

MAŁGORZATA GAŁĄZKA-SOBOTKA

Polska medycyna musi być innowacyjna



TYGODNIK LISICKIEGO

LUTY 2018

DO RZECZY O ZDROWIU

DODATEK SPECJALNY

Chcemy mieć polskie leki?
Potrzebne wsparcie dla firm

HEMOFILIA:
LECZYMY
CZY SKAZUJEMY
NA POWIKŁANIA?



Gen, który szkodzi płucom

**Biotechnologia
i choroby rzadkie**

PARTNER WYDANIA





Z dr Małgorzatą Gałązką-Sobotką
rozmawia Katarzyna Pinkosz

Innowacje w Polsce



KATARZYNA PINKOSZ: Polska medycyna może być innowacyjna?

DR MAŁGORZATA GAŁĄZKA-SOBOTKA: Musi. Trzeba sięgnąć po innowacyjne technologie lekowe i nielekowe, rozwiązania organizacyjne w zakresie dystrybucji świadczeń opieki zdrowotnej, by stawić czoła wyzwaniom w zakresie opieki zdrowotnej. A te będą rosnąć – po pierwsze, z powodu starzejącego się społeczeństwa i wydłużenia życia, a po drugie z faktu, że coraz bardziej interesujemy się zdrowiem. Wzrasta nasza chęć działań profilaktycznych: będziemy coraz częściej chodzić do lekarza nie z powodu choroby, tylko dlatego, żeby sprawdzić, czy wszystko jest w porządku.

Te dwa zjawiska – wzrost świadomości, odpowiedzialności za zdrowie oraz starzenie się społeczeństwa – będą lawinowo zwiększać zapotrzebowanie na opiekę zdrowotną. To zmusza nas do sięgnięcia po innowacyjne metody leczenia, które zwiększą skuteczność i obniżą łączne koszty choroby, a także po bardziej skutecznych i efektywnych metodach organizowania leczenia w oparciu o technologie telemedyczne.

Czy polskie firmy farmaceutyczne mogą stać się konkurencyjne dla dużych innowacyjnych firm światowych produkujących leki?

Niestety, Polska wypada słabo w statystykach innowacyjności. Według najnowszego raportu Innovation Union Scoreboard 2017 znaleźliśmy się wśród krajów o umiarkowanej innowacyjności, określanej jako moderate innovators, za nami są z krajów Europy tylko Bułgaria i Rumunia. Wśród największych inwestorów w B+R w Polsce jest tylko kilka firm farmaceutycznych. Nakłady polskich firm farmaceutycznych są kilkakrotnie niższe od nakładów zagranicznych firm, w tym również tych z Europy Wschodniej – Węgier, Słowenii czy Chorwacji. Przyczyny tkwią w naszej historii, zapóźnieniach rozwoju gospodarczego i mentalnej spuściznie po okresie komunizmu. O innowacyjności naszych przedsiębiorstw w obszarze technologii lekowych i nielekowych mówimy jako o procesie, który ma kilkanaście lat historii i nadal raczkuje. Od lat mówimy o budowaniu kultury innowacji, tworzymy ramy prawne, finansowe i infrastrukturalne,

by pobudzać innowacje. Cieszymy się, że rośnie liczba polskich patentów, ale jeszcze daleka droga do komercjalizacji nowych technologii lekowych. Potrzebujemy wielu systemowych rozwiązań, by prowadzone w Polsce projekty badawcze mogły zakończyć się wymiernymi efektami w postaci rejestrowanych nowych leków polskich producentów.

Premier Mateusz Morawiecki zapowiadał, że Polska będzie stawiać na innowacyjność i biotechnologie. Są na to realne szanse?

Mamy doskonały potencjał, świetnie wykształconych lekarzy, biotechnologów, bioinformatyków, infrastrukturę akademicką, która coraz bardziej umiejętnie wchodzi w relacje z biznesem. Jeśli ten cel ma być urzeczywistniony, to potrzebujemy stworzenia ekosystemu innowacji. Konieczny jest stały rozwój instrumentów finansowania projektów realizowanych we współpracy nauki i biznesu, komercyjnych i niekomercyjnych badań klinicznych. Mamy potencjał, a jeśli pojawią się też decyzje systemowe, to nie widzę powodu,

by się nam nie udało. Na drogę do budowania innowacyjnej gospodarki w obszarze biotechnologii wchodził kiedyś Izrael, z naszego regionu Słowenia i Czechy. Te kraje też kiedyś były na początku tej drogi.

Dzisiaj mówimy – tak odczytuję wypowiedź premiera Morawieckiego – że to jest nowe otwarcie dla rozwoju innowacji w obszarze biotechnologii. Państwo deklaruje determinację i gotowość do konsekwentnych działań w tym obszarze. Należy obserwować oczekiwania firm, które już dzisiaj prowadzą prace badawczo-rozwojowe i nie mogą czekać na ugruntowanie się nowych regulacji oraz mechanizmów. Niezauważone, zlekceważone tracą swój potencjał lub – co gorsza – zostaną zmotywowane, by w innym kraju poszukać „lepszego klimatu do rozwoju”. A propozycje dzisiaj płyną z wielu stron. Podam przykład, który obserwuję od kilku miesięcy: polskiej grupy biotechnologicznej, która pracuje nad kilkoma cząsteczkami i boryka się z gigantycznym problemem braku odpowiedniego zaplecza laboratoryjnego, które byłoby dostępne na preferencyjnych warunkach. Proponowane dzisiaj instrumenty finansowego wsparcia szyte są tylko dla dużych. Małym firmom państwo, Polski Fundusz Rozwoju, pomaga tylko wówczas, gdy znajdzie się dodatkowy inwestor – a o takich trudno na raczkującym polskim rynku innowacji. Trzeba stworzyć bardziej elastyczny system wsparcia, uwzględniający zróżnicowane potrzeby i możliwości pionierów polskich innowacji.

Polskie leki biotechnologiczne byłyby szansą dla polskich pacjentów również ze względu na niższe ceny?

