

Warszawa, 12 marca 2021 r.

**Anna Kupiecka**  
**Prezes Zarządu Fundacji OnkoCafe-Razem Lepiej**

*Szanowny Pani Prezes,*

W odpowiedzi na Pani pismo z dn. 4 marca 2021 r. pragnę przedstawić stanowisko Polskiej Grupy Szpiczakowej (PGSz) dotyczące priorytetów wśród niezaspokojonych potrzeb medycznych w zakresie dostępu do zarejestrowanych terapii dla polskich pacjentów z rozpoznaniem szpiczaka plazmocytoowego. Chciałbym podkreślić, że stanowisko to zostało wypracowane w ramach wewnętrznych konsultacji Prezydium PGSz i należy je traktować jako reprezentatywne dla Grupy.

Nowoczesne leki przeciwszpiczakowe stosowane w różnych kombinacjach cechują się wysoką skutecznością przy niewielkiej toksyczności, co przekłada się na znaczne wydłużenie czasu wolnego od choroby i poprawę jakości życia, a w wielu przypadkach skutkuje dłuższym czasem całkowitego przeżycia. Od 2013 roku w Unii Europejskiej zarejestrowano 8 nowych substancji do leczenia chorych ze szpiczakiem plazmocytoowym. Są to: daratumumab, elotuzumab, iksazomib, izatuksimab, karfilzomib, panobinostat, pomalidomid i belantamab mafodotin. Wskazania rejestracyjne dla nowych schematów terapii opartych na tych lekach obejmują przede wszystkim pacjentów ze szpiczakiem nawrotowym i opornym na wcześniejsze linie leczenia, co umożliwiło uzyskiwanie odpowiedzi klinicznych u tych chorych i co za tym idzie znaczną poprawę rokowania. Dodatkowo, część nowoczesnych leków zostało udostępnionych chorym leczonym w ramach pierwszej linii terapii, co sprawia, że uzyskiwane efekty 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). Wysoka skuteczność i dobra tolerancja tych terapii została potwierdzona nie tylko w prospektywnych badaniach klinicznych, ale także w licznych opublikowanych obserwacjach z codziennej praktyki klinicznej (dane RWD).

Niestety, żadna z wymienionych opcji terapii pierwszoliniowej nie jest w Polsce finansowana, a dostęp do zarejestrowanych, nowoczesnych terapii w przypadku choroby nawrotowej i opornej jest również bardzo ograniczony. Należy podkreślić, że niektóre z tych substancji tj.: daratumumab, karfilzomib i pomalidomid zostały w ostatnich latach udostępnione polskiemu chorym z nawrotem szpiczaka plazmocytoowego, co niewątpliwie przyczyniło się do

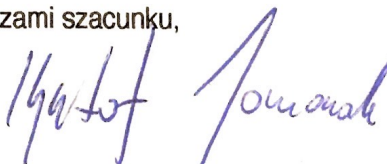
poprawy sytuacji. Jednak istotne ograniczenia wynikające z kryteriów włączenia i wyłączenia zapisanych w Programie Lekowym powodują, że bardzo wielu pacjentów nie jest w stanie skorzystać z tych terapii.

Reasumując, w opinii członków PGSz dostęp do nowoczesnych terapii przeciwszpiczakowych w Polsce w dalszym ciągu pozostaje nieoptymalny. Wśród najistotniejszych niezaspokojonych potrzeb w zakresie nowych terapii dla chorych na szpiczaka plazmocytoowego należy wymienić przede wszystkim:

- dostęp do lenalidomidu dla chorych starszych w pierwszej linii terapii w postaci schematu RD dla pacjentów ze standardowym ryzykiem cytogenetycznym oraz schematu RVD dla pacjentów z wysokim ryzykiem cytogenetycznym
- dostęp do karfilzomibu w większej dawce w skojarzeniu z deksametazonem u chorych leczonych z powodu opornego szpiczaka plazmocytoowego (schemat KD)
- dostęp do daratumumabu w skojarzeniu z lenalidomidem (schemat DRD) u chorych z nawrotowym lub opornym szpiczakiem oraz w skojarzeniu z bortezomibem, talidomidem i deksametazonem (schemat DVTD) u chorych kwalifikowanych do transplantacji autologicznej. Ponadto, lek ten powinien być udostępniony w zarejestrowanej formie podskórnej, która wiąże się z mniejszą toksycznością i znacznym skróceniem pobytu chorego w szpitalu
- dostęp do iksazomibu w schemacie (IRD, iksazomib, lenalidomid, deksametazon) dla chorych leczonych z powodu opornego lub nawrotnego szpiczaka obciążonych niekorzystnymi genetycznymi czynnikami rokowniczymi

Jesteśmy świadomi ograniczeń finansowych, które nie pozwalają na szybką refundację wszystkich nowoczesnych schematów leczenia szpiczaka plazmocytoowego, które uzyskały rejestrację w Unii Europejskiej. Z drugiej strony, wierzymy jednak, że zwiększenie dostępu przynajmniej do części z nich, w tym szczególnie do wymienionych powyżej opcji terapii, wpłynie znacząco na poprawę wyników leczenia oraz jakości życia chorych w Polsce.

Z wyrazami szacunku,



Prof. dr hab. Krzysztof Jamroziak

Reprezentant Prezydium Polskiej Grupy Szpiczakowej