieją dowody naukowe na to, że tak wczesnie wdrożone leczenie poprawia rokowanie i przede wszystkim ratuje dzieciom życie. Dzięki skринingowi noworodków nie dochodzi do rozwinięcia się ciężkich objawów i powikłań, które w przypadku chorób rzadkich są często nieodwracalne. To, że możemy rozpoznawać chorobę na etapie, kiedy jeszcze nie pojawiły się objawy, i już w tym momencie zacząć ją leczyć, to ogromny sukces medycyny, to przykład dobrze zorganizowanych działań prewencyjnych – profilaktyki wtórnej. To jedno z największych osiągnięć w dziedzinie zdrowia publicznego. Badania przesiewowe to więcej niż pobranie krwi na bibułę przesiewową i wykonania analizy laboratoryjnej. Konieczne jest przeprowadzenie badań laboratoryjnych, które weryfikujemy, najczęściej potwierdzając podejrzenie wykrytej choroby.

przesiewowych noworodków, w całości finansowanego przez Ministerstwo Zdrowia.

**W wielu przypadkach postawienie prawidłowej diagnozy, to, jak sygnalizują opiekunowie chorych dzieci, dopiero początek terapeutycznej odysei. Dla wielu zaczyna się droga przez mękę, a głównie chodzi o trudności w dotarciu do leczenia... Co więc należałoby tu zmienić? Powiedziałam o dzieciach, ale ten problem mają również dorośli z chorobami rzadkimi.**

Specyfiką chorób rzadkich jest niestety opóźnione rozpoznanie oraz niewystarczająca dostępność właściwych terapii. Różnicowanie geograficzne odgrywa tu spora rolę. Problem tzw. odysei diagnostycznej sam by się zlikwidował, gdybyśmy mieli wystarczającą liczbę ośrodków referencyjnych. I o to też zabiegamy. Ale konieczne są w ogóle zmiany systemowe w organizacji opieki nad osobami z chorobami rzadkimi – i te propozycje znajdują się w Planie



**Dr hab. n. med. Jolanta Sykut-Cegielska**

– profesor IMiD w Warszawie; w życiu zawodowym od ponad 30 lat opiekuje się pacjentami z rzadkimi wrodzonymi wadami metabolizmu. Kierownik Kliniki Wrodzonych Wad Metabolizmu i Pediatrii w Instytucie Matki i Dziecka. Była założycielem i przewodniczącą zarządu Polskiego Towarzystwa Wrodzonych Wad Metabolizmu,

## Co to jest za schorzenie – PBC – i kogo najczęściej dotyka?

Pierwotne zapalenie dróg żółciowych, często określane angielskim skrótem PBC (ang. *Primary Biliary Cholangitis*), to tajemnicza rzadka choroba wątroby, którą najczęściej rozpoznajemy u kobiet w wieku 40-50 lat. Stanowią one ponad 90 proc. chorujących. Z nieznanых przyczyn przebieg choroby u mężczyzn jest znacznie cięższy.

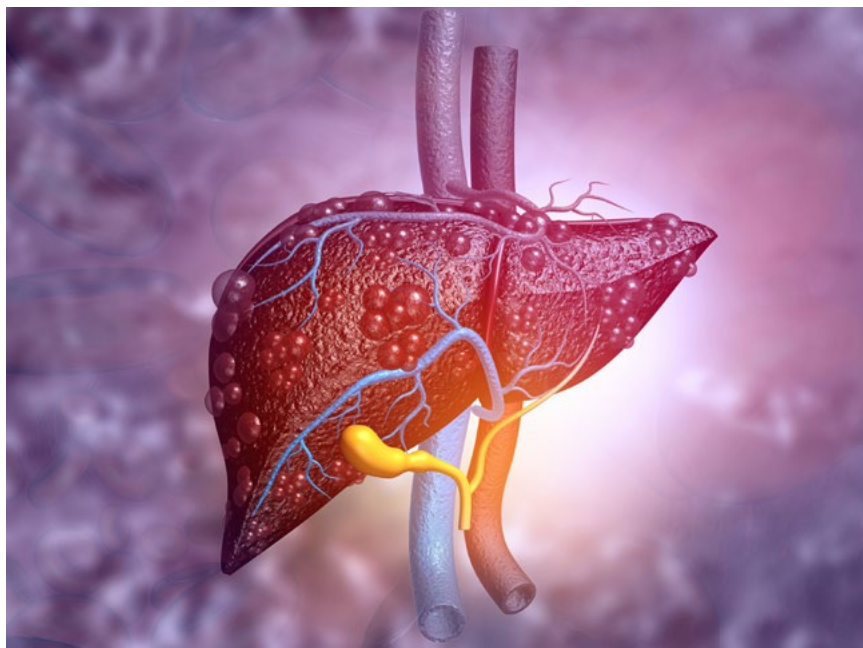
PBC wymyka się ze stereotypu typowej choroby rzadkiej, która zwykle kojarzy się z silną predyspozycją genetyczną oraz rozpoznaniem w okresie wczesnego dzieciństwa. Nigdy nie rozpoznano PBC u dziecka. Nie mamy precyzyjnych danych dotyczących występowania PBC w naszym kraju, a na podstawie badań pochodzących z krajów Europy Zachodniej czy Stanów Zjednoczonych zakłada się, że występuje ona u ok. 400 osób na milion. Chociaż jej etiologia nie jest do końca poznana, uważa się, że jest to schorzenie o podłożu autoimmunologicznym, w którym dochodzi do uszkodzenia drobnych przewodników żółciowych, co uruchamia kaskadę niekorzystnych zdarzeń prowadzących do uszkodzenia wątroby i w konsekwencji jej marskości, a nawet konieczności przeszczepienia tego narządu.

### Jakie są objawy kliniczne choroby?

W ciągu ostatnich kilku dekad dość wyraźnie zmieniły się objawy kliniczne, z jakimi zgłaszają się do lekarza pacjenci cierpiący na tę chorobę. Warto wspomnieć, że jeszcze do niedawna określaliśmy ją jako pierwotną marskość wątroby (ang. *Primary Biliary Cirrhosis*) z uwagi na to, że klasyczne opisy schorzenia dotyczyły pacjentek z zaawansowanym przez chorobę uszkodzeniem wątroby, nierzadko z objawami nasilonej żółtaczki, wyniszczenia, wodobrzusza czy typowych dla zaawansowanej niewydolności wątroby zaburzeń świadomości, które nazywamy encefalopatią wątrobową. Aktualnie dzięki postępowi w diagnostyce i chociaż wciąż niewystarczającej, ale dużo większej świadomości lekarzy chorobę rozpoznajemy na wcześniejszych etapach, zanim dojdzie do rozwoju jej katastrofalnych powikłań. Klinicznie dwa najczęstsze objawy tego schorzenia to przewlekłe zmęczenie i świąd skóry.

### Przewlekłe zmęczenie i świąd skóry?

**Nie są to objawy, które mogą kojarzyć się z chorobą wątroby.**



# PBC – przewlekłe zmęczenie i świąd

Rozmowa z **PROF. PIOTREM MILKIEWICZEM**, twórcą Centrum Leczenia Chorób Rzadkich Wątroby WUM.

Tak, to prawda, te objawy nie kojarzą się większości pacjentów, ale również i wielu lekarzom z problemem dotyczącym wątroby, co niestety często opóźnia postawienie rozpoznania, nierzadko o wiele miesięcy. Na podstawie mojego, już ponad 30-letniego doświadczenia w leczeniu pacjentów z chorobami wątroby muszę stwierdzić, że przewlekłe zmęczenie to jeden z najbardziej lekceważonych przez nas, lekarzy, objawów klinicznych. Każdy z nas jest okresowo przemęczony i wydaje nam się, że jest w tym stanie coś naturalnego, ponieważ po okresie wypoczynku ten objaw ustępuje. W przypadku PBC jest inaczej – zmęczenie nie ustępuje nawet po w pełni przespanej nocy. Nie jest to jednak objaw specyficzny wyłącznie dla pierwotnego zapalenia dróg żółciowych. Przewlekłe zmęczenie występuje również w innych schorzeniach o podłożu autoimmunologicznym, takich jak choroba Hashimoto, reumatoidalne zapalenie stawów, toczeń rumieniowaty czy stwardnienie rozsiane. Jest to objaw, który w skrajnych przypadkach może całkowicie

wyeliminować pacjenta z normalnego funkcjonowania, pracy czy życia w ogóle. Według aktualnego stanu wiedzy ma on niewiele wspólnego ze zmęczeniem mięśni, ale ma charakter ośrodkowy. Oznacza to, że jakieś bliżej niepoznane czynniki, najpewniej związane z reakcjami autoimmunologicznymi, oddziałują bezpośrednio na mózg, powodując uczucie permanentnego zmęczenia.

### Czy dysponujemy narzędziami, które mogą pozwolić na precyzyjniejsze określenie nasilenia przewlekłego zmęczenia?

Tak, służą do tego przeznaczone kwestionariusze. W naszym ośrodku posługujemy się nimi na co dzień. Niestety, ponieważ nie znamy dokładnej przyczyny tego objawu, trudno jest nam w bardziej efektywny sposób pomóc pacjentom. Nasze ostatnie analizy wykazały, że u około 30 proc. pacjentek z PBC przewlekłe zmęczenie występuje w stopniu nasilonym, upośledzającym codzienne funkcjonowanie.




## Wspomniał Pan o badaniach naukowych. Czy ośrodek prowadzi badania naukowe dotyczące przyczyn PBC?

Tak, jako Centrum Leczenia Chorób Rzadkich WUM jesteśmy częścią sieci europejskich ośrodków referencyjnych z zakresu chorób rzadkich wątroby (*European Reference Network – RARE LIVER*). Jest to grupa wiodących w Europie ośrodków posiadających największe doświadczenie w leczeniu tych schorzeń. My skupiamy się

nazywanym często panelem wątrobowym, który może w znacznym stopniu przybliżyć rozpoznanie choroby. W skład tego panelu wchodzi oznaczenie enzymów wątrobowych takich jak: AST, ALT, ALP i GGTP. W kontekście PBC najważniejsze są ALP i GGTP – aktywność tych dwóch enzymów jest zwykle podwyższona w PBC. Z nieznanymi mi przyczyn ALP (fosfataza alkaliczna) nie jest rutynowo zlecana, a zwiększona aktywność GGTP zwykle kojarzy się lekarzom

(UDCA). Jednak nie wszyscy pacjenci odpowiadają na to leczenie.

## Co w takiej sytuacji? Jak można leczyć tych chorych?

Ocenia się, że u 35-40 proc. pacjentów z PBC nie uzyskamy adekwatnej odpowiedzi na leczenie UDCA. W takiej sytuacji rozważamy wdrożenie terapii drugiego rzutu. Przyznam, że z dużym zdumieniem, ale też zadowoleniem jako klinicysta zajmujący się na co dzień leczeniem chorób rzadkich wątroby obserwuję duże zainteresowanie w ostatnim okresie właśnie preparatami drugiego rzutu, które wspomagają odpowiedź na leczenie w PBC. W ostatnim roku-dwóch latach opublikowano wyniki dużych badań dotyczących preparatów drugiego rzutu, należących do grupy selektywnych agonistów receptora PPAR (ang. Peroxisome Proliferator-Activated Receptor). Wszystkie prace ukazały się w najlepszym na świecie czasopiśmie medycznym, jakim jest „New England Journal of Medicine”, co podkreśla zainteresowanie skutecznym leczeniem tej rzadkiej choroby. Aktualnie w Polsce zarejestrowane są dwa leki z grupy selektywnych agonistów receptora PPAR. Jak wykazują najnowsze doniesienia, jeden z nich może mieć również korzystny wpływ na przewlekłe zmęczenie – czekamy obecnie na szczegółowe wyniki tych analiz. Niestety, leki te nie są jeszcze w Polsce refundowane, dlatego aktualnie stosujemy inne preparaty o zbliżonym działaniu, jakimi są fenofibraty. Należy jednak podkreślić, że są one stosowane pozarejestrowanie, na zasadzie „off-label”, ponieważ nie posiadają udokumentowanego działania zgodnie z najwyższymi standardami. Niewątpliwie dostępność nowych terapii w ramach na przykład programu lekowego stanowiłaby silne wsparcie w naszej walce z tą rzadką i wciąż nieuleczalną chorobą, jaką jest PBC. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała ANNA KOPRAS-FIJOŁEK

## Dostępność nowych terapii w ramach np. programu lekowego stanowiłaby silne wsparcie w walce z tą rzadką i wciąż nieuleczalną chorobą, jaką jest PBC.

na chorobach rzadkich o podłożu autoimmunologicznym, a w naszej opiece znajduje się ponad 2000 pacjentów z tymi chorobami, co według mojej wiedzy stanowi największą grupę chorych leczonych w jednym ośrodku w krajach UE. W tej grupie znajduje się prawie 700 chorych z PBC. Inicjujemy i uczestniczymy w wielu międzynarodowych projektach mających na celu lepsze poznanie tych chorób, wśród których PBC zajmuje jedno z wiodących miejsc.

## Wróćmy do objawów PBC. Jako drugi wymienił pan świąd skóry. On też nie kojarzy się z chorobą wątroby.

Tak, świąd skóry może być pierwszym objawem PBC. Początkowo niewielki, z czasem może się nasilać. Nie jest on wywołany przez zmiany na skórze. Te pojawiają się w konsekwencji drapania i określamy je mianem przeczosów. Świąd skóry sprawia, że pacjentka kierowana jest na konsultację do dermatologa. W leczeniu stosowane są maści, które nie pomagają, i pacjenci kierowani są na konsultację do innych specjalistów. To prowadzi do znacznego opóźnienia rozpoznania i może mieć negatywny wpływ na rokowanie. W skrajnych przypadkach świąd może być tak silny, że pacjenci podejmują próby samobójcze.

## Jak wygląda kwestia rozpoznawania choroby? Czy lekarz POZ mógłby rozpoznać PBC, czy też postawienie diagnozy wymaga wizyty u specjalisty?

Lekarz rodzinny dysponuje podstawowym panelem badań laboratoryjnych,

z nadużywaniem alkoholu. Pytanie o ten problem pojawia się zawsze w rozmowie z pacjentem, u którego podwyższona jest aktywność GGTP, co wielu odbiera w negatywny sposób, uważając, że lekarz impetuje im problem z alkoholem. A zatem rutynowe wykonanie ALP byłoby tu bardzo pomoce. Do definitywnego postawienia rozpoznania konieczne jest wykonanie badań serologicznych i potwierdzenie obecności autoprzeciwciał przeciwmitochondrialnych (AMA) lub specyficznych dla PBC przeciwciał przeciwjądrowych (ANA). Te badania są już w gestii specjalisty gastroenterologa.