Im więcej firm, ośrodków badawczych, tym szanse dla pacjentów rosną. O cenie leku decyduje jednak koszt jego stworzenia i zasięg komercjalizacji. Niestety, nowoczesne technologie charakteryzują się coraz wyższymi kosztami, ale ich skuteczność daje również ogromne oszczędności i przynosi wymierne korzyści – w postaci wyleczenia lub wydłużenia życia i poprawy jego jakości.

Innowacje w medycynie i biotechnologii mogą być szansą dla chorych z chorobami rzadkimi, dla których do tej pory nie było leków?

W kontekście chorób rzadkich dotykamy szczególnie kwestii niekomercyjnych badań klinicznych. Wiele firm farmaceutycznych nie podejmuje tematu rozwoju leków na choroby rzadkie. Tutaj jest ogromna rola państwa i niekomercyj-

nych badań klinicznych, których w Polsce jeszcze nie prowadzimy. Powinniśmy włączać się w międzynarodowe konsorcja badawcze – ze względu na konieczność opieki nad pacjentami, których los zderzył z chorobą rzadką, na którą nie cierpi wiele osób, więc może być nieatrakcyjna dla firm farmaceutycznych.

Nasze konstytucyjne i moralne zobowiązanie to robić wszystko, by poprawić los osób z chorobami rzadkimi. W tym obszarze niekomercyjne badania kliniczne i stworzenie systemu ich wsparcia to ważne zagadnienia w tworzeniu strategii rozwoju biotechnologii w Polsce.

Innowacje to też innowacyjne zarządzanie. Na czym miałyby ono polegać?

Konieczne jest rozpowszechnienie telemedycyny, nowoczesnych technologii komunikacyjnych. Wszystko po to, by zwiększyć dostępność do leczenia, zmniejszając obciążenie lekarzy i pielęgniarek. Tego potrzebuje polski system ochrony zdrowia.

Telemedycyna, e-recepta, diagnozowanie przez sztuczną inteligencję – czy to dobre kierunki rozwoju?

Na pewno nieuniknione. Za 10–30 lat wiele decyzji, które dziś podejmują lekarze, będzie być może podejmował komputer, sztuczna inteligencja, która łącząc miliony danych, postawi diagnozę i pokaże drogę postępowania.

A lekarz?

Będzie mógł skupić się nad tym, co również dzisiaj jest jedną z największych potrzeb pacjenta, czyli nad prowadzeniem go w chorobie. Da choremu instrukcję, jak się odnaleźć, jak żyć z chorobą, gdyż sam proces postawienia diagnozy i leczenia może być zorganizowany na poziomie sztucznej inteligencji. Jeszcze 20 lat temu wydawało się nam to abstrakcją, a dziś staje się realne. Być może w takiej rzeczywistości przyjdzie nam żyć. Nie zmieni to jednak potrzeby uwagi lekarza, jego psychospołecznej i fizycznej opieki nad pacjentem. Wiele chorób, uznawanych jeszcze niedawno za śmiertelne, dziś jest przewlekłych, dlatego musimy nauczyć się z nimi funkcjonować. Tego zawsze będziemy oczekiwać od lekarza. Dlatego tak dużo mówię się o powrocie do humanistycznego rdzenia tego zawodu.

Minister Łukasz Szumowski mówił niedawno, że potrzebna jest szeroka debata o ochronie zdrowia. O czym powinniśmy rozmawiać?

To musi być debata ustrojowa: powinniśmy odpowiedzieć na pytania: Jaką rolę – jako obywatele – powinniśmy odgrywać w systemie zabezpieczenia naszego zdrowia? Jakie są nasze oczekiwania i nasza odpowiedzialność? Nawet najbogatsze państwo nie będzie w stanie podołać wszystkim wyzwaniom zdrowotnym. Konieczna jest dyskusja o relacji obywatel – państwo, o prawach, a także o obowiązkach. Swoim stylem życia i wyborami decydujemy, jak dysponujemy naszym zdrowiem. A państwo musi stworzyć takie rozwiązania systemowe, które pozwolą nam wspierać w chorobie, ponieważ sami rzadko kiedy sobie z nią poradzimy.

Musimy odpowiedzieć na pytania: Do czego dąży nasz system ochrony zdrowia i co jest miarą jego efektywności? Kiedy opieka zdrowotna, za którą płacimy składkę, jest efektywna?

Czyli czy pieniądze wydane na ochronę zdrowia nie są wyrzucane w błoto?

Właśnie. Musimy zacząć mierzyć efekty zdrowotne, stworzyć mechanizmy finansowe, które będą prowadziły do szybkiego wyleczenia lub opanowania choroby, a uchronią nas przed nieuzasadnionymi procedurami. Trzeba określić w politycznym konsensusie, jak wysoki powinien być poziom finansowania ochrony zdrowia, jak wysoka składka akceptujemy lub jakie dodatkowe opłaty jesteśmy w stanie zaakceptować, aby zagwarantować sobie bezpieczeństwo zdrowotne. Pewne jest też to, że musimy zerwać z tradycją „interwencyjnych” reform, które nie odwołują się do wizji systemu, dlatego są tak mało efektywne i zasadniczo nic nie zmieniają. Powodują tylko frustrację osób, które muszą je wdrażać, oraz tych, którzy muszą być „ofiarami” tych reform.

Co chcemy osiągnąć w systemie zdrowia w Polsce za 5, 10 lat? Jak sprawdzimy, czy to się udało? Czy żyjemy dłużej w zdrowiu? Czy szybciej wykrywamy nowotwory? Czy ograniczamy koszty społeczne chorób? Bez twardej analizy systemu, pomiaru efektywności, analizy błędów i promocji dobrych praktyk nie stawimy czoła wyzwaniom, które narastają.

© Wszelkie prawa zastrzeżone



Doktor Małgorzata Gałzka-Sobotka, dyrektor Centrum Kształcenia Podyplomowego oraz Instytutu Zarządzania w Ochronie Zdrowia Uczelni Łazarskiego.



