

Lublin, 15.07.2020

**Szanowny Pan Maciej Miłkowski
Podsekretarz Stanu
Ministerstwo Zdrowia**

Szanowny Panie Ministrze,

w imieniu hematologów zrzeszonych w Polskiej Grupie Szpiczakowej i Polskim Konsorcjum Szpiczakowym zwracamy się do Pana w związku z pogłębiającą się dysproporcją w dostępie do nowoczesnych terapii przeciwszpiczakowych między Polską, a innymi krajami europejskimi.

Od 2013 roku w Unii Europejskiej zarejestrowano 7 nowych substancji do leczenia chorych ze szpiczakiem plazmocytowym. Są to: daratumumab, elotuzumab, iksazomib, izatuksimab, karfilzomib, panobinostat oraz pomalidomid. Dodatkowo, część nowoczesnych leków zostało udostępnionych chorym leczonym w ramach pierwszej linii terapii, co sprawia, że uzyskane efekty terapii są dużo lepsze i trwalsze. Dotyczy to lenalidomidu w skojarzeniu z deksametazonem (RD) oraz w skojarzeniu z bortezomibem (RVD) zarejestrowanego dla chorych starszych oraz lenalidomidu w monoterapii (R) - dla chorych młodszych w ramach leczenia podtrzymującego po transplantacji autologicznej. Do leczenia pierwszoliniowego dopuszczono również daratumumab w skojarzeniu z melfalanem, prednizonem oraz bortezomibem (DVMP) i daratumumab w połączeniu z lenalidomidem i deksametazonem (DRD) u chorych niekwalifikujących się do transplantacji, jak i w skojarzeniu z bortezomibem, talidomidem i deksametazonem u chorych kwalifikowanych do procedury transplantacyjnej (DVTD). Żadna z wymienionych opcji terapii pierwszoliniowej nie jest w Polsce finansowana.

Nowoczesne leki przeciwszpiczakowe stosowane w różnych kombinacjach wykazują bardzo wysoką skuteczność przy niewielkiej toksyczności co ma przełożenie na wydłużenie nie

tylko czasu wolnego od choroby i poprawy jakości życia, ale także w wielu przypadkach na czas całkowitego przeżycia. Potwierdzają to nie tylko prospektywne badania kliniczne, ale także obserwacje z codziennej praktyki klinicznej (RWD).

Udostępnienie w ostatnich latach w ramach programów lekowych części wymienionych substancji tj.: daratumumabu, karfilzomibu, pomalidomidu jedynie nieznacznie poprawiło sytuację chorych. Programy lekowe w istotny sposób zawężają wskazania rejestracyjne. Ograniczenia dotyczą głównie chorych niekwalifikowanych do transplantacji autologicznej: karfilzomib może być stosowany tylko w skojarzeniu z lenalidomidem i tylko z intencją transplantacji autologicznej, analogicznie - daratumumab stosowany tylko z bortezomibem, w drugiej linii może być podawany tylko po procedurze transplantacyjnej. Prowadzi to do sytuacji, że większość chorych (ponad 70%) nie korzysta optymalnie z postępu, który dokonał się w leczeniu szpiczaka plazmocytoowego. Z drugiej strony część leków, jak na przykład iksazomib, nie jest refundowana w ogóle bądź, jak lenalidomid lub daratumumab, jest refundowana dopiero w późniejszych fazach choroby, kiedy skuteczność tych leków jest znacznie mniejsza. Należy także zwrócić uwagę, że leki finansowane w ramach programów lekowych są dostępne tylko w określonych kombinacjach, zwykle mniej skutecznych, np.: karfilzomib może być stosowany tylko z lenalidomidem (KRD) w mniejszej dawce u pacjentów opornych już wcześniej na lenalidomid, podczas gdy dla tej populacji dużo skuteczniejsze byłoby leczenie wyższą dawką karfilzomibu w terapii dwulekowej (KD). Analogicznie daratumumab możemy podawać tylko w skojarzeniu z bortezomibem, a nie w dużo bardziej skutecznej kombinacji z lenalidomidem (DRD) oraz pomalidomid, którego nie możemy formalnie łączyć z bortezomibem (PVD). Reasumując, dostęp do nowoczesnych terapii przeciwszpiczakowych w Polsce w dalszym ciągu pozostaje nieoptymalny.

Największą potrzebą jest poprawa warunków terapii chorych, którzy dotychczas najmniej skorzystali z wprowadzenia nowych leków tj.:

- umożliwienie stosowania lenalidomidu (RD) u chorych starszych w pierwszej linii terapii,
- stosowanie iksazomibu (IRD) u chorych leczonych z powodu opornego lub nawrotowego szpiczaka obciążonych niekorzystnymi genetycznymi czynnikami rokowniczymi,

- udostępnienie karfilzomibu w większej dawce w skojarzeniu z deksmetazonem u chorych leczonych z powodu opornego szpiczaka plazmocytowego (KD),
- dopuszczenie stosowania daratumumabu z lenalidomidem (DRD) u chorych z nawrotowym lub opornym szpiczakiem oraz daratumumabu w skojarzeniu z bortezomibem, talidomidem i deksametazonem (DVTD) u chorych kwalifikowanych do transplantacji autologicznej.

Jesteśmy świadomi ograniczeń, ale wierzymy, że zwiększenie dostępu chociaż części nowoczesnych terapii, w grupie wyselekcjonowanych chorych, istotnie wpłynie na poprawę wyników leczenia oraz jakość życia chorych.

Jesteśmy gotowi w każdej chwili pomóc Państwu w optymalizacji strategii leczenia i doborze tych populacji pacjentów, którzy najbardziej skorzystają na poprawie dostępu do nowoczesnych terapii.

Z wyrazami szacunku,



Prof. dr hab. Krzysztof Giannopoulos

Reprezentant Prezydium
Polskiej Grupy Szpiczakowej



dr hab. Dominik Dytfeld

Prezes Zarządu
Polskiego Konsorcjum Szpiczakowego