## W jaki sposób leczy się PBC? Czy można doprowadzić do całkowitego wyleczenia tej choroby?

Niestety, nie dysponujemy terapiami, które mogłyby wyleczyć PBC. PBC pozostaje chorobą nieuleczalną. Tym niemniej u znacznego odsetka pacjentek udaje nam się skutecznie kontrolować przebieg choroby, nierzadko prowadząc do jej regresji, czyli znacznej poprawy nie tylko w obrazie klinicznym, ale również w zmniejszeniu się uszkodzenia wątroby. Lekiem pierwszego wyboru jest kwas ursodeoksycholowy



## Prof. dr hab. n. med. Piotr Milkiewicz

– kierownik Kliniki Hepatologii i Chorób Wewnętrznych Katedry Chirurgii Ogólnej, Transplantacyjnej i Wątroby Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego, twórca Centrum Leczenia Chorób Rzadkich Wątroby WUM.

**Zespół Alagille'a to choroba rzadka, genetycznie uwarunkowana, obejmująca wiele narządów. Już w pierwszych miesiącach życia najczęściej ujawniają się objawy choroby. Na co trzeba zwrócić uwagę?**

To choroba, która obejmuje wiele narządów, a jej objawy bardzo często pojawiają się już w pierwszych miesiącach życia dziecka. Najczęściej jest to cholestaza, czyli upośledzenie wydzielania żółci z wątroby, które prowadzi do kumulacji toksycznych kwasów żółciowych w wątrobie i pojawienia się żółtaczki. Mogą nawet pojawić się odbarwione (szare lub jasnożółte) stolce, co zawsze wymaga pilnej diagnostyki w warunkach szpitalnych. Następnie może rozwinąć się świąd skóry, jednak w pierwszych miesiącach życia dziecko nie ma rozwiniętego odruchu drapania, zatem jest on trudny do oceny. Po 6. miesiącu życia świąd zazwyczaj jest już widoczny, a dziecko, drapiąc się, powoduje głębokie uszkodzenia skóry.

To są objawy ze strony wątroby, jednak – jak wspominałem – choroba ma charakter wielonarządowy. Mogą pojawiać się problemy kardiologiczne wynikające z wad układu krążenia. Charakterystyczne są zwężenia tętnicy płucnej, ale występować też mogą inne wady serca, jak tetralogia Fallota, izolowany ubytek

# Rodzice nie pamiętają, czym jest przespana noc

– mówi **PROF. PIOTR CZUBKOWSKI** z Kliniki Gastroenterologii, Hepatologii i Zaburzeń Odżywiania i Pediatrii Instytutu „Pomnik-Centrum Zdrowia Dziecka”.

Jeśli jednak takiemu wyglądowni towarzyszy cholestaza i wady serca, to z dużym prawdopodobieństwem można postawić diagnozę zespołu Alagille'a jeszcze przed rozszerzeniem diagnostyki o badania genetyczne.

U niektórych osób występują też wady układu moczowego, zaburzenia funkcji nerek, wady układu kostnego, jak charakterystyczne kręgi motyle, które widzimy w badaniach radiologicznych. Jednak ekspresja genów odpowiedzialnych za chorobę jest zmienna, stąd również

nych nasilenie cholestazy stabilizuje się po okresie niemowlęcym i nie prowadzi do postępującego uszkodzenia wątroby. Jednak 20-30 proc. pacjentów może wymagać transplantacji wątroby, a w ciągu całego życia jest to konieczne u ok. połowy pacjentów. Głównym wskazaniem do przeszczepienia tego narządu są powikłania przewlekłej cholestazy i marskości wątroby oraz świąd skóry. Często dochodzi do zaburzeń wzrastania, dużych niedoborów witamin, patologicznych złamań. Jeśli jednak chodzi o objawy, to na pierwszym miejscu jest uporczywy świąd skóry, bardzo trudny w leczeniu.

**Największą zmartwieniem pacjentów i ich rodzin na co dzień jest świąd. Trudno to sobie wyobrazić, jeśli tego się nie zobaczy. To jest walka o to, żeby było jak najmniej blizn po zadrapaniach, żeby dzieci nie drapały się w nocy.**

**Z czym na co dzień zmagają się pacjenci i ich rodziny?**

Największą zmartwieniem pacjentów i ich rodzin na co dzień jest świąd. Trudno to sobie wyobrazić, jeśli tego się nie zobaczy. To jest walka o to, żeby było jak najmniej blizn po zadrapaniach, żeby dzieci nie drapały się w nocy. Rodzice nie pamiętają, co to znaczy przespana noc, śpią z dziećmi po to, żeby je od czasu do czasu lekko podrapać, żeby one były w stanie spać i nie wybudzały się z powodu świądu. To przekłada się na funkcjonowanie całych rodzin, ale przede wszystkim na jakość życia chorych dzieci. Dochodzi tu przewlekłe zmęczenie, trudności w szkole, problemy z adaptacją, z komunikacją z rówieśnikami. Powoduje to szereg problemów psychologicznych i psychiatrycznych. Czasami sam świąd skóry jest bezpośrednim wskazaniem do transplantacji wątroby.

przegrody międzykomorowej czy międzyprzedsionkowej. U części pacjentów uwagę może zwrócić charakterystyczny wygląd twarzy.

**Co jest tak charakterystycznego w wyglądzie dzieci z zespołem Alagille'a?**

Wydatne czoło, głęboko osadzone oczy, punktowy podbródek, wygląd twarzy, na który „wyczuleni” są hepatolodzy dziecięcy. Nie oznacza to jednak, że wszyscy pacjenci mają taki wygląd, poza tym z wiekiem te cechy mogą się zmienić.

objawy choroby mogą być różne u poszczególnych pacjentów. Zdarza się, że u rodzica diagnozujemy zespół Alagille'a dopiero po postawieniu diagnozy u dziecka, gdyż rodzice właściwie nie mają objawów choroby, są tylko nosicielami genów. Chorobę dziedziczy się w sposób autosomalnie dominujący, ale ze zmienną penetracją i ekspresją genetyczną, i w konsekwencji różnym obrazem klinicznym.

Nie wszyscy zatem chorują tak samo – są pacjenci, u których na pierwszy plan wychodzą problemy kardiologiczne. U in-



### Jak wielu pacjentów z zespołem Alagille’a jest w Polsce, jak wielu jest zdiagnozowanych?

W rejestrze IPCZD znajduje się ponad 100 pacjentów z zespołem Alagille’a – większość z nich to już osoby dorosłe. Jesteśmy ośrodkiem, który ma pod opieką najwięcej pacjentów w Polsce. Szacuje się, że rocznie rodzi się ok. 5 osób z tą chorobą, choć jest to trudno oszacować, gdyż nie u wszystkich od razu rozwijają się objawy. Nie były też wykonywane szeroko zakrojone badania populacyjne.

### Czy ostateczne postawienie diagnozy jest możliwe dzięki badaniu genetycznemu? Jaki jest dostęp do takiej diagnostyki?

Rozpoznanie stawia się na podstawie objawów klinicznych – jeśli pacjent ma przynajmniej trzy charakterystyczne cechy kliniczne, to z dużym prawdopodobieństwem możemy zdiagnozować zespół Alagille’a. Badanie genetyczne należy jednak zawsze wykonać celem potwierdzenia rozpoznania oraz określenia typu mutacji. Szybka diagnostyka różnicowa jest ważna przede wszystkim u dziecka z cholestazą występującą zaraz po urodzeniu. Podobne objawy mogą wystąpić przy atrezji dróg żółciowych, która jest najczęstszą przyczyną cholestazy niemowlęcej i wymaga jak najszybszego leczenia chirurgicznego. Z kolei jeśli u dziecka z zespołem Alagille’a przeprowadzi się zabieg operacyjny stosowany w atrezji dróg żółciowych, to pogarsza się rokowanie. Niestety, zdarzają się takie pomyłki.

### Jak do tej pory wyglądało leczenie pacjentów z cholestazą w przebiegu tej choroby?

Do czasu niedawno wprowadzonych na rynek inhibitorów transportera kwasów żółciowych w jelicie cienkim (ang. ileal bile acid transporter, IBAT) leczenie świądu najczęściej opierało się na stosowaniu: kwasu ursodeoksycholowego (UDCA), rifampicyny i cholestyraminy. Leki stosowane w przypadku świądu były poza wskazaniami rejestracyjnymi. Najczęściej ich skuteczność jest ograniczona i przejściowa, mają też działania niepożądane, np. rifampicyna to antybiotyk mający też pewną hepatotoksyczność. Podawaliśmy go jednak, ponieważ był to lek, który miał stosunkowo największą skuteczność.


### Pojawiły się niedawno nowe możliwości terapii. Jakie korzyści niosą dla pacjentów?

Niedawno pojawiła się grupa nowych leków – wspomnianych już inhibitorów IBAT. Ich działanie polega na zablokowaniu zwrotnego wchłaniania jelitowego kwasów żółciowych, które w warunkach

fizjologicznych w 95 proc. wracają do krążenia wątrobowo-jelitowego. Leki wykazały wysoką skuteczność i bezpieczeństwo w terapii opornej na leczenie świądu w przebiegu zespołu Alagille’a. Są one zarejestrowane w Polsce i wskazane w międzynarodowych rekomendacjach jako leki pierwszego zastosowania w zespole Alagille’a.

Leczenie chirurgiczne, polegające na zewnętrznym czy też wewnętrznym odprowadzaniu żółci, w zespole Alagille’a ma ograniczoną skuteczność i może być proponowane jedynie w wyjątkowych sytuacjach bez innych możliwości terapeutycznych. Dalej pozostaje już tylko transplantacja wątroby. W obliczu tych alternatyw skuteczne leczenie inhibitorami IBAT jest przełomowe. Wykazano, że nie tylko redukuje nasilenie świądu u większości pacjentów, ale również może korzystnie wpływać na czas przeżycia bez konieczności transplantacji. Należy dążyć do tego, by wszyscy pacjenci z zespołem Alagille’a mający cholestazę i świąd skóry mieli dostęp do tego leczenia.

### Pacjenci w Polsce mogli już stosować takie leczenie w ramach badań klinicznych – jakie były efekty?

Efekty były naprawdę spektakularne: bardzo szybko po włączeniu leczenia, nawet w ciągu 1-2 tygodni, występuje znaczna poprawa: ustępuje świąd. To były nieprawdopodobne sytuacje: rodzice byli niezwykle wzruszeni, że coś takiego się wydarzyło – wcześniej nie pamiętali przespanej nocy. To była zupełna zmiana ich jakości życia: bardzo wysoka skuteczność leczenia i ustąpienie najbardziej przykrych objawów. Badania kliniczne jednak się skończyły, chcielibyśmy umożliwić takie leczenie kolejnym pacjentom. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **KATARZYNA PINKOSZ**



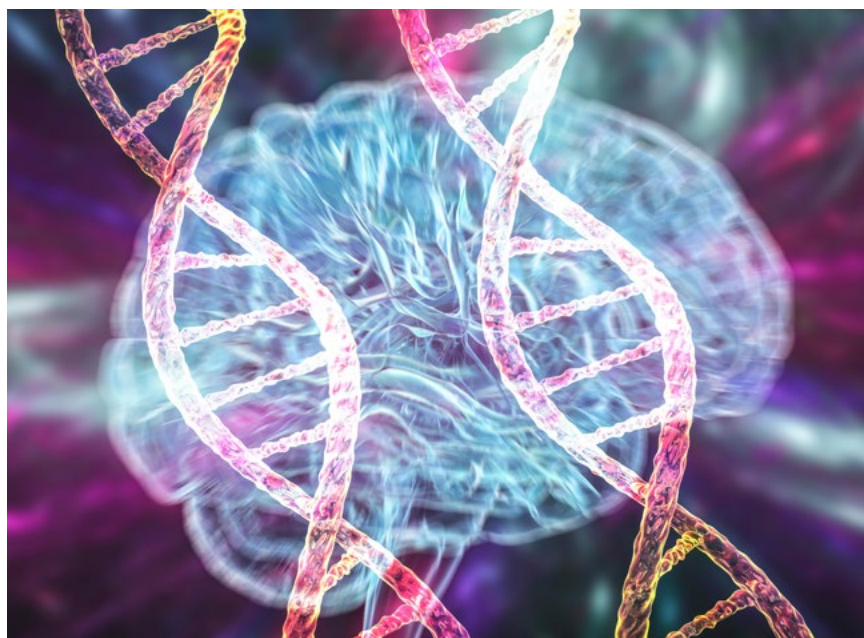
### Dr hab. n. med. Piotr Czubkowski

– profesor Instytutu „Pomnik Centrum Zdrowia Dziecka”, pracuje w Klinice Gastroenterologii, Hepatologii, Zaburzeń Odżywiania i Pediatrii, stypendysta University of California San Francisco i King’s College Hospital, Londyn.



# Jest lek, który ratuje życie i przywraca zdrowie

Rozmowa z **PROF. MARIĄ MAZURKIEWICZ-BEŁDZIŃSKĄ**, przewodniczącą Zarządu Głównego Polskiego Towarzystwa Neurologów Dziecięcych.



MLD jest autosomalną chorobą recesywną. Oznacza to, że dziecko musi odziedziczyć wadliwy gen od obojga rodziców. MLD dotyka zarówno chłopców, jak i dziewczynki. Częstość występowania MLD w Europie wynosi 1 na 40 000 – 1 na 100 000. W Polsce nie ma rejestru pacjentów z MLD, w związku z tym nie ma danych epidemiologicznych dotyczących naszego kraju. Jeśli przyjmiemy, że choroba występuje z częstością jednego przypadku na 40 tys., oznacza to, że rocznie na świat przychodzi w Polsce kilkoro dzieci z MLD.

## Jaką rolę odgrywa neurolog dziecięcy w diagnozowaniu chorób rzadkich?

Większość chorób rzadkich – 70-75 proc. – dotyczy sfery neurologicznej, a inne choroby rzadkie również wpływają na rozwój układu nerwowego – zarówno ośrodkowego, jak i obwodowego. Biorąc więc pod uwagę to, że diagnozę oraz interwencję medyczną należy zacząć jak najwcześniej, rola neurologa dziecięcego jest kluczowa. Chorobę rozpoznaje się obecnie na podstawie objawów klinicznych. Testem ostatecznie potwierdzającym MLD jest badanie laboratoryjne aktywności enzymu ARSA i pomiar stężenia sulfatydów oraz badanie genetyczne, które stwierdza występowanie nieprawidłowości w obrębie genu ARSA.

## Czy w przypadku MLD możemy skorzystać z wzorcowo funkcjonującego już w Polsce programu leczenia pacjentów na inną rzadką chorobę genetyczną – rdzeniowy zanik mięśni (SMA)? Co można powielić? Co należy zrobić inaczej?

Program leczenia SMA faktycznie działa bardzo dobrze. Jeśli chodzi o założenia strategiczne, to warto się na nim wzoro-

**L**eukodystrofia metachromatyczna (metachromatic leukodystrophy, MLD) to ultrarządka, zagrażająca życiu, dziedziczna choroba neuro-metaboliczna. Nieleczona jest śmiertelna.

Osoby cierpiące na MLD mogą doświadczać różnorodnych problemów, takich jak trudności z mobilnością, zachowaniem i nauką. W miarę postępu choroby pojawiają się coraz większe problemy z poruszaniem się, mówieniem, połykaniem, jedzeniem oraz widzeniem. Objawy, wiek ich wystąpienia oraz tempo postępu choroby różnią się w zależności od postaci MLD i obszarów mózgu, które są nią dotknięte. Najczęstszą formą jest postać o wczesnym początku – u ponad połowy osób z MLD symptomy choroby występują przed ukończeniem 3. roku życia.