Rozmowa z Markusem Siegerem, prezesem zarządu Grupy Polpharma

Impuls dla gospodarki

MONIKA DŁUGOSZ: Polpharma jest liderem polskiego rynku farmaceutycznego. Jednak firmy zagraniczne, globalne, działające w Polsce, coraz więcej inwestują w badania i rozwój w Polsce. Niedawno Servier otworzył w Warszawie swoje laboratorium kontroli jakości, Roche współpracuje z UW przy tworzeniu projektu BioMed Academy. A jaka będzie na to odpowiedź Polpharmy?

MARKUS SIEGER: Bardzo się cieszymy, że wielkie międzynarodowe koncerny zaczęły inwestować w Polsce, że cenią wiedzę i kompetencje Polaków. Nie można jednak porównać skali inwestycji tych firm do inwestycji Polpharmy. Jesteśmy nie tylko największą polską firmą farmaceutyczną, lecz także największym inwestorem w polskiej ochronie zdrowia, co wykazał raport opublikowany przez Centrum im. Mikołaja Kopernika w czasie ostatniego Forum Ekonomicznego w Krynicy.

Polska to dla Polpharmy kluczowy rynek. Przyczyniamy się do rozwoju polskiej gospodarki, ponieważ to tu opracowujemy swoje leki, tu je produkujemy w oparciu o najnowocześniejsze

technologie, stąd je również eksportujemy, przez co realnie wpływamy na wzrost gospodarczy oraz poprawę bilansu handlowego kraju. Od 2000 r. zainwestowaliśmy już ponad 3 mld zł w nowoczesne zakłady, laboratoria oraz badania i rozwój nowych produktów. Rozwijamy się w segmencie zaawansowanych leków generycznych, które wykorzystują innowacyjne technologie oraz przyjazne dla pacjenta postaci leków, zwiększające komfort terapii. Chciałbym podkreślić, że nie wszyscy producenci leków generycznych w Europie i poza nią mają kompetencje do rozwijania tego typu produktów, nazywanych w języku farmaceutycznym „difficult to make”.

Inwestujecie też w biotechnologię?

To nasz drugi priorytet. Leki biologiczne są nadzieją dla wielu pacjentów cierpiących na ciężkie choroby (np. nowotwory, choroby immunologiczne), w przypadku których stosowane do tej pory terapie lekami tradycyjnymi, opartymi na związkach chemicznych, okazały

się nieskuteczne. Nasze inwestycje biotechnologiczne obejmują laboratorium badań i rozwoju oraz obszar produkcji ulokowane w Gdańskim Parku Naukowo-Technologicznym, a także nowo budowaną fabrykę w Duchnicach pod Warszawą, gdzie będzie prowadzona produkcja z przeznaczeniem na rynek globalny. Nowa fabryka to jeden z najnowocześniejszych zakładów produkcji biotechnologicznej w Europie i największa inwestycja prowadzona od zera w polskiej branży farmaceutycznej w ostatnich latach. Do tej pory przeznaczaliśmy ok. 700 mln zł na rozwój i produkcję leków biologicznych, a w ciągu następnych kilku lat zamierzamy zainwestować kolejne 1,3 mld zł.

Biotechnologia ma być kołem zamachowym polskiej gospodarki. Co to właściwie oznacza?

Budowa silnego przemysłu biofarmaceutycznego w Polsce nie tylko umożliwi pacjentom dostęp do najnowocześniejszych terapii, a polskiej gospodarce da impuls do rozwoju w jednym z najbardziej innowacyjnych sektorów medycyny, lecz

także da nam szansę na ekspansję zagraniczną – na wzór Stanów Zjednoczonych, Wielkiej Brytanii, Szwajcarii czy Korei Południowej. O ile w produkcji generycznej jest ogromna konkurencja, o tyle sektor biotechnologiczny, jako bardziej kosztochłonny i zaawansowany technologicznie, jest bardziej elitarny. Kierunek ten wpisuje się w Strategię na rzecz Odpowiedzialnego Rozwoju, wspierając globalizację polskiego przemysłu, rozwój innowacyjnych technologii i nowoczesnej infrastruktury, a także budowę nowoczesnych kompetencji we współpracy z nauką.

Polska może stać się potentatem w produkcji leków biotechnologicznych?

Mamy potencjał w tej dziedzinie. Jednak polski sektor biofarmaceutyczny jest jeszcze bardzo młody, a rozwój i produkcja leków biologicznych są wciąż wielkim wyzwaniem dla polskich firm ze względu na konieczność posiadania odpowiednich kompetencji oraz bardzo wysokie koszty inwestycji. Będziemy w stanie reinwestować nasze zyski w biotechnologię wtedy, gdy nasza podstawowa działalność w dziedzinie leków generycznych będzie dalej się rozwijać. Niestety, wobec często zmieniających się warunków prowadzenia biznesu i stałej presji na obniżkę cen staje się to coraz trudniejsze. Dlatego odpowiednie warunki do funkcjonowania branży generycznej mają istotny wpływ także na rozwój polskiej biotechnologii. Zważywszy, że cykl inwestycyjny i rozwojowy w branży farmaceutycznej jest dłuższy od cykli politycznych, szczególnie ważne jest dla nas zapewnienie stabilności regulacji oraz strategiczne porozumienie na poziomie administracji publicznej i wszystkich kluczowych interesariuszy, by tę dziedzinę wspierać. Potrzebne są skuteczne rozwiązania prawne, instrumenty finansowania działalności badawczo-rozwojowej i tworzenie centrów kompetencyjnych, by w pełni wykorzystać potencjał tego młodego sektora. Liczymy na to, że ze względu na wielkość i strategiczny wymiar inwestycji w dziedzinie biotechnologii realizowanych przez Polpharmę będziemy ważnym partnerem polskiego rządu w tworzeniu pozytywnych warunków regulacyjnych i biznesowych dla polskiej biotechnologii.

Większość leków sprzedawanych w Polsce to leki powstałe za granicą. Jest szansa, że będzie odwrotnie, że będziemy się leczyć polskimi lekami?

Tak. Jednym z instrumentów, które mogą wesprzeć produkcję farmaceutyczną w Polsce, jest projekt – RTR, czyli Refundacyjny Trybu Rozwojowego. To znakomita inicjatywa polskiego rządu, która ma szansę sprawić, by ogromne pieniądze, które jako państwo wydajemy na refundację leków, mogły jednocześnie służyć polskiej gospodarce.

Istotą tego mechanizmu jest określenie, jaki wpływ na polską gospodarkę ma dana firma, m.in. poprzez produkcję prowadzoną w Polsce, płacone podatki, eksport, zatrudnienie, wydatki na innowacje. Instrument ten przełoży się na dalszy wzrost polskiego PKB, jeśli wpływ danej firmy na gospodarkę będzie realnie brany pod uwagę przy decyzjach refundacyjnych i kształtowaniu cen leków. Dzięki temu pacjent otrzyma szansę leczenia produktami wytwarzanymi w kraju, firma produkująca w Polsce – możliwość dalszego rozwoju, a krajowa gospodarka – jeszcze więcej środków do podziału na cele zgodne z polską racją stanu.

RTR to mechanizm skierowany nie tylko do firm polskich, lecz także zachęta dla firm zagranicznych, by – poprzez lokowanie produkcji w Polsce – pomagały budować krajową gospodarkę. Inwestycje globalnych koncernów w lokalną produkcję dałyby możliwość także polskim podmiotom rozwoju partnerstwa biznesowego i naukowego.

Będziemy też sprzedawać polskie leki za granicę?

Sektor biotechnologiczny jest ze swej natury globalny. Nakłady na rozwój pojedynczego leku, również biopodobnego, są tak wysokie, że tylko jego komercjalizacja na całym świecie pozwala wygenerować zyski, dające możliwość finansowania kolejnych projektów. Trafnie wybrany produkt i jego szybki rozwój umożliwiający wejście na rynek tuż po wyczerpaniu ochrony patentowej jest gwarancją globalnego sukcesu. Inwestycje w biotechnologię są zatem szansą na ekspansję zagraniczną polskich producentów, dając im szansę na konkurowanie na poziomie światowym w najnowocześniejszej grupie leków.

Dlaczego wspieranie biotechnologii ma się nam opłacać?

Dzięki niższym kosztom terapii lekami biopodobnymi więcej polskich pacjentów cierpiących na ciężkie choroby będzie mogło skorzystać z nowoczesnego

leczenia. Oznacza to również zmniejszenie wydatków dla płatnika, a co za tym idzie – uwolnienie środków na inne leki potrzebne pacjentom. Biotechnologia, będąc przemysłem wysokich technologii, wymaga również aktywnej współpracy z nauką. Stwarza to możliwość rozwoju polskim naukowcom, pozwala na wspólne pozyskiwanie środków unijnych z uczelniami i ośrodkami naukowymi oraz przyczynia się do rozwoju polskiej gospodarki. To także unikalna szansa globalizacji polskich produktów i zwiększenia konkurencyjności kraju w wyjątkowo innowacyjnej dziedzinie. Słowem – Polska ma ogromny potencjał, by zbudować silny lokalny przemysł biotechnologiczny, który będzie w stanie konkurować w skali międzynarodowej. Może to przynieść nam wszystkim znaczące korzyści, ale wymaga skoordynowanych działań ze strony rządu, wspierających rozwój tego młodego sektora.

Wspomniał pan o lekach biopodobnych. Co to za leki?

Leki biologiczne (biotechnologiczne) to duże, złożone struktury białkowe, które powstają przy udziale żywych organizmów, np. komórek bakterii, drożdży, ssaków. Dają możliwość skutecznego i bezpiecznego leczenia w przypadku ciężkich chorób, takich jak nowotwory, choroby sieroce czy schorzenia o podłożu immunologicznym, dla których nie było dotąd możliwe zastosowanie leków wytworzonych tradycyjnie. Terapie biopodobne są biorównoważne w stosunku do leków biologicznych już dopuszczonych do obrotu, mogą stanowić ich zamienniki. Ich skuteczność, bezpieczeństwo i jakość są potwierdzone wieloma badaniami. Produkcja i wprowadzenie do sprzedaży leków biopodobnych po wygaśnięciu ochrony patentowej są kluczowe, by móc obniżyć wydatki na leki, zwiększyć dostępność do terapii. Dlatego na rozwoju tych produktów Polpharma postanowiła się skupić w pierwszej kolejności.

© Wszelkie prawa zastrzeżone

rozmawiała Monika Długosz



Markus Sieger – prezes zarządu Grupy Polpharma, która jest liderem polskiego rynku farmaceutycznego oraz największym polskim producentem leków i substancji farmaceutycznych.



Katarzyna Pinkosz

50 lat temu rodzice dziecka z hemofilią mogli usłyszeć, że dożyje najwyżej czterdziestki. Nastąpił taki postęp w leczeniu, że dziś chorzy mogą żyć tyle samo, ile osoby bez hemofilii. A nowe leki dają wręcz możliwość zapomnienia o chorobie

Jakub Kania jest administratorem sieci komputerowej, pracuje w Agencji Rozwoju Przemysłu i na UW. Ma hemofilię, rzadką chorobę krwi, która krzepnie wolniej z powodu niedoboru (lub braku aktywności) czynnika krzepnięcia. Wbrew powszechnym przekonaniom to nie skaleczenia czy zranienia są głównym problemem chorych, tylko krwawienia wewnętrzne – zwykle do stawów i mięśni. Może je spowodować nawet niewielki uraz, uderzenie się, potknięcie, a czasem wręcz występują bez uchwytniej przyczyny. Noga po takim krwawieniu do stawu kolanowego może mocno boleć przez kilka dni, a chory przez wiele dni jest praktycznie unieruchomiony. Najbardziej niebezpieczne są krwawienia do mózgu i innych narządów. Mogą zagrazić życiu.