MLD jest skutkiem mutacji w genie arylosulfatazy A (ARSA), która powoduje

gromadzenie się substancji zwanych sulfatydami w różnych częściach ciała, w tym w mózgu, nerwach obwodowych, a także w narządach, takich jak wątroba, pęcherzyk żółciowy i nerki. Gromadzenie się sulfatydów uszkadza osłonkę mielinową – ochronną warstwę otaczającą nerwy. Zniszczenie mieliny zakłóca prawidłowe przekazywanie sygnałów w układzie nerwowym, co prowadzi do poważnych problemów neurologicznych, takich jak utrata zdolności ruchowych, trudności z mówieniem, a w zaawansowanych stadiach choroby – utrata podstawowych funkcji życiowych. Oprócz objawów neurologicznych kumulacja sulfatydów może również powodować manifestację trzewną. Najczęściej obserwuje się zajęcie pęcherzyka żółciowego w postaci pogrubienia jego ściany czy zapalenia pęcherzyka żółciowego.

## Terapia genowa w MLD

Terapia genowa została zatwierdzona przez Europejską Agencję Leków w 2020 r. do leczenia pacjentów z postacią późnoniemowlęcą przedobjawową oraz wczesnomłodzieńczą przedobjawową lub wczesnoobjawową (dla dzieci z wczesną młodzieńczą postacią MLD z wczesnymi objawami klinicznymi choroby, które mogą nadal poruszać się samodzielnie i u których nie pogorszyła się sprawność umysłowa).

Terapia genowa w MLD (atidarsagen autotemcel) jest rodzajem leku działającego poprzez dostarczanie genów do organizmu pacjenta. Substancję czynną stanowią komórki macierzyste (komórki CD34+), pochodzące z własnego szpiku kostnego lub krwi pacjenta, które zostały zmodyfikowane tak, aby zawierały kopię genu produkującego ARSA i mogły dzielić się w celu wytwarzania innych typów krwinek.

Terapia genowa w leczeniu MLD jest terapią autologiczną, ex vivo własnych komórek macierzystych pacjenta. Jest wytwarzana dla konkretnego pacjenta. To medycyna spersonalizowana, z której może skorzystać tylko konkretny pacjent.

wać. Natomiast żeby było dla wszystkich oczywiste, należy podkreślić, że sposoby leczenia obu grup pacjentów – z SMA i z MLD – są zupełnie różne, bo są to różne choroby. Rozpoznanie i leczenie w obu chorobach jest całkiem inne.

To, co należałoby zrobić, to podobnie jak w programie leczenia pacjentów z SMA wprowadzić przesiew noworodkowy w kierunku leukodystrofii metachromatycznej, dlatego że jest to taka choroba, w której, gdy już pojawią się jej objawy, to często jest za późno, żeby dziecko leczyć skutecznie.

Potrąfilibyśmy w Polsce wykrywać tę chorobę w przesiewie. Na świecie badania skriningowe już się odbywają w formie pilotażu. Gdyby w naszym kraju zostało wdrożone badanie przesiewowe, konieczne byłoby następnie utworzenie specjalistycznego ośrodka, gdzie pacjenci byłiby pod kompleksową opieką medyczną.

Leczenie polega na terapii genowej, ale zupełnie innej niż ta, którą mamy dostępną w SMA.

**Jak powinna wyglądać ścieżka pacjenta z MLD w polskich warunkach? Czy widzi Pani Profesor tu rolę również dla pediatry, lekarzy innych specjalizacji, np. gastroenterologów, biorąc pod uwagę, że MLD może manifestować się w wątrobie bądź w pęcherzyku żółciowym?**

Ta ścieżka pacjenta jest w założeniu bardzo prosta. Badanie przesiewowe, czyli zbadanie wszystkich noworodków pod kątem obecności wadliwego genu powodu-

jącego leukodystrofię metachromatyczną, i skierowanie dziecka, u którego zostanie wykryta choroba, do specjalistycznego ośrodka. Pacjent pozostaje w nim pod opieką neurologa, często hematologa (konieczność przeszczepu), gastrologa.

Obecnie, kiedy nie mamy programu badań przesiewowych, to pediatra lub lekarz rodzinny często pierwszy stwierdza u dziecka nieprawidłowości rozwoju psychoruchowego. Pacjenta z podejrzeniem MLD należy pilnie skierować na diagnostykę w warunkach oddziału neurologii dziecięcej lub chorób metabolicznych.

**Dlaczego przesiew noworodkowy stanowi paradygmat diagnostyczny w leczeniu MLD, który pozwala na poprawę wyników leczenia w grupie pacjentów z MLD?**

Przesiew ma sens u pacjentów z taką chorobą, która jest uleczalna. A MLD jest uleczalna. Warunkiem maksymalnie skutecznej terapii jest rozpoczęcie leczenia MLD w fazie bezobjawowej, to znaczy jeśli leczenie rozpocznie się przed wystąpieniem pierwszych objawów choroby.


## Jakie są metody leczenia leukodystrofii metachromatycznej?

Terapia genowa jest jedynym skutecznym sposobem leczenia dostępnym w MLD. Są również próby przeszczepiania szpiku w formie alloprzeszczepu – jest to rodzaj transplantacji, w której dawcą jest osoba spokrewniona z pacjentem lub niespokrewniona. Przeszczepuje się u pacjentów już objawowych, należy przy tym zaznaczyć, że tym dzieciom nie przywrócimy już zdrowia. Nie jest to terapia lecząca, tylko poprawiająca jakość życia i spowalniająca postęp choroby.

Uważa się, że terapię genową można również zastosować na etapie wystąpienia pierwszych objawów, w fazie tzw. skąpoobjawowej, licząc na bardzo dobre rezultaty powstrzymujące chorobę, jednak nie tak optymistyczne, jak w momencie przeprowadzenia terapii w fazie bezobjawowej. Od momentu rozwinięcia się pełnych objawów choroby terapia polega głównie, jak wspomniałam, na jej spowolnieniu i leczeniu objawów oraz poprawie komfortu życia.

Obecnie wczesne wykrycie MLD, na etapie bezobjawowym lub skąpoobjawowym, możliwe jest wyłącznie w rodzinach, w których starsze dzieci chorowały na tę chorobę.

Jedynym testem, który pozwoliłby stwierdzić MLD dostatecznie wcześnie u wszystkich dzieci poprzez szybkie i skuteczne wykrywanie bezobjawowych chorych jest badanie przesiewowe u noworodków. Obecnie w Polsce w ten sposób skutecznie wykrywa się 30 różnych chorób metabolicznych u dzieci.

Lek jest dostępny. Teraz potrzebne jest wdrożenie programu badań przesiewowych noworodków. I moim marzeniem jest, żeby taki pilotażowy program w Polsce się pojawił. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **AGNIESZKA FEDORCZYK**



## Prof. dr hab. n. med. Maria Mazurkiewicz-Betdzińska

– neurolog i neurolog dziecięcy, kierownik Kliniki Neurologii Rozwojowej GUMed, przewodnicząca Zarządu Głównego Polskiego Towarzystwa Neurologów Dziecięcych. Jest laureatką m.in. Nagrody Głównej Wizjonerzy Zdrowia 2024.

**Przewlekła obturacyjna choroba płuc (POChP) jest trzecią przyczyną zgonów na świecie. To wpływ palenia papierosów i zanieczyszczonego powietrza, jakim oddychamy?**

Od kilkudziesięciu lat wiemy, że palenie papierosów jest odpowiedzialne m.in. za rozwój takich chorób płuc jak przewlekła obturacyjna choroba płuc. POChP to jedna z najczęstszych chorób przewlekłych, najczęstsza przewlekła niezakaźna choroba układu oddechowego. Palenie papierosów odpowiada też w głównej mierze za raka płuca, który jest najczęstszą przyczyną zgonów nowotworowych w Polsce.

Zanieczyszczenie powietrza to drugi najpoważniejszy czynnik ryzyka – zanieczyszczone powietrze też sprzyja rozwojowi typowego dla POChP zapalenia w drogach oddechowych, ale też jest czynnikiem ryzyka nowotworów płuc i zaostrzeń astmy. Ma też wpływ na choroby układu krążenia, gdyż drobne cząstki pyłów zawieszonych PM<sub>2,5</sub>, PM<sub>10</sub>, tlenki azotu oraz metale ciężkie, które wdychamy wraz z zanieczyszczonym powietrzem, przenikają do układu krążenia i uszkadzają śródbłonek naczyń krwionośnych. Zapobieganie i leczenie chorób układu oddechowego powinno być istotnym elementem działań na rzecz zdrowia.

**Zarówno jeśli chodzi o palenie papierosów, jak i o zanieczyszczenie powietrza, to w Polsce sytuacja nie jest dobra: jesteśmy w niechlubnej czołówce w Europie. Przekład się to na zachorowalność na POChP?**

To prawda, wciąż około 1/3 populacji pali papierosy, daleko nam do krajów skandynawskich, gdzie pali mniej niż 10 proc. społeczeństwa. Jeśli chodzi o zanieczyszczenie powietrza, to jedynie północne Włochy (Lombardia) mogą z nami pod tym niechlubnym względem „konkurować”. Są podejmowane działania na rzecz poprawy jakości powietrza, jednak postępują powoli. Z tych dwóch powodów zachorowalność na POChP w Polsce jest wysoka.

**Problemem jest też to, że POChP jest diagnozowana gdy jest zaawansowana. Jakie są tego konsekwencje?**

W ostatnich latach więcej mówi się o POChP, choroba jest już bardziej znana, jednak cały czas trzeba o niej poszerzać wiedzę, edukować społeczeństwo, lekarzy i decydentów.



## Każdy powinien wykonać spirometrię

Rozmowa z **PROF. PAWŁEM ŚLIWIŃSKIM**, kierownikiem II Kliniki Chorób Płuc Instytutu Gruźlicy i Chorób Płuc.

W większości przypadków rozpoznajemy POChP w stadium umiarkowanym, a zdarza się, że nawet ciężkim, kiedy pacjent ma już duże ograniczenia tolerancji wysiłku, duszność, a nawet cechy niewydolności serca, gdy niezbędne jest stosowanie tlenoterapii. Wciąż wykrywamy niewielu pacjentów z wczesną postacią choroby. To konsekwencja braku powszechnego wykonywania spirometrii – prostego badania, które służy ocenie objętości płuc i wielkości przepływu powietrza przez oskrzela, na podstawie których potwierdzamy rozpoznanie POChP. Spirometria jest też ważna z powodu innych chorób układu oddechowego, jak astma, choroby śródmiąższowe.

**Rozpoznanie POChP w późniejszych stadiach powoduje, że można zahamować postęp choroby, ale nie można jej cofnąć?**

POChP nie można cofnąć; choroba powoduje trwałe zwężenia oskrzeli (obturacyjną). Im wcześniej choroba zostanie rozpoznana, tym wcześniej można podjąć działania interwencyjne, np. nakłonić pacjenta do

zaprzestania palenia papierosów, rozpocząć leczenie, które w jak największym stopniu złagodzi objawy choroby, poprawi tolerancję wysiłku, wpłynie na poprawę jakości życia, a jednocześnie spowoduje, że pacjent będzie miał jak najmniej zaostrzeń choroby.

Późne rozpoznawanie powoduje to, że u pacjenta rozwijają się cechy niewydolności oddychania, które wymagają stosowania tlenoterapii czy nawet nieinwazyjnej wentylacji mechanicznej. To procedury skomplikowane, drogie, pogarszające komfort życia.

**Jakie zmiany w diagnostyce i leczeniu POChP przyniósł najnowszy raport GOLD (Global Initiative for Chronic Obstructive Lung Disease) 2025?**

W zakresie diagnostyki nie było dużych zmian – nadal kluczowym badaniem mającym na celu rozpoznanie POChP jest spirometria. W raporcie dużo mówi się też o badaniu TK klatki piersiowej w celu potwierdzenia zaawansowania radiologicznego choroby, oceny dystrybucji pęcherzy rozdmownych i rozpoznania chorób współistniejących z POChP, jak np. rozstrzenie oskrzeli.



Przełomową informacją z raportu GOLD 2025 jest informacja o nowych formach terapii. Od lat podstawą leczenia POChP jest stosowanie leków rozszerzających oskrzela z dwóch grup: cholinolityków i beta2-agonistów. Zaczynaliśmy od leków, które działały przez 6 godzin; obecnie stosujemy leki działające przez 24 godziny. Kolejną innowacją było umieszczenie dwóch leków rozszerzających oskrzela w jednym inhalatorze, dzięki czemu zmniejszyła się liczba inhalacji, jaką pacjent musi wykonywać w ciągu doby. Kolejną zmianą było dołączenie – dla pewnej populacji chorych – steroidów wziewnych do leków rozszerzających oskrzela.

Kolejną grupą leków od dawna stosowanych, ale ciągle niedocenianych w leczeniu POChP są leki mukoaktywne. Eksperti GOLD wskazują, że regularne leczenie tymi środkami dzięki ich działaniu antyoksydacyjnemu może zmniejszać częstość zaostrzeń choroby i poprawiać stan zdrowia pacjentów. W tej grupie leków na szczególną uwagę zasługuje erdosteina, której działanie może mieć znaczący wpływ na redukcję liczby zaostrzeń niezależnie od jednoczesnego leczenia wziewnymi glikokortykosteroidami.

Przełomem w terapii POChP jest wprowadzenie do algorytmu leczenia w tym roku nowej grupy leków – leków biologicznych. W 2024 r. w USA i Europie do leczenia chorych na POChP został zarejestrowany pierwszy lek biologiczny: dupilumab. To przeciwciało blokujące receptory dla interleukiny 4 i 13. Lek zmniejsza zapalenie typu drugiego, które jest wywoływane przez komórki zwane eozynocytami. To lek dla małej grupy chorych, u których w morfologii krwi wykryjemy podwyższoną powyżej 300 liczbę komórek kwasochłonnych w 1 µl krwi. W przypadku chorych, którzy w przeszłości doświadczali częstych zaostrzeń choroby, ta terapia znacznie zmniejsza ich liczbę. A – jak wspominałem – w POChP walczyliśmy nie tylko o złagodzenie duszności, poprawienie tolerancji wysiłku, ale też o zmniejszenie liczby zaostrzeń, które w istotny sposób przyspieszają rozwój choroby.

Drugim nowym lekiem, zaproponowanym w algorytmie leczenia GOLD 2025, jest ensifentrina: poprawia parametry wentylacyjne, ma też działanie przeciwzapalne. Nie jest jeszcze zarejestrowana w Europie.

**Personalizacja leczenia może poprawić wyniki terapii?**

Schematy leczenia zawarte w raporcie GOLD 2025 uwzględniają pewną indywidualizację leczenia. Personalizacja leczenia uwzględnia też takie kryteria, jak częstość i intensywność zaostrzeń choroby oraz nasilenie jej objawów. Do każdego pacjenta należy podchodzić indywidualnie, a to z pewnością poprawi wyniki terapii.