Żeby krwawienie zahamować, konieczne jest podawanie czynnika krzepnięcia – VIII w przypadku hemofilii A lub IX w przypadku hemofilii B. Leki podaje się w dożylnych zastrzykach.

Nawet niewielkie wylewy niszczą jednak stawy. – Mam mocno zniszczone stawy skokowe. Co prawda nie chodzę o kulach, ale od czasu do czasu zdarzało mi się używać laski – mówi Kania. Ma tylko 27 lat, u starszych chorych stawy są tak mocno uszkodzone, że wielu z nich miało już liczne operacje ortopedyczne, często poruszają się tylko o kulach lub na wózkach inwalidzkich. Przez wiele lat hemofilia była leczona w Polsce gorzej niż niedostatecznie – pod względem zaopatrzenia w leki byliśmy poniżej ustalonego przez WHO minimum niezbędnego do ratowania życia.

Dzięki działalności Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię i grupy hematologów udało się stworzyć prawie 10 lat temu Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię. Leków jest dziś znacznie więcej, poprawiła się też organizacja leczenia. Wcześniej było możliwe



Czekając na przełom

FOT. FOTOLIA

tylko podawanie czynnika po wylewie, co nie zapobiegało powikłaniom stawowym. – W 2008 r. rozpoczęto leczenie profilaktyczne dzieci: dostają czynnik dwa–trzy razy w tygodniu, dzięki czemu ryzyko krwawień jest bardzo małe. Dążymy do tego, by u dzieci w ogóle nie pojawiły się problemy ze stawami i niepełnosprawność. Również u dorosłych z ciężką postacią hemofilii jest możliwość leczenia profilaktycznego – mówi prof. Wojciech Młynarski, pediatra, onkolog i hematolog dziecięcy z Uniwersytetu Medycznego w Łodzi.

NIEBEZPIECZNY INHIBITOR

Szczególnie trudna jest sytuacja chorych, u których pojawiło się powikła-

nie – tzw. inhibitor czynnika krzepnięcia. – U osoby z ciężką postacią hemofilii nie jest wytwarzany czynnik krzepnięcia. Gdy podajemy czynnik dożylnie, układ odpornościowy czasem traktuje go jak obce białko i wytwarza przeciwciała go zwalczające. Pacjent dostaje lek, a i tak ma krwawienia, często groźne – wyjaśnia prof. Młynarski.

U części osób inhibitor sam znika. Jeśli tak się nie stanie, to sposobem na jego pozbycie się jest próba wywołania tolerancji poprzez codzienne podawanie bardzo wysokich ilości czynnika. Leczenie jest jednak drogie i uciążliwe, bo wkłucia do żyły trzeba robić codziennie przez wiele miesięcy. Gdy odczulanie się nie powiedzie,

sposobem leczenia krwawień jest stosowanie tzw. leków omijających. – Są dwa preparaty, jednak to leczenie jest drogie: leki dla pacjenta po urazie mogą kosztować nawet milion złotych. Nie zawsze są też skuteczne – dodaje prof. Młynarski.

CZYNNIK NIECZYNNIK

Dla chorych z inhibitorem nadzieją mogą być nowe leki o innym mechanizmie działania. Nie są czynnikiem krzepnięcia, potrafią jednak zastąpić jego działanie, nie dopuszczając do krwawień. Jeden z nich został zarejestrowany w USA, a niedawno Komitet ds. Produktów Lecznicznych Stosowanych u Ludzi (CHMP) wydał pozytywną opinię na temat jego stosowania w Europie w profilaktyce krwawień u chorych z hemofilią A powikłaną inhibitorem. – Emicizumab może całkowicie zmienić spojrzenie na leczenie hemofilii. Badania kliniczne wykazały jego znacznie większą skuteczność niż leków omijających – zapewnia prof. Młynarski. Dodatkowym atutem jest to, że podaje się go podskórnie raz w tygodniu. Dla chorych, którzy do tej pory musieli wkłuwać się do żyły nawet codziennie, to zmiana jakości życia.

Od roku ten lek przyjmuje Jakub Kania w ramach badania klinicznego prowadzonego u chorych z hemofilią A. – Od tej pory nie miałem ani jednego wylewu! To zupełnie inna jakość życia. Gdy pojechałem do Wilna, przez cały dzień zwiedzałem, a następnego dnia nie miałem wylewu i mogłem dalej chodzić po mieście. Wcześniej to nie było dla mnie możliwe – opowiada.

Profesor Młynarski podkreśla, że lek jest bardzo skuteczny i w jego przypadku rewolucja w leczeniu hemofilii jest bezsprzeczna. – Jednak na całym świecie dopiero uczymy się go stosować. Nie wiemy jeszcze zbyt dużo na temat monitorowania leczenia i potrzebujemy więcej wiedzy o bezpieczeństwie stosowania. Na razie wygląda na to, że lek jest bezpieczny, skoro został zarejestrowany w USA, a lada moment ma być zarejestrowany w Europie – mówi prof. Młynarski.

Chociaż leczenie hemofilii w Polsce bardzo się poprawiło, a liczba czynników krzepnięcia w przeliczeniu na jednego mieszkańca jest już na niezłym poziomie, to wiele problemów pozostaje nierozwiązanych. Czy sytuacja zmieni się wraz z nowym Narodowym Programem Leczenia Chorych na Hemofilię?

© Wszelkie prawa zastrzeżone

Walczymy o zmiany

Rozmowa z **Bogdanem Gajewskim**, prezesem Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię

Na jakie zmiany najbardziej czekają chorzy?

Wszystkich pacjentów z ciężką postacią hemofilii, którzy mają ciężki przebieg choroby, trzeba objąć leczeniem profilaktycznym. Wielu z nich stosuje zbyt małe dawki oraz wstrzykuje leki z nieprawidłową częstością, co powoduje uszkodzenia stawowe i zaniki mięśniowe.

Nie funkcjonują prawidłowo ośrodki leczenia. Hemofilia jest chorobą rzadką, jej powikłania wymagają opieki specjalistów z różnych dziedzin medycyny. Ośrodki powinny zapewniać chorym dostęp do pełnego zakresu diagnostyki i leczenia. Nie mogą istnieć tylko na papierze. Chorzy powinni w nich znaleźć realną pomoc. Kontakt telefoniczny z ośrodkiem powinien być możliwy przez całą dobę. Dzisiaj w nagłych sytuacjach kontakt z lekarzem specjalistą jest utrudniony lub praktycznie niemożliwy. Odnosząc się do międzynarodowych wymagań certyfikacyjnych, już sam brak możliwości kontaktu dyskwalifikuje takie miejsce jako ośrodek sprawujący opiekę nad chorymi na hemofilię. Od lat staramy się o procedury ratownictwa. W przypadku podejrzenia poważnego krwawienia lub urazu u chorego na hemofilię ratownik pogotowia lub lekarz izby przyjęć powinien kontaktować się z ośrodkiem leczenia hemofilii.

Chorzy potrzebują też dostaw domowych leków. Często są to całe pudła leków, których objętość przekracza pojemność małej szafy. Jeśli chory jest osobą niepełnosprawną, to ma ogromny problem z ich przywiezieniem. Zwłaszcza gdy mieszka kilkadziesiąt kilometrów od szpitala. Oszczędza, stosuje mniejsze dawki leków, więc częściej ma wylewy.

Niedługo kończy się Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię. Powstanie nowy?

Powstaje. Jednak czy powstanie? Spotykamy się prawie od roku, prace bardzo się przeciągają. Powinny być zakończone do końca czerwca, gdyż program musi jeszcze trafić do AOTMiT i być przyjęty przed uchwaleniem budżetu na następny rok. Jeśli tak się nie stanie, może to oznaczać chaos w naszym leczeniu. Przez długi czas w pracach nie uczestniczyli odpowiedzialni za program urzędnicy Ministerstwa Zdrowia. A lekarze i pacjenci nie znają się na prawnych uwarunkowaniach tworzenia tego typu programów. Ostatnio na spotkaniu

z posłami, które zorganizowaliśmy w Sejmie, wiceminister Marek Tombarkiewicz zapewnił, że program powstanie. Dziękujemy za tę deklarację. Mamy nadzieję, że tak się stanie.

A co z lekami? Przez wiele lat stowarzyszenie walczyło o dostęp do leków zgodny z zaleceniami światowymi...

Leczenie hemofilii bardzo się zmienia. Klasyczne polega na podawaniu czynników krzepnięcia. Niestety, nawet leczenie profilaktyczne nie chroni w 100 proc. przed krwawieniami, gdyż poziom czynnika w osoczu chorego dość szybko spada. W przypadku nowych terapii, które są obecnie wprowadzane do leczenia, aktywność leku długo utrzymuje się prawie na tym samym poziomie. A to oznacza znacznie lepszą ochronę przed krwawieniami. Na jakość życia chorych wpływa pozytywnie wydłużenie czasu działania nowych leków. Dotyczy to zarówno leków dla chorych na hemofilię A, jak i hemofilię B.

Zapisy Narodowego Programu, który właśnie powstaje, uwzględnią możliwość stosowania nowych terapii?

Narodowy Program powinien organizować całość opieki nad chorymi na hemofilię. Konkurencja nowych leków stworzy szansę na spadek cen. Chorzy dobrze zaopatrzeni w leki przeciwkrwotoczne będą lepiej funkcjonowali i mieli mniej powikłań. Chcielibyśmy, by w ramach programu było możliwe stosowanie nowych terapii i żeby był do nich dobry dostęp na terenie całej Polski. Należy jednak pamiętać o tym, że najnowsze leki działają inaczej niż czynniki

krzepnięcia, dlatego trzeba określić, jak będzie prowadzone leczenie w sytuacjach nagłych, gdy np. zdarzy się wypadek lub pacjent będzie wymagał operacji. Stosowanie nowych terapii powinno być prowadzone pod kontrolą wysoko wyspecjalizowanych ośrodków, by dostosować terapię do sytuacji pacjentów i uniknąć nieprzewidzianych działań ubocznych.

Pacjenci z inhibitorem mają poważnie uszkodzone stawy, często poruszają się na wózkach inwalidzkich lub o kulach. Wprowadzenie nowych terapii to dla nich też szansa na rehabilitację i usprawnienie, by mogli lepiej funkcjonować w życiu. Mamy nadzieję, że niektóre nowe leki będzie też można stosować u pacjentów z hemofilią niepowikłaną inhibitorem. Narodowy Program musi jednak organizować całość opieki nad chorymi na hemofilię: ośrodki, rehabilitację, dostawy domowe. ©



Frank miał niecałe trzy miesiące, gdy trafił do Centrum Zdrowia Dziecka z powodu przedłużającej się tuż po urodzeniu żółtaczki. Złe były też wyniki badań wątroby. W CZD szybko postawiono diagnozę – wrodzony niedobór alfa-1 antytrypsyny (AAT), jednego z białek wytwarzanych w wątrobie. To rzadka choroba genetyczna, która u dzieci zwykle manifestuje się tak jak u Franka – postępującą marskością i niewydolnością wątroby. Prowadzi to często do konieczności wykonania przeszczepu wątroby. U Franka nie był jeszcze konieczny, jednak przy ciężkim niedoborze AAT zdarza się, że trzeba przeszczepić wątrobę nawet u kilkumiesięcznego niemowlęcia.

Co niewydolność wątroby ma wspólnego z rozedmą płuc, czyli przewlekłą obturacyjną chorobą płuc (POChP), powszechnie uważaną za chorobę palaczy papierosów? Otóż genetyczny niedobór AAT manifestuje się u dorosłych znacznie częściej niż u dzieci. Objawy są jednak zupełnie inne i dotyczą przede wszystkim płuc. Alfa-1 antytrypsyna chroni układ oddechowy przed czynnikami szkodliwymi, które niszczą tkankę płuc. Niskie stężenie tego białka prowadzi do stopniowego i nieodwracalnego uszkodzenia ścian pęcherzyków płucnych i rozwoju rozedmy płuc, czyli POChP.