W przypadku osób, które nigdy nie paliły, nie są narażone na wdychanie zanieczyszczonego powietrza, uważam, że takie badanie powinno być wykonywane raz na pięć lat przed 50. rokiem życia, a później częściej, gdyż wraz z wiekiem ryzyko POChP rośnie. Postulowaliśmy również, by badanie spirometryczne było wykony-

## Wciąż wykrywamy niewielu pacjentów z wczesną postacią choroby. To konsekwencja braku powszechnego wykonywania spirometrii – prostego badania, na podstawie którego potwierdzamy POChP.

**W przypadku POChP ważne jest wczesne rozpoznawanie. Czy jest szansa na stworzenie programu badań przesiewowych w tym kierunku?**


Program badań przesiewowych w kierunku POChP próbowaliśmy forsować już w 2000 r.; przez dwa lata były one prowadzone i finansowane przez NFZ (polegały na wykonywaniu spirometrii). Niestety, potem zostały zaniechane. Od lat powtarzamy, że takie badania powinny być wykonywane przez lekarzy POZ. Obecnie są już finansowane przez NFZ; niestety lekarze POZ rzadko je wykonują. A bez tego trudno jest wcześniej rozpoznać POChP.

**Warto byłoby wprowadzić badania spirometryczne do badań profilaktycznych „Moje Zdrowie”, które mają być następcą „Profilaktyki 40 Plus”?**

Oczywiście; o to walczymy. Spirometria powinna być wykonywana w ramach profilaktyki, podobnie jak ocena stężenia cholesterolu czy badania glikemii. W przypadku osób palących papierosy i mających objawy ze strony układu oddechowego zalecałbym wykonywanie spirometrii raz w roku, by na wczesnym etapie wykryć zaburzenia wentylacyjne płuc.

wane w ramach badań medycyny pracy. Czekamy na wprowadzenie takich zmian.

**Zapowiadane jest wejście programu badań niskodawkową TK dla osób palących wiele lat papierosy. Czy w ten sposób też można wykryć POChP?**

Głównym celem wykonywania niskodawkowej tomografii komputerowej jest wczesne wykrywanie raka płuca. TK nie służy bezpośrednio do rozpoznania POChP, jednak można dzięki temu wykryć zmiany charakterystyczne dla POChP, jak obecność pęcherzy rozedmowych, zgrubienia ścian oskrzeli. Można też wywnioskować, czy pacjent ma cechy osteoporozy i choroby wieńcowej w postaci blaszek miażdżycowych w tętnicach wieńcowych. Jeśli badanie niskodawkowej TK będzie odpowiednio interpretowane, to może służyć wykrywaniu innych powszechnych chorób, nie tylko guzków w płucach. Podstawą w przypadku diagnostyki POChP jest jednak spirometria. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **KATARZYNA PINKOSZ**



### Prof. dr hab. n. med. Paweł Śliwiński

– kierownik II Kliniki Chorób Płuc Instytutu Gruźlicy i Chorób Płuc w Warszawie. Specjalista w dziedzinie chorób wewnętrznych, pulmonologii i alergologii

Tekst: **AGNIESZKA FEDORCZYK**

**P**rogram pilotażowy ambulatoryjnego leczenia gruźlicy wielolekoopornej rozpoczął się w Polsce w 2022 r. jako reakcja na potencjalne problemy związane z konfliktem zbrojnym na Ukrainie. Chcieliśmy przygotować nasz kraj do ewentualnych problemów w leczeniu chorych na gruźlicę, które mogły się pojawić. Uznaliśmy, że należy zapewnić ciągłość leczenia dla wszystkich osób przemieszczających się przez Polskę, m.in. dla uchodźców. Jednocześnie był to dobry moment na to, żeby poprawić strukturę leczenia gruźlicy wielolekoopornej u naszych pacjentów – mówi prof. Adam Nowiński.

### GRUŹLICA WIELOLEKOOPORNA

Gruźlica wielolekooporna to choroba, która występuje przy niewłaściwym leczeniu – wtedy może dojść do wytworzenia się drobnoustrojów opornych.

– Gruźlica jest chorobą przewlekłą, którą należy leczyć kilkoma antybiotykami przez kilka miesięcy. Typowa terapia pacjentów z gruźlicą lekooporną polega na podawaniu trzech lub czterech leków przez 6 miesięcy. Pacjent powinien przyjmować tabletki codziennie. Jeśli nie przyjmuje leków regularnie, opuszcza poszczególne dawki albo zabraknie mu leków, wtedy leczenie nie jest skuteczne i może dojść do oporności prątka gruźlicy. Drobnoustroj, który pierwotnie był wrażliwy na proste leki, przestaje być na nie wrażliwy i staje się patogenem lekoopornym albo wielolekoopornym. Taka sytuacja miała miejsce wiele lat temu w krajach byłego Związku Radzieckiego (ZSRR), co doprowadziło do wzrostu liczby chorych z gruźlicą lekooporną – opowiada prof. Nowiński.

W Polsce takiego problemu nie było, pacjenci z gruźlicą lekooporną byli nieliczni.

– W związku z obecną sytuacją wojenną u naszych wschodnich sąsiadów postanowiliśmy się przygotować. Lekarze z Instytutu Gruźlicy i Chorób Płuc (IGiChP) zebrali grupę specjalistów, w tym przedstawicieli Światowej Organizacji Zdrowia (WHO), którzy mieli doświadczenie w nadzorowaniu pacjentów z gruźlicą wielolekooporną w krajach byłego ZSRR – zaznacza prof. Nowiński.

W grupie specjalistów znaleźli się również przedstawiciele organizacji pozarządowej Lekarze Bez Granic, a nad wszystkim

# Pod specjalnym nadzorem

Zależy nam na tym, żeby wprowadzić system publiczny, który umożliwi korzystanie z nowoczesnych leków zarówno w warunkach szpitalnych, jak i ambulatoryjnych – mówi

**PROF. ADAM NOWIŃSKI** z Instytutu Gruźlicy i Chorób Płuc w Warszawie.



czowało pod względem prawnym Ministerstwo Zdrowia, które przy udziale wymienionych grup ekspertów przygotowało omawiany program pilotażowy.

Projekt zyskał wsparcie firm farmaceutycznych; darowały część leków, które wraz z darowizną WHO i Lekarzy Bez Granic pozwoliły stworzyć centralne repozytorium leków. – Dzięki temu, gdy pojawił się chory w stanie zapewnić mu najlepsze, najbardziej skomplikowane i najdroższe leczenie w ciągu 24 do 48 godzin. To była zasadniczo inna sytuacja w stosunku do tej, która miała miejsce wcześniej. Pacjentów lekoopornych było bardzo mało, a leki były trudno dostępne – relacjonuje prof. Nowiński. Pacjent tra-

fiał do szpitala, lekarz zamawiał dla niego import leków z zagranicy. Sprowadzenie leków trwało wiele tygodni. Takiej sytuacji towarzyszyła groźba zakażenia. Pacjent był izolowany w szpitalu, ale mógł zarażać innych pacjentów w oddziale.

Stworzenie centralnego repozytorium leków znacząco przyspieszyło proces leczenia. – Wdrożyliśmy też pewne mechanizmy organizacyjne, które poprawiły system leczenia gruźlicy wielolekoopornej. Wspólnie z kolegami z WHO stworzyliśmy system wirtualnego konsylium, wzorowany na doświadczeniach, które sprawdziły się w Finlandii i innych krajach Europy Zachodniej. Lekarz, do którego trafiał chory na gruźlicę lekooporną, a który sam nie miał doświadczenia w le-

czeniu tego typu chorych, zgłasza pacjenta do ośrodka konsylium krajowego. Następnie grupa specjalistów z różnych rejonów Polski (epidemiolog, kilku pulmonologów oraz specjalista chorób zakaźnych) spotykają się na wirtualnym konsylium i rekomendują kolejnie schemat leczenia tej gruźlicy. System zadziałał bardzo sprawnie – zaznacza prof. Nowiński.

Wirtualne konsylium działa do dzisiaj, każdy lekarz, który ma problem z decyzją, jak leczyć danego pacjenta z gruźlicą, może tu zgłosić się po poradę. W ciągu kilku dni dostaje zaproszenie na telekonferencję w trybie video. – Lekarz, dostając rekomendację, jak leczyć chorego, wysłał specjalny formularz do IGiChP, który my weryfikujemy, a na-


mat leczenia. Dotychczasowe standardy terapeutyczne, czyli tzw. leczenie długie, obejmowały 18-20 miesięczny schemat przyjmowania 4-5 leków. WHO przeanalizowało wyniki dwóch badań klinicznych, co pozwoliło na rekomendowanie krótkiego schematu leczenia BPaLM – mówi prof. Nowiński.

Program skierowany jest do osób powyżej 18. r.ż. życia, które nie wymagają hospitalizacji i spełniają określone kryteria kwalifikacyjne. Leczenie wykorzystuje nowy, bezpieczniejszy i skuteczniejszy schemat leczenia, w którym kluczowymi lekami są pretomanid i bedakilina. Nowa, 4-lekowa terapia, znana jako BPaLM, składa się z czterech leków: bedakiliny, pre-

gruźlicy w Polsce. Mamy nadzieję, że po zakończeniu pilotażu we wrześniu będziemy mogli wdrożyć nasze rozwiązania na stałe – zaznacza prof. Nowiński.

– Ministerstwo Zdrowia uznaje, że należy refundować wszystkie leki stosowane w schemacie leczenia BPaLM – zaznacza prof. Nowiński. Trudność stanowi skomplikowany sposób leczenia, które musi być zindywidualizowane, bazując na wynikach skomplikowanych badań mikrobiologicznych. Nie można objąć wszystkich pacjentów tym samym schematem terapeutycznym. Leczenie pacjentów z gruźlicą lekooporną sprawnie funkcjonuje obecnie w warunkach szpitalnych. Jednak przychodnie nie są przygotowane do „żonglowania” tymi lekami.

– Bardzo zależy nam na tym, żeby wprowadzić system publiczny, który umożliwi korzystanie z nowoczesnych leków zarówno w warunkach szpitalnych, jak i ambulatoryjnych – zaznacza prof. Nowiński. Optymalnym rozwiązaniem byłoby utrzymanie centralnego repozytorium leków, które działałoby tak, jak obecnie funkcjonuje ono w leczeniu pacjentów z HIV i AIDS. Leki w repozytorium czekają na pacjenta i niezależnie od tego, czy jest on leczony w trybie szpitalnym, czy ambulatoryjnym, ma możliwość szybkiego ich otrzymania. Mamy nadzieję, że MZ przychyli się do naszych próśb i zaakceptuje system centralnego repozytorium leków. Byłoby to kontynuacją tego, co robimy w pilotażu. Sposób się sprawdził, mamy więc mocne argumenty za tym, żeby go utrzymać – zauważa prof. Nowiński.

Gruźlica wielolekooporna jest w Polsce chorobą rzadką, ale jednocześnie bardzo ciężką. Dostęp do leków z importu docelowo jest trudny, a zagrożenia geopolityczne istotne. – Jesteśmy przekonani, że również ze względów bezpieczeństwa racjonalne jest stworzenie centralnego magazynu leków na najcięższą gruźlicę, ponieważ zapewni to bezpieczeństwo lekowe obywatelom naszego kraju – podsumowuje prof. Nowiński. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

## Jesteśmy przekonani, że również ze względów bezpieczeństwa racjonalne jest stworzenie centralnego magazynu leków na najcięższą gruźlicę, ponieważ zapewni to bezpieczeństwo lekowe obywatelom naszego kraju.

stępnie za pośrednictwem Ministerstwa Zdrowia otrzymuje lek bezpośrednio do szpitala: lek z donacji WHO. Taka ścieżka pozwoliła bardzo skrócić czas wdrożenia leczenia u chorego. Dzięki temu nie ma potrzeby długotrwałego pobytu pacjenta w szpitalu – zaznacza prof. Nowiński.

### SYSTEM WIDEOWSPARCIA

Zależy nam, żeby pacjenci leczeni ambulatoryjnie byli pod bardzo dobrą opieką, w związku z tym codziennie kontaktują się z pielęgniarką z Zespołu Opieki Środowiskowej ośrodka, w którym są leczeni. Podczas rozmowy wideo relacjonują, jak się czują, jak przebiega leczenie, czy mają jakieś problemy z nim związane albo działania niepożądane. Tabletki połykają pod nadzorem pielęgniarki wspierającej. Opisana procedura nosi nazwę systemu wideowsparcia (ang. video supported treatment). Jej koszt pokrywa NFZ. Ten sposób leczenia jest ceniony przez pacjentów i lekarzy, ponieważ pozwala prowadzić terapię w sposób szybki i skuteczny, ale jednocześnie przyjazny dla chorego.

– Mniej więcej po roku od wprowadzenia naszego programu pilotażowego Światowa Organizacja Zdrowia wdrożyła nowy sche-

matu, linezolidu i moksyflokscyny. Czas leczenia wynosi sześć miesięcy, czyli trwa dokładnie tyle, ile leczenie gruźlicy lekowrażliwej. Leczenie jest doustne, co minimalizuje skutki uboczne i ryzyko zakażeń szpitalnych. Zalety nowego leczenia: pacjenci nie zarażają innych, mogą prowadzić normalne życie rodzinne, towarzyskie i zawodowe, co pozytywnie wpływa na ich zdrowie i samopoczucie.

Nowy schemat leczenia stanowi przełom w terapii gruźlicy wielolekoopornej – jest ono obecnie o wiele prostsze. – Pierwsi w Europie Zachodniej wprowadziliśmy sprawny system leczenia gruźlicy wielolekoopornej, który pozwolił na wdrożenie zaleceń WHO. Program pilotażowy, który powstał pierwotnie jako reakcja na potencjalne zagrożenia związane z sytuacją na Ukrainie, doprowadził do znaczącej poprawy systemu leczenia



### Dr hab. n. med. Adam Nowiński

– kierownik Zakładu Epidemiologii i Organizacji Walki z Gruźlicą w Instytucie Gruźlicy i Chorób Płuc, koordynator programu pilotażowego leczenia gruźlicy wielolekoopornej w warunkach ambulatoryjnych.



# Starzejemy się i starzeje się nasz układ immunologiczny

– mówi **PROF. TOMASZ TARGOWSKI**, konsultant krajowy w dziedzinie geriatryi.

## Jesteśmy coraz starsi. Czy z wiekiem spada również nasza odporność?

Starzejemy się i wyczerpują się nasze rezerwy fizjologiczne. Starzeje się nasz układ immunologiczny. Tak jak pojawiają się nam zmarszczki, tak samo starzeje się nasz układ odpornościowy zarówno odpowiedzi humoralnej, związanej z produkcją przeciwciał, jak i odpowiedzi komórkowej, czyli tej filogenetycznie starszej.

## Czy w związku z tym dorośli powinni się szczepić?

Tak, dlatego, że maleje u nich zdolność zwalczania chorób infekcyjnych. Przyzwyczailiśmy się do tego, że dla dzieci mamy obowiązkowe kalendarze szczepień. Przez lata kwestia szczepień dla osób dorosłych, zwłaszcza osób w starszym wieku, była mało atrakcyjna medialnie, trochę zaniedbana. Właściwie jedno, o czym się mówiło, to o konieczności sezonowych corocznych szczepień przeciwko grypie, ewentualnie o szczepieniu przeciwko pneumokokom wśród starszych. Natomiast teraz już wiemy doskonale, że układ immunologiczny w miarę upływu lat życia starzeje się i jesteśmy bardzo podatni na infekcje. Co więcej, jesteśmy bardzo podatni na poważne powikłania infekcji. Wielochorobowość, która idzie w parze ze starością, nie pomaga przy zakażeniach. Może dochodzić do zaostrzenia objawów przewlekłych schorzeń i do bardzo poważnych powikłań. Mamy statystyki z tego sezonu i wiemy już, że wśród osób hospitalizowanych na grypę – bo mieliśmy w tym sezonie dużą liczbę zachorowań i zgonów – prawie tysiąc osób zmarło z powodu tej choroby. W większości były to właśnie osoby z najstarszych grup wiekowych. Według danych Głównego Inspektora Sanitarnego



wśród tych osób, które zmarły z powodu grypy, było zaledwie kilkadziesiąt osób przed 50. rokiem życia.

## Grupa 65+ to więc grupa szczególnego ryzyka...

Właśnie z tego powodu, jak wspomniałem, że mamy starzejący się układ immunologiczny i wielochorobowość. Często pacjenci w starszym wieku obarczeni są przewlekłymi chorobami układu sercowo-naczyniowego. Zakażenia wirusowe, bo często mamy do czynienia z nimi, mogą wywoływać tzw. incydenty sercowo-naczyniowe, czyli udary, zaostrzenie objawów przewlekłej niewydolności serca czy bóle dławicowe w przebiegu nasilenia choroby niedokrwiennej serca. Pamiętajmy, że te zakażenia często wpływają również na pogorszenie się zdolności poznawczych u seniorów, a zespoły otępienne to jeden z wielkich problemów geriatrycznych – duży problem zdrowotny wśród starzejącej się populacji.

**Dla starszych osób szczególnie niebezpieczny jest półpasiec. Dlaczego powinni się zaszczepić?**

U pacjentów w starszym wieku z uwagi zmniejszoną odporność immunologiczną, zwłaszcza po 80. roku życia, ryzyko uaktywnienia się półpaśca jest kilkakrotnie wyższe niż u osób młodszych w populacji ogólnej. Co więcej, problemem są powikłania półpaśca, chociażby takie jak neuralgia popółpaścowa, która wymaga stosowania, często przez wiele miesięcy, leków, których my w geriatryi za bardzo nie lubimy stosować. To są silne leki przeciwbólowe czy leki przeciwdepresyjne. Preparaty te mogą mieć szereg działań niepożądanych, mogą zwiększać ryzyko majączone lub nasilać zaburzenia poznawcze, a to jest duży problem. Prosty sposób zabezpieczenia się przed uaktywnieniem się półpaśca, przed zachorowaniem na półpasiec, są właśnie szczepienia.

Pamiętajmy również, że półpasiec zwiększa chociażby ryzyko udarów mózgu.

## Kolejną groźną dla osób powyżej 65. roku życia chorobą jest RSV...

To syncytialny wirus oddechowy, przez lata niedoceniany. Wiedzieliśmy, że dzieci, zwłaszcza noworodki i niemowlęta, mogą być narażone na ciężki przebieg takich

zakażeń. Bywa, że dzieci muszą być nawet wentylowane mechanicznie z tego powodu. W przypadku dzieci mamy przeciwciała monoklonalne, którymi możemy zapobiegać zakażeniom RSV. Do tej pory nie mieliśmy szczepionek przeciwko temu wirusowi, które


lekarzem prowadzącym, geriatrą bądź lekarzem rodzinnym, ustalić indywidualny plan szczepień. Np. w przypadku pneumokoków jednorazowe podanie 20-walentnej szczepionki wystarcza na całe życie. Jeśli chodzi o krztusiec, to wystarczy jedna dawka

do POZ, żeby się zaszczepić. Zwłaszcza pacjentowi geriatrycznemu może to sprawiać dużo trudności.

Pacjenci geriatryczni to często pacjenci z ograniczoną sprawnością funkcjonalną. Znaczna ich część wymaga opieki osób trzecich. Bywa, że związane są z tym trudności logistyczne. Najczęściej opiekunami pacjentów są członkowie rodzin, którzy pracują zawodowo. Jeżeli więc mamy taką sytuację, że pacjent przychodzi z opiekunem do lekarza POZ, potem do apteki, i wraca do POZ, żeby się zaszczepić, to możemy zniechęcić pacjenta i członków rodziny do szczepienia.

Szczepienia mogłyby być dostępne w POZ. Przecież lekarze medycyny rodzinnej i pediatrzy pracujący w POZ odpowiadają za realizację szczepień obowiązkowych wśród dzieci. Dlaczego szczepienia dla seniorów, zwłaszcza te bezpłatne, nie miałyby być dostępne w podstawowej opiece zdrowotnej, z której starsze osoby korzystają najczęściej?

### Panie profesorze, o co warto zaapelować do opiekunów seniorów?

Żeby zadbali o szczepienia seniorów, bo to naprawdę przynosi korzyści długofalowe, naprawdę zmniejsza ryzyko ciężkiego przebiegu wielu chorób zakaźnych. To nie jest tak, że szczepienia zawsze uchronią nas przed zachorowaniem. Niektórzy pacjenci mówią: zaszczepiłem się i zachorowałem. Trzeba sobie zdawać sprawę, że wiele chorób wirusowych jest do siebie podobnych, jeśli chodzi o obraz kliniczny. Nie zawsze jest tak, że kolejna infekcja, jeżeli się zaszczepimy przeciwko grypie, jest akurat infekcją grypową. Nawet jeżeli tak się zdarzy, że mamy pecha i mimo zaszczepienia zachorujemy na grypę, dzięki szczepieniu mamy szansę na to, że przebieg zachorowania będzie o wiele łagodniejszy i będzie się wiązał z mniejszym ryzykiem poważnych powikłań, do zagrożenia zgonem włącznie. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała ANNA KOPRAS-FIJOŁEK

## Jestem za tym, żeby dla seniorów szczepienia były bezpłatne, żeby były powszechnie dostępne, żeby ta dostępność była już na poziomie lekarza POZ.

byłyby skuteczne u osób w starszym wieku. Zakażenia syncytialnym wirusem oddechowym nie są tak częste jak zakażenia grypowe, ale są bardzo niebezpieczne.

W ostatnich latach pojawiło się kilka publikacji naukowych dotyczących dorosłych pacjentów hospitalizowanych z powodu zakażeń wirusem RS, COVID-19 i grypy, z których wynikało, że zakażenia wirusem RS często miały o wiele cięższy przebieg. Częściej osoby zarażone RSV wymagały wspomaganie tlenoterapii, a nawet wentylacji nieinwazyjnej i inwazyjnej. Częściej ci pacjenci trafiali do oddziałów intensywnej opieki. Podkreślano również w tych publikacjach, że łagodniejszy przebieg pozostałych schorzeń, przecież równie niebezpiecznych, mógłby być następstwem tego, że znaczna część populacji wśród hospitalizowanych pacjentów była wyszczepiona przeciwko COVID-19 czy przeciwko grypie, a szczepień przeciwko wirusowi RS właściwie do niedawna nie mieliśmy.

### Jak powinien wyglądać kalendarz szczepień dla osób starszych?

Powinien być zindywidualizowany. Pamiętajmy o tym, że nie wszystkie szczepienia są szczepieniami sezonowymi, czyli że trzeba je podawać tuż przed sezonem zachorowań. Powinniśmy co roku szczepić się przeciwko grypie, najlepiej na początku sezonu, np. we wrześniu każdego roku. Przed sezonem powinniśmy się szczepić przeciwko wirusowi RS. Jak do tej pory wiedza, jaką dysponujemy, jest taka, że wystarczy nam jedno szczepienie przeciwko wirusowi RS. Wiemy, że trzeba się szczepić również przeciwko COVID-19. Tych zachorowań jest dużo.

Jeśli chodzi o pozostałe szczepienia – przeciwko półpaścowi, krztuścowi czy pneumokokom, pacjent może ze swoim

raz na 10 lat. W przypadku półpaśca wystarczy również jedno szczepienie (dwie dawki, które podajemy w odstępie 2 do 6 miesięcy, w dowolnej porze w roku).

### Czy szczepienia są opłacalne dla pacjenta i dla systemu ochrony zdrowia?

Są opłacalne. Takie analizy farmakoekonomiczne prowadzone są w wielu krajach, które przeznaczają zdecydowanie większe środki na opiekę zdrowotną niż nasz. Warto inwestować w profilaktykę. Profesjonaliści medyczni zawsze podkreślają: lepiej zapobiegać, niż leczyć. Oczywiście, efekty profilaktyki są odwleczone w czasie, często mało widoczne w perspektywie krótkoterminowej, ale jest to opłacalne. Przykładem są chociażby szczepienia przeciwko HPV. Są kraje, gdzie właściwie wyeliminowano zachorowania na raka szyjki macicy ze względu na dużą wyszczepialność wśród młodych ludzi przeciwko wirusowi brodawczaka.

### Czy te szczepienia, o których rozmawiamy, powinny być bezpłatne zwłaszcza dla osób powyżej 65. roku życia?

Absolutnie jestem za tym, żeby dla seniorów szczepienia były bezpłatne, żeby były powszechnie dostępne, żeby ta dostępność była już na poziomie lekarza POZ, żeby pacjent nie musiał iść do lekarza POZ po receptę, potem do apteki, a jeszcze później szukać aptecznego punktu szczepień lub wracać



### Prof. dr hab. n. med. Tomasz Targowski

– specjalista w dziedzinie geriatry, chorób płuc i chorób wewnętrznych, kierownik Kliniki i Polikliniki Geriatry w Narodowym Instytucie Geriatry, Reumatologii i Rehabilitacji w Warszawie, konsultant krajowy w dziedzinie geriatry.

# Eliksir długowieczności na wyciągnięcie ręki

– mówi **PROF. MAREK POSTUŁA**, kardiolog, specjalista medycyny długowieczności.

**Jest Pan naukowcem i kardiologiem zajmującym się długowiecznością w Polsce, w której żyjemy kilka lat krócej niż przeciętny Europejczyk, głównie z powodów kardiologicznych. Co to właściwie oznacza „długowieczność”? Jesteśmy „zaprogramowani” na 120 lat? Odkrył Pan „eliksir” długowieczności?**

Eliksir długowieczności jest na wyciągnięcie ręki dla każdego nas: to aktywność fizyczna. Podstawowa kwestia jest jednak moim zdaniem inna: czym w ogóle jest długowieczność. Najczęściej w piśmiennictwie naukowym pojawia się właśnie 120 lat – są badania, które pokazują, że człowiek jest w stanie tyle żyć. Najbardziej długowieczne osoby żyją 110-120 lat. Ja jednak, myśląc o długowieczności, myślę nie tylko o długości życia, ale też o długim życiu w zdrowiu; to jest dla mnie definicja długowieczności.

**Nie same lata są więc najważniejsze?**

Ja osobiście chcę jak najdłużej żyć w zdrowiu, żebym mógł jak najdłużej czerpać radość ze swojej codziennej aktywności. Jednak żeby to było możliwe, to muszę być sprawny intelektualnie i fizycznie. Po swoich pacjentach widzę bardzo często, że w pewnym wieku u niektórych spada sprawność intelektualna, u innych – fizyczna. Ale znam też 90-latków sprawnych zarówno fizycznie, jak i psychicznie, cieszą się dobrym zdrowiem, życie sprawia im przyjemność.

**„Ruch jest najlepszym lekiem, żaden lek go nie zastąpi”: tę maksymę doskonale znamy, ale czy to da się sprawdzić, zmierzyć naukowo? Udało się udowodnić, że aktywność fizyczna nam się po prostu opłaca, bo będziemy żyć dłużej?**

Tak, zostało to doskonale zmierzone. Wiemy, że dyscypliną, która najbardziej przedłuża życie, jest tenis. Badania duń-

skie pokazują, że sporty rakietowe, jak tenis, przedłużają życie o co najmniej 10 lat.

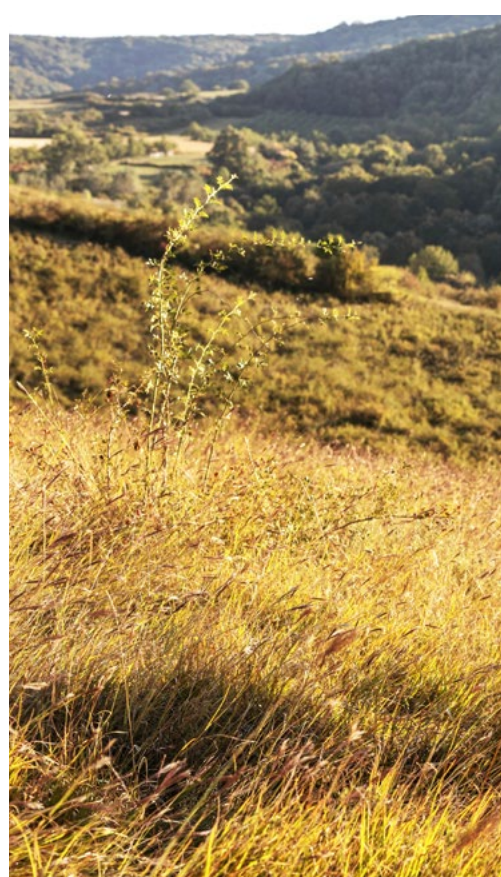
**10 lat to dużo, jest o co powalczyć. Ale dlaczego tenis? Wydaje się, że to dosyć jednostronna dyscyplina...**

Zanim odpowiem na pytanie o tenis, to powiem, że jako naukowiec zajmuję się m.in. biomarkerami. Większość moich badań dotyczy tego, co dzieje się na poziomie molekularnym: komórkowym, epigenetycznym, niekodującego RNA, mikroRNA (czyli mówimy o tym, za co w 2024 r. została przyznana Nagroda Nobla). W tym nasz zespół na WUM się specjalizuje, sprawdzamy m.in., jaki wpływ na te parametry ma uprawianie aktywności fizycznej.

Jest wiele rzeczy, które już potrafimy doskonale mierzyć. Parametrem, który dużo mówi, w jakiej jakości przeżyjemy ostatnie dekady życia, na ile będziemy sprawni, jest parametr VO2max, czyli maksymalna ilość tlenu, która może być zużyta przez organizm w ciągu jednej minuty wysiłku o maksymalnej intensywności. Są prace naukowe, które pokazują, jaka wartość VO2max zapewnia to, że w wieku 70, 80, 90 lat będziemy w stanie zrobić coś, co w wieku 40, 50 czy 60 lat nie sprawia nam problemu, np. pójście po zakupy. Parametr VO2max doskonale to przewiduje. Fizjologicznie spada on co roku mniej więcej o 0,5-1 ml na kg masy ciała minutę – jeśli nie jesteśmy aktywni fizycznie. Jeśli jesteśmy aktywni fizycznie, to będzie zmniejszał się mniej, a tym samym budujemy nasz kapitał na przyszłość.