WAŻNA DIAGNOZA

Zadyszka, duszność, kaszel – to typowe objawy POChP. Początkowo pojawiają się one tylko przy dużym wysiłku fizycznym, potem także przy spokojnym spacerze, wykonywaniu codziennych czynności, a jeszcze później nawet przy siedzeniu czy leżeniu. Niewydolność układu oddechowego może prowadzić do niewydolności serca, zwiększa ryzyko przedwczesnej śmierci. W Polsce POChP jest czwartą przyczyną zgonów.

Osobami szczególnie narażonymi na zachorowanie są palacze papierosów. W wyniku narażenia na dym papierosowy, a także szkodliwe pyły, gazy, wreszcie też smog, czyli zanieczyszczenia powietrza, w płucach zaczyna rozwijać się stan zapalny. Brak lub niski poziom AAT w organizmie znacząco osłabia ochronę płuc przed tymi czynnikami, sprzyja rozwojowi choroby płuc i ich trwałemu uszkodzeniu.

– Chorzy z niedoborem alfa-1 antytrypsyny stanowią szczególną grupę chorych, ponieważ choroba płuc rozwija się u nich szybciej, zwykle rozpoczyna się w młodszy wieku i często ma charakter postę-

Gen, który szkodzi płucom



Katarzyna Pinkosz

Na przewlekłą obturacyjną chorobę płuc narażeni są zwłaszcza palacze. Jednak przyczyną może być też mutacja genetyczna. Rozedma płuc postępuje wówczas szybciej i wymaga niestandardowego leczenia

pujący – potwierdza prof. Joanna Chorostowska-Wynimko z Zakładu Genetyki i Immunologii Klinicznej Instytutu Gruźlicy i Chorób Płuc.

Dlatego tak ważne jest jak najwcześniejsze postawienie diagnozy, potwierdzenie, że przyczyną problemów jest właśnie niedobór alfa-1 antytrypsyny. Należy podkreślić, że polscy chorzy mają obecnie szeroki dostęp do diagnostyki na najwyższym poziomie europejskim. Wykonanie badania genetycznego w kierunku niedoboru AAT jest proste, bezpłatne dla pacjenta i może je zlecić każdy lekarz, również pierwszego kontaktu. Do badania wystarczy pobrać kroplę krwi na specjalną bibułę, a po wyschnięciu włożyć ją do koperty i wysłać pocztą do Zakładu Genetyki w Instytucie Gruźlicy i Chorób Krwi.

Jednak chociaż badania genetyczne w kierunku niedoboru AAT są w Polsce dostępne już od 2010 r., to nadal lekarze zalecają ich wykony-

wanie zbyt rzadko. – Od pierwszego opisu związku między obniżonym stężeniem AAT a rozedmą płuc minęło ponad 50 lat, jednak nadal w środowisku medycznym, w tym również w Polsce, pokutuje wiele



błędnych poglądów, które usprawiedliwiają postawę nihilizmu diagnostycznego i terapeutycznego – oburza się prof. Chorostowska. Szacuje się, że w Polsce ciężki niedobór AAT może mieć nawet ponad 4,1 tys. osób. Niestety, zdecydowana większość z nich nie została zdiagnozowana. Większości chorych na POChP takich badań się nie proponuje.

– W środowisku medycznym pokutuje błędny mit, że badania trzeba wykonywać tylko u młodych palaczy, u których rozwija się rozedma płuc. To nieprawda: badania powinno się wykonywać u wszystkich chorych z rozpoznaniem POChP, niezależnie od wieku i stopnia zaawansowania choroby. Kolejną dużą grupą wymagającą diagnostyki są chorzy na astmę oskrzelową, u których występuje niecałkowita odwracalność obturacji oskrzeli, lub chorzy na rozstrzenie oskrzeli, a także dorośli z przewlekłą patologią wątroby o niejasnej przyczynie – dodaje prof. Chorostowska.

Postawienie rozpoznania niedoboru AAT jest ważne nie tylko dla chorego, lecz także dla jego krewnych. Zawsze proponujemy wykonanie badań również najbliższemu – rodzeństwu, rodzicom, potomstwu.

W ten sposób zwiększamy szansę na uchwycenie zagrożenia, jeszcze zanim doszło do uszkodzenia płuc. – U osób z potwierdzonym niedoborem AAT, bez dolegliwości ze strony układu oddechowego, możemy zastosować profilaktykę pierwotną, która jest bardzo prosta: niepalenie papierosów, unikanie narażania na bierno palenie czy zanieczyszczenia środowiska. Życie z daleka od papierosów pozwala radykalnie zmniejszyć ryzyko wystąpienia rozedmy u osób z ciężkim niedoborem AAT do poziomu identycznego jak u zdrowych. Dlatego diagnostyka genetyczna w rodzinach jest tak ważna – przekonuje prof. Chorostowska.

Płuca pięcioletniego Franka na razie są zdrowe, jednak też potrzebują ochrony. – Nikt w jego obecności nie pali papierosów, staramy się chronić go przed infekcjami, w domu mamy oczyszczacz powietrza. Gorzej jest ze smogiem, bo syn chodzi do przedszkola i musi przecież wychodzić na zewnątrz, jednak też staramy się go chronić – mówi Robert Durlik, ojciec Franka i szef Stowarzyszenia na rzecz Osób z Niedoborem Alfa-1 Antytrypsyny w Polsce. Stowarzyszenie działa od półtora roku i stara się szerzyć wiedzę o tej rzadkiej chorobie zarówno wśród pacjentów, rodziców chorych dzieci, jak i wśród lekarzy. – Pacjent czy rodzic dziecka często dowiadują się o diagnozie, ale równie często są pozostawieni sami sobie. Nie wiedzą, co robić. Niewielu jest też w Polsce lekarzy, którzy wiedzą o tej rzadkiej chorobie. Informujemy, gdzie są najlepsi specjaliści, gdzie warto się leczyć – dodaje Robert Durlik.