**Jak zmierzyć VO2max?**

Najdokładniejszą metodą jest badanie wydolności na ergometrze (np. bieżni lub rowerze stacjonarnym) w laboratorium fizjologii sportu. Parametr ten bardzo łatwo może zmierzyć każdy z nas, wykonując tak zwany test Coopera. Na rynku dostępne też są smartwatche, które również potrafią w przybliżeniu podać wartość tego parametru.



Druga rzecz to siła mięśniowa – możemy np. zmierzyć siłę uścisku dłoni. Są doskonałe prace naukowe, które pokazują, że siła uścisku dłoni ma związek z ryzykiem zgonu, ale też z naszą sprawnością. Jeśli nie ćwiczymy, to po 30. roku życia tracimy od 3 do 8 proc. masy mięśniowej co dekadę, a po 60. roku życia ten proces przyspiesza. Gdy porównamy 30-latkę i 70-latkę, to widzimy, że 70-latek ma połowę tkanki mięśniowej, którą miał w wieku 30 lat, a to przekłada się na ogólną sprawność i np. ryzyko upadków. I tu mogą znów wrócić do tego, dlaczego tenis jest tak ważny: jest to sport interwałowy – czyli są to krótkie



treningi o wysokiej aktywności – które budują VO2max, a jednocześnie ogólną sprawność. Poza tym są to ćwiczenia poprawiające równowagę, bardzo ważną dla każdego z nas, by zniwelować ryzyko upadku. Koordynacja i sprawność są bardzo ważne, bo w przypadku upadku i złamania szyjki kości udowej u osoby starszej ryzyko zgonu w ciągu roku wynosi 50 proc.

### Ile aktywności fizycznej jest potrzebne, by długo żyć? Spacer 20 minut wystarczy?

Niektóre badania pokazują, że już 11 minut spaceru dziennie przynosi korzyści zdrowotne, redukuje ryzyko sercowo-naczyniowe. Oczywiście, te dane mają zachęcić jak najwięcej osób do aktywności fizycznej i pokazać, że nie trzeba kupować drogiego

rzyści zdrowotnych, to na pewno są korzyści psychiczne, jak radość z przebywania z naturą, z ludźmi, dzielenie swoich pasji. A ze sportów najmniej korzystne są sporty walki, a także np. rugby, bardzo kontuzjogenne.

### A optymalna dieta w kierunku długowieczności?

Powiedziałbym: restrykcje kaloryczne. Jako naukowiec pasjonuję mnie szlaki metaboliczne na poziomie komórkowym. Są pewne mechanizmy w naszej komórce, które zawiadują metabolizmem komórkowym, np. szlak m-TOR. Korzystne jest hamowanie szlaku m-TOR. Są leki, które oddziałują na ten szlak, jak rapamycyna, metformina, inhibitory SGLT-2 (flozyny), agoniści GLP-1. Coraz częściej mówimy o nich jako o gerontoterapeutykach, czyli lekach opóźniających procesy starzenia.

Najlepszym lekiem jest restrykcja kaloryczna. Zresztą flozyny, analogi GLP-1 naśladują na poziomie komórkowym deficyt energetyczny. Powoduje to, że komórka przełącza się na tryb kataboliczny, aktywowane są pewne procesy zachowania energii, a przez to jest mniej produkowanych produktów ubocznych. Ja osobiście najchętniej stosuję posty przerywane. Nie ma diet idealnych, to bardzo indywidualna sprawa, podobnie jak aktywność fizyczna. Dla mnie restrykcje kaloryczne są najłatwiejsze, gdy stosuję post przerywany.

### Czy mamy markery starzenia się? Możemy sprawdzić, w jakim wieku jest nasz organizm?

Bardzo dobrym markerem jest VO2max. Nie ma jednak jednego parametru zdrowego starzenia się. Ja używam kilku biomarkerów – są to zegary biologiczne oparte na metylacji DNA, tzw. zegary epigenetyczne. Na podstawie analizy poziomu metylacji DNA można określić z dużą dokładnością wiek biologiczny organizmu. Obecnie mamy już zegary trzeciej generacji; bardziej skomplikowane algorytmy wliczają, ile biologicznie mamy lat.

Ostatnia nowość opracowana naukowo i wprowadzona na rynek to DunedinPACE. Dunedin to miasteczko w Nowej Zelandii, gdzie prowadzono badania, wykonano analizę metylacji DNA i sprawdzono biomarker mówiący o szybkości starzenia. Potrafimy już nie tylko zmierzyć, jaki jest obecnie nasz wiek biologiczny, ale przede



### Nie każdy jednak jest w stanie grać w tenisa. A inne aktywności?

Bieganie, pływanie, jazda na rowerze również wydłużają życie – o 3-5 lat. Jazda na rowerze nie tylko poprawia wydolność fizyczną, ale jest dla mnie też formą przyjemności. W długowieczności chodzi przecież nie tylko o zdrowie fizyczne, ale także psychiczne. Ćwiczenia fizyczne to jak przyjmowanie tabletki. Muszę zrobić trening siłowy, żeby dbać o ogólną sprawność. Odkąd te elementy stały się dla mnie ważnymi składnikami codzienności, to zdecydowanie lepiej się czuję. Dzięki temu mogę też intensywnie pracować.

roweru, drogich butów, bo zwykły spacer w szybszym tempie już przynosi korzyści zdrowotne. To prawda, jednak ja jestem zdania, że im więcej, tym lepiej, choć – jak we wszystkim – mamy tzw. krzywą „U”, czyli: brak aktywności jest niekorzystny dla zdrowia, ale również niekorzystna jest nadmierna aktywność. Niedawna publikacja pokazywała, że jeśli chodzi o liczbę kroków, to 8,5 tys. kroków dziennie jest optymalne, a powyżej 13 tysięcy nie przynosi już dodatkowych korzyści zdrowotnych.

Jednak wiadomo, że jeśli ktoś kocha sport, to chce więcej się ruszać. Nawet jeśli nie przyniesie mu to bezpośrednio więcej ko-

wszystkim DunedinPace powie nam, jak szybko się starzejemy. Najważniejsze jest jednak to, czy jesteśmy w stanie – poprzez modyfikację stylu życia – zmienić szybkość starzenia. Jeśli chodzi o zegar biologiczny, to potrzeba 3-6 miesięcy, żeby zobaczyć różnicę w naszym wieku biologicznym. Dzięki DunedinPace dużo szybciej obserwujemy zmianę, możemy więc szybciej ocenić, czy to, co robimy, ma sens i faktycznie spowalnia procesy starzenia. Starzenie jest elementem życia, ale możemy je spowolnić.

w mikrodawkach. Badania na zwierzętach pokazują, że rapamycyna potencjalnie w każdym wieku ma wpływ na układ odpornościowy. A układ odpornościowy jest bardzo ważnym układem, który ulega osłabieniu w wieku starszym. Wtedy często zwykła infekcja kończy się powikłaniami, ciężkim przebiegiem.

Kolejnym takim lekiem jest metformina: lek przeciwcukrzycowy. Trwa badanie TAME, prowadzone przez Albert Einstein College of Medicine w Nowym Jorku, które ma


mina, rapamycyna, a potem bisfosfoniany. To taka „piątka leków na długowieczność”, które już mamy.

Jeśli chodzi o suplementy, to wiele mówi się o resweratrolu; jest on zawarty w czerwonym winie, jednak żeby wypić taką ilość wina, w której znalazłaby się niezbędna ilość resweratrolu, to trzeba byłoby wypić codziennie ponad 20 butelek, co oczywiście nie byłoby możliwe ani polecane.

### Otyłość zdecydowanie nie sprzyja długowieczności...

Na pewno nie. Wykłady kardiologiczne coraz częściej zaczynam, pokazując, jak otyłość wpływa niekorzystnie na długość życia. Niestety, winna jest zła dieta, bogata w produkty przetworzone, w glukozę – to najtańsze produkty, wysokokaloryczne, stąd są wciąż często kupowane.

### Czy w Polsce, gdzie mamy duże zanieczyszczenie środowiska, dużo osób pali, dużo osób ma otyłość, generalnie żyjemy kilka lat krócej niż przeciętny Europejczyk: mamy szansę myśleć o długowieczności?

Na wiele rzeczy mamy wpływ: świadoma osoba jest w stanie wybrać zachowania prozdrowotne. Nie mamy bezpośredniego wpływu na zanieczyszczenie powietrza, tu konieczne są działania polityków, żebyśmy nie musieli wdychać trującego powietrza. Długowieczność to jest sposób myślenia, świadomość dbania o zdrowie. Nasza dieta i styl życia bardzo zmieniły się w ostatnich latach; warto zerknąć choćby na serial „Czterdziestolatek” i zobaczyć, jak wyglądała kilkadziesiąt lat temu osoba w wieku 40 lat, a jak wygląda dziś. Obecnie 40-, 50-, 70-latek jest 10 lat młodszy biologicznie, choć jest jeszcze wiele do zrobienia. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiała **KATARZYNA PINKOSZ**

## Na wiele rzeczy mamy wpływ: świadoma osoba jest w stanie wybrać zachowania prozdrowotne. Długowieczność to jest sposób myślenia.

Mamy też biomarkery stanu zapalnego, które możemy obserwować, a jak wiemy, stan zapalny przyspiesza procesy starzenia. Jednak nawet zwykłe badanie biochemiczne, które wykonujemy raz na jakiś czas, zawiera dużo danych, tylko zwykle podchodzimy do niego w wybiórczy sposób: patrzemy, czy wyniki nie wykraczają poza normę. Tymczasem warto obserwować trend, w jakim idziemy. W naszym organizmie cały czas zachodzą dynamiczne zmiany; musimy je zrozumieć, a żeby zrozumieć, to musimy regularnie przyglądać się naszemu organizmowi poprzez dobrze zaplanowane badania krwi.

### Wszyscy lubimy jednak drogi na skróty. Czy są jakieś suplementy, leki, które mogą nam pomóc w długowieczności?

Jako farmakolog bardzo mocno się temu przyglądam. Jeśli chodzi o suplementy, to nie mamy tzw. twardych danych, czyli potwierdzonych badaniami naukowymi. A zawsze podkreślamy jakość danych jako kluczowy element, który pozwala nam myśleć, że coś jest wiarygodne. Są wyniki badań dotyczących stosowania rapamycyny – przede wszystkim na zwierzętach, trwają badania na ludziach w kontekście geroterapeutyki, czyli leku spowalniającego proces starzenia. Rapamycyna to lek stosowany przede wszystkim w transplantologii. Są jednak osoby, które stosują takie leczenie off label, poza wskazaniami, w różnych schematach dawkowania,

odpowiedzieć, czy faktycznie stosowanie tego leku może mieć efekt przeciwstarzeniowy. Kolejne ważne leki to inhibitory SGLT2 (flozyny), które bardzo intensywnie badam wraz ze swoim zespołem. One też mają wpływ na metylację DNA, na mikro RNA i tym samym kontrolują ekspresję genów związanych np. naprawą DNA. Wydaje się, że efekty zdrowotne są dużo bardziej złożone i mają nie tylko efekt przeciwcukrzycowy. Kolejne ważne leki to analogi GLP-1, leki stosowane u pacjentów z cukrzycą, powodujące również efekt spadku wagi. Są również dane, że potrafią one zahamować progresję zaburzeń motorycznych towarzyszących chorobie Parkinsona, są też testowane w chorobie Alzheimera.

Wszystkie te leki w różnych mechanizmach (np. flozyny zwiększają wydalanie glukozy; GLP-1 zmniejszają łaknienie) powodują restrykcję kaloryczną, sprawdzają się wielu chorobach. Jest świetna publikacja kolegów z Einstein University; posegregowano te leki pod względem wiarygodności danych: najwięcej dobrych danych mają flozyny, analogi GLP-1, metfor-



### Prof. dr hab. n. med. Marek Postuła

kardiolog, kierownik Pracowni Farmakogenomiki, Centrum Badań Przedklinicznych, Katedry i Zakładu Farmakologii Doświadczalnej i Klinicznej WUM, współzałożyciel i przewodniczący Polskiego Towarzystwa Medycyny Długowieczności, ekspert w badaniach nad długowiecznością i starzeniem się.



# Nic o nas bez nas

Warto, żeby **OSOBA, KTÓRA DOWIADUJE SIĘ O TYM, ŻE CHORUJE NA POWAŻNĄ CHOROBE PRZEWLEKŁĄ, SVOJE PIERWSZE KROKI SKIEROWAŁA W STRONĘ ORGANIZACJI PACJENTÓW**. Często są one źródłem nieocenionej wiedzy, gdzie i jak się leczyć, wspierają chorych, edukują, walczą o coraz lepszą diagnostykę i terapie. Jakie są ich priorytety na 2025 rok?

## Powikłaniom otyłości mówimy „nie”



**Katarzyna Głowińska**, prezes Fundacji na rzecz Leczenia Otyłości

Na otyłość choruje 9 mln dorosłych Polaków, a tylko 1 proc. jest odpowiednio rozpoznawane i leczone. Brak świadomości i postrzegania otyłości jako choroby może okazać się tragiczny w skutkach, a jego konsekwencje poniesiemy wszyscy.

Otyłość generuje ponad 200 poważnych powikłań zdrowotnych. Otyłość to choroba śmiertelna. Wg raportu „Choroba otyłościowa – wyzwania społeczne, kliniczne i ekonomiczne”, który fundacja FLO i Polskie Towarzystwo Leczenia Otyłości objęły swoim patronatem, wynika, że ryzyko w przypadku najczęstszych powikłań wzrasta u chorych na otyłość o kilkaset procent, np. jeśli chodzi o niewydolność serca – o 200 proc., chorobę zakrzepowo-zatorową 200-300 proc, cukrzycę typu 2 – 450 proc., nagły zgon sercowo-naczyniowy 4000 proc. Chorzy na otyłość pięciokrotnie częściej chorują na depresję. Dlatego my w tym roku w ramach kampanii „Otyłość to choroba. Nie oceniam, nie odchudzaj, tylko lecz” mówimy:

„Powikłaniom otyłości mówimy NIE”. Nie ma ścieżki pacjenta, nie ma opieki koordynowanej, dostępności sprzętu medycznego dla chorych na otyłość czy dostępności transportu medycznego – tę rolę pełnią często strażacy. Nie ma także finansowania farmakoterapii.

W ramach prac zespołu ds. otyłości padła deklaracja ze strony Minister Zdrowia, że program KOS-BAR zostanie wprowadzony do koszyka podstawowych świadczeń zdrowotnych NFZ. Do czasu jego wprowadzenia ma być przedłużony pilotaż KOS-BAR, tak, aby zapewnić ciągłość tego świadczenia. Uważam to za dobry krok w przyszłość i duży sukces Fundacji. Potrzebujemy systemowych rozwiązań i dostępu do leczenia tej groźnej choroby. Mówiąc, że jesteśmy chorzy, nie szukamy wymówki i wytłumaczenia. Nas po prostu trzeba zacząć leczyć.

## Nie jesteśmy „zbyt zdrowi” na leczenie



**Monika Kaczmarek**, prezes Polskiego Stowarzyszenia Diabetyków

Mimo że mamy coraz większy dostęp do optymalnego leczenia, wśród nas jest jeszcze grupa pacjentów z cukrzycą typu 2, u której ryzyko wystąpienia powikłań sercowo-naczyniowych jest wysokie, a mimo to nie obejmuje ich refundacja leków nazywanych ogólnie flozynami. Są one standardem na świecie i włącza się je na wczesnym etapie choroby, o czym mówią sami lekarze czy organizacje naukowe w swoich wytycznych. Tymczasem tacy pacjenci w Polsce nie mają do nich dostępu w ramach refundacji, bo paradoksalnie są zbyt zdrowi – nie spełniają kryteriów refundacyjnych. Muszą czekać, aż im się pogorszy, żeby mieć dostęp do skutecznego leczenia.

Apelujemy o kompromis, którym jest objęcie refundacją kolejnej grupy pacjentów w drugiej linii leczenia wraz z obniżeniem poziomu HbA1c do 7 proc.

Wysoko na naszej liście priorytetów jest też rozszerzenie refundacji systemów do ciągłego monitorowania glikemii dla wszystkich osób na insulinie bez względu na liczbę wstrzyknięć w ciągu doby. Natomiast kolejnym wyzwaniem dla osób chorych na cukrzycę typu 2, które są na terapii lekowej, jest chociaż częściowa refundacja sensorów.

Mamy też grupę pacjentów po 26. roku życia korzystających z pomp insulinowych. Trudno im zrozumieć, że po 26. roku nagle tracą refundację. Do tego dochodzi kwestia ekonomiczna wśród niektórych pacjentów – muszą przejść na peny, co wiąże się ze stresem i utratą poczucia bezpieczeństwa. Liczymy na pozytywne zmiany, niezmiennie pozostając otwarci na dialog.



## Najważniejsza jest edukacja



Elżbieta Kozik, prezes Ruchu Onkologicznego PARS

Priorytety i wyzwania w profilaktyce nowotworowej są niezmiennie od lat. Najważniejsza pozostaje kwestia skoordynowania działań edukacyjnych i budowanie świadomości społecznej. Wiedza na temat czynników ryzyka nowotworów oraz sposobów ich unikania powinna być przekazywana już dzieciom. Ważna jest edukacja i uwrażliwianie na dość oczywiste i podstawowe kwestie, np. promowanie zdrowych nawyków.

W diagnostyce wyzwaniem również pozostaje kwestia koordynacji działań. Mam na myśli skoordynowane programy badań przesiewowych, umożliwiające wykrycie nowotworów w początkowych stadiach. To znacznie zwiększa szanse na skuteczne leczenie. Ważne jest, aby takie programy były dostępne i regularne, aby uwzględniały zalecenia dotyczące wieku, płci oraz grup ryzyka. Szczególne ważne jest dostęp do badań genetycznych. Kolejne wyzwanie to obniżenie barier dostępu do badań dla osób z mniej uprzywilejowanych grup społecznych oraz wprowadzenie i powszechna dostępność szczepień, np. przeciwko wirusowi HPV (jako profilaktyka raka szyjki macicy) czy szczepień przeciwko wirusowi zapalenia wątroby typu B (jako profilaktyka raka wątroby).

Priorytetem w leczeniu nowotworowym jest także jak najszybsze rozpoczęcie terapii po postawieniu diagnozy, aby zminimalizować ryzyko rozwoju choroby i poprawić szanse na skuteczne leczenie. Wyzwanie stanowi zapewnienie odpowiedniej koordynacji między specjalistami, eliminowanie opóźnień w dostępie do leczenia oraz zwiększenie dostępności nowoczesnych terapii na różnych etapach choroby.

## Czekamy na kolejne unity



Anna Kupiecka, prezes Fundacji OnkoCafe – Razem Lepiej

Czekamy na rozwój skoordynowanej opieki – Krajowej Sieci Onkologicznej – oraz kolejnych unitów narządowych. Ważne jest zachowanie płynności w dostępie do świadczeń zarówno tych pacjentów, którzy już są w procesie leczenia, jak i tych, którzy są na etapie diagnostyki czy będą mieli leczenie wdrażane. Nie tracimy nadziei na wdrożenie kolejnych unitów narządowych w onkologii, w szczególności w przypadku raka płuca.

Drugim istotnym elementem na najbliższy rok jest znaczne podniesienie odsetka osób, które zgłaszają się do programów przesiewowych. Zarówno program wczesnego wykrywania raka piersi, jak i raka szyjki macicy wymaga podjęcia skoordynowanych działań. Warto również zwrócić uwagę na zaniedbany program

kolonoskopii, który wymaga pilnej reakcji i wzmocnienia.

W zakresie diagnostyki oczekujemy zniesienia skierowań do urologa, co dałoby szansę na wcześniejszą diagnozę dla wielu panów – rak gruczołu krokowego jest najczęściej występującym nowotworem wśród mężczyzn, który wymaga szczególnej uwagi resortu zdrowia oraz instytucji mu podległych.

Liczymy również na utrzymanie dalszego rozwoju dostępu do leczenia systemowego. Dalsze dobre decyzje dla pacjentów z chorobami uroonkologicznymi oraz objęcie nowoczesnym leczeniem pacjentek z rakiem piersi (HER-2 low) również znajduje się na liście naszych priorytetów. Wdrożenie nowoczesnych terapii dla pacjentów ze szpiczakiem oraz zapewnienie dostępu do leczenia dla szerokiej grupy pacjentów z rakiem prostaty to kolejne kluczowe wyzwania.

## Choroby rzadkie wyszły z cienia



Stanisław Maćkowiak, prezes Federacji Pacjentów Polskich

Pacjenci z chorobami rzadkimi chcą być słyszani; nie myślą o tym, by być inaczej traktowani, chcą tylko wyrównania szans. W ostatnim czasie dzieje się wiele pozytywnych rzeczy – już od ponad roku mamy drugą edycję Planu dla Chorób Rzadkich; toczą się prace nad jego wdrażaniem.

Wiele rzeczy już udało się zrobić, np. zostały opracowane kryteria powołania ośrodków eksperckich. Według zapewnienia Pani Minister w najbliższym czasie wejdzie nowelizacja ustawy o świadczeniach, która da możliwość powoły-

**Pacjenci z chorobami rzadkimi chcą być słyszani; nie myślą o tym, by być inaczej traktowani, chcą tylko wyrównania szans.**

wania ośrodków eksperckich dla chorób rzadkich. To podstawa, żeby osoby z chorobami rzadkimi miały zapewnione ośrodki leczenia.

Został stworzony portal wiedzy o chorobach rzadkich: [chorobyrazdkie.gov.pl/](http://chorobyrazdkie.gov.pl/). Oczywiście, nadal trzeba go uzupełniać, ale założenie jest takie, że będzie on głównym źródłem wiedzy, jeśli chodzi o choroby rzadkie.

Czekamy na poprawę diagnostyki: część badań genetycznych już znalazła się w koszyku świadczeń gwarantowanych, czekamy na kolejne. Ważna jest decyzja o rozszerzeniu przesiewu noworodkowego o kolejnych sześć jednostek chorobowych. Chcielibyśmy, by do tego panelu dołączyły kolejne jednostki chorobowe.

Jeśli chodzi o leczenie, to na dziś oferta leczenia farmakologicznego jest dla 3-5 proc. chorób rzadkich. Mam nadzieję, że dojdziemy do sytuacji, że to, co jest dostępne na świecie, będzie też dostępne dla naszych pacjentów, czyli będzie refundowane. Trendy są bardzo pozytywne. Pamiętajmy jednak, że 95 proc. chorób rzadkich nie ma oferty leczenia, a ci pacjenci również wymagają naszej pomocy.

## Chcemy być traktowani i czuć się podmiotowo



**Elżbieta Markowska**, prezes Polskiej Koalicji Pacjentów Onkologicznych

Pacjenci z chorobami onkologicznymi czekają na wiele zmian. Przede wszystkim chcieliby czuć się podmiotem, chcieliby być szybko diagnozowani, począwszy od placówek POZ, gdy to pada podejrzenie nowotworu. Później, gdy pacjent trafia do placówki onkologicznej, bardzo ważne jest

to, żeby miał koordynatora, który pomoże mu przejść przez meandry diagnostyki i leczenia. Cieszymy się, że pojawiają się już koordynatorzy, jednak jest ich niewiele.

Liczymy na przyspieszenie diagnostyki – czekamy na wejście paneli NGS do diagnostyki nowotworów, m.in. raka płuca i raka jajnika. Badania z krwi (tzw. płynna biopsja) powinny móc być wykonywane w trybie ambulatoryjnym. To bardzo ważne, bo dzięki tym nowoczesnym badaniom pacjent ma szansę otrzymywać skuteczne leczenie, a jednocześnie nie dostawać leczenia, które w jego przypadku nie przyniesie korzyści, a może go tylko narazić na skutki uboczne.

Liczymy na wdrożenie Krajowej Sieci Onkologicznej. Pacjenta nie interesuje, czy ośrodek, w którym się leczy, to SOLO 1, 2 czy 3. Dla niego ważne jest to, żeby był leczony zgodnie z najlepszą wiedzą medyczną. Nie wszyscy trafią na leczenie do Warszawy, Gdańska, Krakowa, Poznania, Wrocławia; ważne jest, żeby ośrodki ze sobą współpracowały, a lekarze dzielili się doświadczeniem, nie obawiali się prosić o radę kolegów, także innej specjalności.

Czekamy na wejście Lung Cancer Unitów – jest to zapowiadane już od wielu lat, jednak ośrodki wciąż jeszcze nie powstały. Pacjenci tego nie rozumieją.

Cieszymy się, że wchodzi do refundacji nowe leki, czekamy na kolejne. Medycyna wciąż się rozwija, pacjenci chcą korzystać z tych zdobyczy medycyny.

## Pacjenci dla pacjentów



**Marcin Ruciński**, prezes Europejskiego Stowarzyszenia Pacjentów z Chorobami Sercowo-Naczyniowymi

Technologie cyfrowe, w tym aplikacje mobilne, to rewolucja w opiece kardiologicznej, która może realnie wpłynąć na życie pacjentów. Choroby serca wymagają stałej kontroli i świadomego zarządzania zdrowiem – a to nie jest łatwe w codziennym zabieganiu. Aplikacje mobilne dają pacjentom narzędzia do monitorowania parametrów zdrowotnych, analizowania objawów i szybkiego dostępu do rzetelnej wiedzy. Dzięki temu mogą lepiej zrozumieć swoją chorobę, reagować na niepokojące sygnały i unikać niebezpiecznych sytuacji.

Tworząc aplikację mobilną CardioAI, chciałem, aby pacjenci kardiologiczni mieli wsparcie zawsze pod ręką. Aplikacja jest intuicyjna, darmowa i dostosowana do potrzeb osób w każdym wieku. Zawiera bazę wiedzy o chorobach serca, forum pacjentów, funkcję analizy objawów oraz możliwość sprawdzania terminów NFZ. Dzięki niej pacjenci nie są pozostawieni sami sobie – mogą podejmować świadome decyzje dotyczące swojego zdrowia i czuć się bezpieczniej.

CardioAI będzie stale rozwijana o kolejne funkcjonalności, które pomogą pacjentom w codziennym życiu z chorobami serca. Chcę, aby aplikacja była realnym wsparciem – zarówno w monitorowaniu zdrowia, jak i w edukacji oraz komunikacji z innymi pacjentami i specjalistami.

## Potrzebna jest kompleksowa opieka



**Dorota Raczek**, prezes Fundacji SMA

Sytuacja osób z SMA w Polsce jest bardzo dobra – mamy dostęp do trzech skutecznych terapii na SMA, co jest naprawdę wyjątkowe w przypadku chorób rzadkich.

Od kilku lat obserwujemy przełom w skali światowej, ale też i u nas w kraju. SMA z choroby śmiertelnej stała się chorobą przewlekłą, co spowodowało kolejne wyzwania w opiece i podnoszeniu jakości życia chorych. W Polsce mamy bardzo dobrze działający program lekowy, w którym ponad 1100 osób jest leczonych w 36 ośrodkach. Niestety, obserwujemy braki w niektórych częściach kraju, jeżeli chodzi o ośrodki dla dorosłych. Od kwietnia 2022 r. działa w Polsce program przesiewowy, który jest jednym z najlepszych i najszybszych na świecie. Dzieci w Polsce często są leczone na SMA już w pierwszych dniach ich życia. Coraz częściej też diagnozowane są późne postacie SMA, świadomość naszej choroby jest coraz większa.

W świecie SMA dzieje się dużo, jeżeli chodzi o farmakoterapię. Staramy się śledzić doniesienia naukowe i wspierać procesy wdrażania nowych rozwiązań, tak aby program lekowy B.102 był uszyty na miarę każdej osoby z SMA i wspierał poprawę jakości życia chorych na SMA w naszym kraju.

Jednak sama farmakoterapia to nie wszystko. Na osobę z SMA musimy spojrzeć szerzej. Opieka koordynowana to kolejny etap naszych działań. Pracujemy teraz z ekspertami medycznymi nad zaleceniami dla osób z SMA w różnych dziedzinach medycyny, tak aby zapewnić naszym chorym kompleksową opiekę i by mogli funkcjonować jak najdłużej w jak najlepszej formie.

## Czekamy na opiekę koordynowaną



Krystyna Wechmann, prezes Federacji Stowarzyszeń Amazonki

Priorytetem na ten rok są działania na rzecz wprowadzenia do szkół edukacji zdrowotnej. Ważnym aspektem profilaktyki jest również działanie na rzecz walki z nałogami. Na plan pierwszy wysuwają się z jednej strony działania ustawowe na rzecz walki z nikotynizmem, ale też rozwój poradni antynikotynowych, by ci, którzy chcą zerwać z nałogiem, mogli skorzystać ze wsparcia specjalistów.

W obszarze diagnostyki najpilniejszą według nas potrzebą jest zapewnienie szerokiego dostępu do nowoczesnych badań genetycznych. Bez tego spora grupa pacjentów onkologicznych z nowotworami piersi, płuca czy prostaty nie może i nie będzie mogła korzystać z dobrodziejstw płynących z nowoczesnych terapii. Jednak sam dostęp do badań to za mało; musimy zadbać również o ich jakość oraz o to, by każdy pacjent nie otrzymał tylko samego wyniku, a pełną poradę i opiekę genetyczną dla siebie i swoich krewnych. Nie będzie to możliwe bez powrotu do prac nad ustawą o badaniach genetycznych.

Liczymy na to, że kobiety z rakiem piersi uzyskają dostęp do nowoczesnych terapii, które nie są jeszcze dostępne w refundacji. Liczymy również na dalsze prostowanie ścieżek pacjentów – na wprowadzenie Lung Cancer Units. Nasi pacjenci często dotknięci są wielochorobowością, potrzebują wsparcia wielu specjalistów, w tym kardiologów, diabetologów i nefrologów. W naszej opinii wsparciem dla tej grupy chorych może być zarówno rozwój opieki koordynowanej – tej w onkologii i w POZ oraz ich wzajemne powiązanie, jak i dalsze realne działania na rzecz odwrócenia piramidy świadczeń.

## Wczesne wykrywanie, szybkie leczenie


Agnieszka Wołczenko, prezes Ogólnopolskiego Stowarzyszenia Pacjentów ze Schorzeniami Serca i Naczyn EcoSerce

Bez wątpienia najważniejszym elementem jest zapobieganie chorobom poprzez pod-



noszenie świadomości społecznej na temat odpowiedniego stylu życia, pozwalającego zapobiegać rozwojowi schorzeń sercowo-naczyniowych. W tym celu niezbędna jest edukacja pacjentów, ale też wielosektorowa współpraca na rzecz edukacji społeczeństwa.

W diagnostyce priorytetem jest wczesne wykrywanie chorób układu krążenia poprzez dostęp do nowoczesnych badań, takich jak EKG, echo serca czy testy wysiłkowe. Niestety, wyzwaniem są długie kolejki do specjalistów i ograniczona dostępność zaawansowanych metod diagnostycznych w niektórych regionach. Wiele osób bagatelizuje pierwsze objawy chorób serca, co prowadzi do późnego rozpoznania i bardziej skomplikowanego leczenia, wpływa przy tym na spadek nastroju i ogólnie pojętą kondycję, nie tylko chorego, ale też jego bliskich.

Leczenie pacjentów kardiologicznych powinno być kompleksowe i dostosowane indywidualnie. Skuteczna farmakoterapia, nowoczesne zabiegi interwencyjne, a także rehabilitacja kardiologiczna pozwalają poprawić jakość życia pacjentów. Wyzwaniem stanowi jednak przestrzeganie zaleceń lekarskich – wielu pacjentów nieregularnie przyjmuje leki lub nie zmienia nawyków, co utrudnia skuteczne leczenie. Dodatkowo koszty terapii i ograniczona refundacja nowoczesnych leków mogą stanowić barierę w dostępie do najlepszej opieki. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Oprac: AK-F, KP

**Leczenie pacjentów kardiologicznych powinno być kompleksowe. W wielu przypadkach wyzwaniem jest przestrzeganie zaleceń terapeutycznych.**



# Trzy objawy choroby systemu zdrowia w Polsce

Rozmowa z **KRZYSZTOFEM ŁANDA**, ekspertem systemu ochrony zdrowia.

**Raport Fundacji Watch Health Care (Barometr WHC) pokazał, że kolejki do lekarzy w Polsce robią się coraz dłuższe. Dane z ubiegłego roku wskazywały, że były najdłuższe, odkąd badania są robione. Dlaczego tak się dzieje?**

Dzieje się dlatego, że ten system jest dysfunkcyjny. Mimo że mamy wielokrotnie więcej pieniędzy niż 20 lat temu – w 2004 r. budżet NFZ wynosił niecałe 30 mld zł, a teraz wynosi 200 mld zł, to kolejki są dwa razy dłuższe niż 10 lat temu. Jedną z głównych przyczyn jest to, że mamy do czynienia z monopsonem – w takiej sytuacji NFZ nigdy nie będzie dbał o efektywność i wydajność opieki zdrowotnej. On prosto finansuje infrastrukturę, a ta infrastruktura, niemalże bez kontroli, po prostu się rozrasta. Polacy myślą, że utworzenie nowego szpitala, nowego oddziału albo zakup nowego sprzętu jest zawsze dobre i pożądane, ale zakupiony sprzęt medyczny sam z siebie nie będzie leczyć ludzi.

Wydamy pieniądze na rozrastającą się infrastrukturę, której potem NFZ nie kontraktuje – po prostu nie ma pieniędzy na wykonywanie świadczeń przy jego użyciu. Sale operacyjne, zamiast pracować przynajmniej 10-20 godzin dziennie, pracują 2 godziny i koniec. A pod koniec roku lekarze nudzą się i nie wykonują operacji, ponieważ NFZ nie ma pieniędzy na finansowanie świadczeń.

Niedawno przeczytałem artykuł, w którym była bardzo dobra diagnoza, że lobby lekarskie ma się świetnie, że ci, którzy produkują wyroby medyczne i którzy zarabiają na rozrastającej się infrastrukturze, też mają się świetnie, natomiast ten trzeci, najważniejszy gracz i teoretyczny beneficjent systemu, czyli pacjent, ma się bardzo słabo.

Pacjent bynajmniej nie jest w centrum systemu. Mimo szumnych zapowiedzi ministra Szumowskiego, nigdy w Polsce nie było value based healthcare. Pa-



cjent będzie zawsze niepotrzebnym elementem całego systemu, dopóki nie będzie miał wyboru, a NFZ nie będzie miał konkurencji. Musi nastąpić upodmiotowienie pacjenta, czyli musi on mieć wybór, gdzie zanieśe składkę zdrowotną. Dzisiaj nie ma żadnego wyboru, a NFZ jest upolitycznioną i zdecydowanie nadregulowaną instytucją.

**Lekarze mają podwyżki zagwarantowane coroczną waloryzacją, to się nie powinno przełożyć na większość dostępność, czyli skrócenie kolejek?**

Jeszcze raz mówię: według mnie NFZ jako monopson nie będzie dbał o wydaj-

ność tego systemu. Dopiero konkurencja podziela ozdrowieńczo. Bez konkurencji, bez możliwości wyboru dla pacjenta, gdzie swoją składkę zdrowotną zanieśe, nic się nie poprawi. System dalej będzie osiadał jak kompost i będzie coraz bardziej dysfunkcyjny.

**Dane o długości kolejek i dostępności do specjalistów oficjalnie raportowane czy też planowane, jak choćby w wyszukiwarce NFZ, się różnią nieco od tych danych wynikających z państwa Barometru. Z czego to wynika?**

Kilkanaście lat temu ukazał się artykuł pt. „Mniemanologia stosowana”, w którym prześledziliśmy (oprócz mnie Konrad Maruszczyk i Bartosz Sękiewicz), jak wygląda raportowanie do NFZ kolejek u poszczególnych świadczeniodawców. Wskazaliśmy m.in., że jeżeli świadczeniodawca nic nie zraportował, to NFZ przyjmował wartość kolejki do danego świadczenia jako zero, czyli bez kolejki.

W naszym Barometrze od 2012 r. monitorujemy tzw. świadczenia wskaźnikowe – przynajmniej raz do roku sprawdzamy, jaki jest czas oczekiwania u świadczeniodawców w całej Polsce. Zewnętrzni ankieterzy dzwonią do placówek medycznych jako pacjenci z konkretną potrzebą zdrowotną i pytają o termin konkretnej wizyty – u specjalisty, na badanie czy zabieg. To bardzo obiektywne badanie. Daje precyzyjne wyniki, jeśli chodzi o średni czas oczekiwania do wszystkich świadczeń wskaźnikowych, które monitorujemy. Zmiana tego czasu oczekiwania jest moim zdaniem najważniejszym wskaźnikiem,

**Mimo że w 2004 r. budżet NFZ wynosił niecałe 30 mld zł, a teraz wynosi 200 mld zł, to kolejki są dwa razy dłuższe niż 10 lat temu.**

w jakiej kondycji jest system opieki zdrowotnej w Polsce i jak politycy sobie radzą – albo raczej nie radzą – z zarządzaniem opieką zdrowotną.

### Znalazł się Pan w gronie ekspertów w radzie ds. ochrony zdrowia wespole deregulacyjnym Rafała Brzosi.

Jestem liderem tak zwanego streamu Zdrowie. W naszej Radzie jest też Dorota Korycińska i Tomasz Zieliński, ale wspiera nas wielu innych ekspertów. Zaangażowało się kilkadziesiąt osób, które pracują w zespołach, zajmują się konkretnymi problemami, deregulacjami czy absurdami.

Są trzy objawy podstawowej choroby systemu. Pierwszy to kolejki, drugi to korzystanie z przywileju, czyli ze znajomości – politycy w Polsce nie stoją w kolejce jak Nowak czy Kowalski. Dopóki będzie równoległy system dla polityków, dostępny od ręki, to nie sądzę, żeby politycy realnie chcieli coś zmienić. A trzecim objawem tej patologii jest korupcja, jawna i zawaalowana, która w ochronie zdrowia jest powszechna.


To trzy objawy choroby, którą jest dysproporcja pomiędzy zawartością koszyka świadczeń gwarantowanych a wielkością środków na jego realizację. Deficyt środ-

kształcie jak dziś. To są pieniądze wyrzucane w błoto, są nieracjonalnie wydatkowane, marnowane, wypływają z Polski. Nic to nie daje pacjentom.

### Czy w propozycjach nadesłanych do rady deregulacyjnej są pomysły, które faktycznie mogą przynieść zmianę?

Pomysły cały czas spływają, jest ich naprawdę dużo i jestem zaskoczony, jak dużo z tych zgłoszeń jest bardzo dobrze przemyślanych, dotyczących naprawdę merytorycznych kwestii. Także pojawia się kwestia konkurencji dla NFZ. Problemem bardzo często podnoszonym jest niewydolny system taryfikacji w Polsce. I znowu powtórzę, nie ma konkurencji, nie ma wolnego rynku, taryfy są ustalane w sposób ułomny i są bardzo rzadko zmieniane.

Absurdem jest nierówność podmiotów – firmy farmaceutyczne w Polsce mogą składać wnioski refundacyjne dla swoich leków, a firmy produkujące wyroby medyczne – nie. To jest dyskryminacja. Dlaczego firmy produkujące wyroby medyczne, nie mogą samodzielnie złożyć wniosku refundacyjnego czy wniosku o wpisanie do koszyka?

Kilka pomysłów dotyczy kwestii ułomnego prawa; zgłaszający przedstawiają problemy, z którymi się zetknęli jako przedsiębiorcy, albo uważają, że coś jest niesprawiedliwe. Część takich zgłoszeń przekierowujemy do innych strumieni, tam, gdzie na przykład chodzi o podatki. Obecnie trwa etap gromadzenia zgłoszeń. My zrobimy to, co możemy. Przygotujemy odpowiednie formatki deregulacji z oceną skutków, z przedstawieniem, co należy zmienić, dlaczego i kto powinien odpowiadać za zmianę. Ale co będzie potem, tego nie wiemy. Politycy deklarują, że są otwarci na zmiany, ale czy one nastąpią i jakie – o tym się przekonamy. 

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Rozmawiał **ADRIAN DĄBEK**

## Do koszyka wpisano zbyt wiele świadczeń. Łatwo wpisuje się nowe świadczenia czy buduje nowe szpitale, a znacznie trudniej zapewnić dla nich odpowiednie finansowanie.

### Gdyby Pan miał jakiś pomysł, a raczej na pewno pan ma, na skrócenie kolejek z szansą na faktyczną realizację, to co by to było?

W pierwszej kolejności zmieniłbym obecny NFZ w ten sposób, że albo bym go podzielił i wprowadził konkurencję do tych powstałych części, żeby po podziale NFZ, te – nazwijmy umownie – kasy chorych, cztery do sześciu w całej Polsce, mogły ze sobą konkurować na obszarze całego kraju. A następnie albo wszystkie, albo niektóre z nich bym sprywatyzował. Albo wprowadziłbym konkurencję do NFZ, zapraszając duży kapitał międzynarodowy, ubezpieczeniowy czy reasekuracyjny do zainwestowania w takie NFZ-Bis, podobne instytucje, które konkurowałyby z NFZ o składkę podstawową i to oczywiście wiązałoby się z bardzo dużymi inwestycjami w Polsce.

Pacjent musi mieć wybór, więc NFZ musi mieć konkurencję. Co można jeszcze zrobić? Trwają prace dotyczące e-rejestracji, ale jestem sceptycznie do nich nastawiony. Ministrowie od dawna zapowiadali tak zwaną e-rejestrację i nigdy jej nie wprowadzili, dlatego że politycy nie chcą pokazać Polakom, jak wielki jest to problem – przecież kolejki są objawem bankructwa NFZ.

ków jest zawsze względny i trzeba go odnosić do zawartości koszyka. U nas do koszyka wpisano zbyt wiele świadczeń – łatwo wpisuje się nowe świadczenia czy buduje nowe szpitale, a znacznie trudniej zapewnić dla nich odpowiednie finansowanie. Dodatkowo koszyk jest dziurawy, bo nie jest zdefiniowany za pomocą technologii medycznych, jak koszyki w krajach, które są liderami, mają najlepsze systemy opieki zdrowotnej, jak Holandia i Szwajcaria w Europie czy Australia i Singapur na świecie. Tam koszyki są zdefiniowane za pomocą technologii medycznych. U nas wprawdzie części lekowe koszyka są zdefiniowane za pomocą technologii medycznych, czyli za pomocą kolokacji: wskazanie-interwencja, wskazanie-interwencja, natomiast części nielekowe są bardzo słabo zdefiniowane i tam pieniądze publicznie wyciekają w piach.

Jestem przeciwnikiem zwiększania środków na opiekę zdrowotną w takim

### Krzysztof Łanda

– ekspert ds. systemu ochrony zdrowia, lekarz, w latach 2015-2017 wiceminister zdrowia odpowiedzialny za politykę lekową i refundację.



**Swixx** BioPharma  
Modern Medicines for All

**Innowacyjne metody leczenia.**

**Pacjent zawsze w centrum  
naszych działań.**

**Profesjonalny,  
pełen pasji zespół.**

Swixx BioPharma to firma farmaceutyczna reprezentująca portfolio spółek międzynarodowych oferujących produkty biofarmaceutyczne, produkty dostępne bez recepty oraz wyroby medyczne, zastępująca ich spółki zależne lub jednostki organizacyjne na rynkach, na które nie chcą one wkraczać, lub z których chcą się wycofać.

Nasz oddany zespół, który za cel stawia sobie poprawę wyników leczenia pacjentów, nieustrudzenie dąży do zapewnienia potrzebującym dostępu do nowoczesnych leków od naszych partnerów.

Swixx BioPharma specjalizuje się w czterech strategicznych obszarach leczenia, wprowadzając wysoce innowacyjne, nowe terapie w zakresie chorób rzadkich, onkologii/hematologii, opieki specjalistycznej i szczepionek.

**SWIXX BIOPHARMA SP. Z O.O.**  
UL. PROSTA 51, 00-838 WARSZAWA  
TELEFON: +48 22 460 07 20  
E-MAIL: [poland.info@swixxbiopharma.com](mailto:poland.info@swixxbiopharma.com)

PM-PL-2024-6-3845  
Data zatwierdzenia materiału 21.06.2024 r.







porozmawiajmy  
szczerze  
o otyłości

X



Patroni merytoryczni:



**Słuchaj serca.  
Lecz otyłość.**