W POSZUKIWANIU LEKU

Osoby z genetycznie uwarunkowanym niedoborem AAT nie powinny

przede wszystkim palić papierosów. Jeśli POChP już się pojawiło, to konieczne jest jego leczenie zgodnie z aktualną wiedzą. – W Polsce mamy w tej chwili bardzo dobry dostęp do leków stosowanych w POChP i z sukcesem wykorzystujemy je również u chorych z niedoborem AAT. Jednak jest to leczenie wyłącznie objawowe, a przypadku ciężkiego niedoboru białka AAT konieczne jest stosowanie terapii przyczynowej – przekonuje prof. Chorostowska.

Na świecie wciąż poszukuje się metod leczenia ciężkiego niedoboru AAT, w zaawansowanej fazie są np. badania nad terapią genową, która pomogłaby naprawić uszkodzony gen. To jednak jeszcze kwestia lat, a choroba tyle nie poczeka. Na razie jedyną dostępną formą leczenia przyczynowego, a więc przeznaczonego dla chorych z ciężkim niedoborem AAT, jest suplementacja brakującego białka, uzupełnienie jego poziomu w organizmie, by w ten sposób chronić płuca. Lek jest produkowany z osocza zdrowych dawców, a podaje się go w postaci wlewów dożylnych, zwykle raz w tygodniu. Nie jest w stanie co prawda wyleczyć choroby, ale hamuje jej postęp. – Największe korzyści odnoszą chorzy z umiarkowaną i ciężką obturacją: podawanie im leku znacznie spowalnia tempo destrukcji płuc. Coraz częściej mówi się jednak, że powinni być leczeni też chorzy, u których widać szybki postęp choroby, ale u których nie doszło jeszcze do znacznego uszkodzenia płuc. Wyniki badań klinicznych dają nam pewność, że wczesne rozpoczęcie leczenia jest kluczowe. Pozwala uzyskać największą korzyść zdrowotną – przekonuje prof. Chorostowska.

Lek jest od wielu lat stosowany w USA i Europie Zachodniej, a w wielu krajach refundowany. Niestety, w Polsce na razie nie jest dostępny w ramach NFZ, a chorym wciąż nie można zaproponować nic więcej poza standardowym leczeniem POChP i profilaktyką.

– Z pomocą lekarzy chcemy szerzyć wiedzę o tej rzadkiej chorobie genetycznej, starać się o to, by chorzy mieli dostęp do najnowszych metod leczenia, bo postęp w medycynie jest ogromny. Nie można przede wszystkim się poddawać. Znam wiele osób z niedoborem AAT, które dobrze funkcjonują. Trzeba tylko wziąć chorobę jak byka za rogi – dodaje Robert Durlik.

Czy w Polsce jest duże zapotrzebowanie na badania kliniczne?

Coraz większe, bo ostatnie kilka lat to nie tylko badania sponsorowane przez zagraniczne firmy, lecz także intensywny rozwój polskich biotechnologicznych start-upów.

Co Clinmark ma z nimi wspólnego?

Badania kliniczne, które przeprowadzamy na zlecenie firm farmaceutycznych lub biotechnologicznych, to najbardziej skomplikowana, najdroższa część procesu wprowadzenia na rynek nowego leku czy wyrobu

badania. Bo jeśli nie zostaną dobrze zaplanowane, przeprowadzone i udokumentowane, to pojawią się problemy przy rejestracji leku lub wyrobu medycznego, co może spowodować konieczność powtórzenia wartych wiele milionów euro i trwających nierzadko kilka lat badań.

Co może zrobić firma biotechnologiczna, która doszła do etapu badań klinicznych?

Teoretycznie ma trzy drogi – może sprzedać się dużej firmie farmaceutycznej, ale to oznacza zazwyczaj utratę kontroli i w przyszłości znacznej części zysków, może

świadczanie są potrzebne, aby wymyślić lek i przetestować go w laboratorium, a zupełnie inne, aby go przebadać i doprowadzić do rejestracji. Trzeba mieć spryt, wiedzę, jak coś połączyć, gdzie oszczędzić, jak przyspieszyć badanie. To nie jest takie proste. Spotykając się z naukowcami, często widzę totalne niezrozumienie, jak poprowadzić proces komercjalizacji – są bezradni, nie rozumieją, skąd takie koszty. Potrzebują wsparcia i drogowskazu w postaci doświadczonej firmy. W tym biznesie kluczowe znaczenie ma też czas – czasami nawet kilka

i odpowiednich szkoleń, jak komercjalizować koncepcje naukowe. Naukowiec zostaje z problemami sam. Nawet jeśli firma pozyska dofinansowanie z NCBiR, to większość środków musi przeznaczyć na zakup maszyn, zatrudnienie ludzi – niewiele zostaje dla podwykonawców, takich jak firmy zajmujące się badaniami klinicznymi. Tymczasem koszty badań klinicznych to nawet 70 proc. kosztów doprowadzenia leku do rejestracji.

Dlaczego biotechnologie są tak istotne dla rozwoju gospodarki?

Na innowacyjności można zbudować potęgę. Przykład Korei Południowej – to był biedny kraj, zbudowany na skałach. Jedynie, co mieli, to wiedzę i ciężką pracę, dzięki której mogli rozwijać know-how i technologie. Pod względem innowacyjności przeskoczyli Japończyków. LG i Samsung robią wszystko: elektronikę, leki, produkty do medycyny estetycznej, samochody itd. Jednak Koreańczycy mogą liczyć na wsparcie rządu. W Polsce wciąż wiele zdolnych osób ucieka za granicę, choć na szczęście coraz więcej zostaje i tu rozwija swoje pomysły. A przecież biotechnologie to potężna i stabilna gałąź gospodarki. Na całym świecie każdy wyda ostatnią złotówkę na zdrowie. Polacy, przy odpowiednim wsparciu, są w stanie dostarczać swoje pomysły na cały świat. Dla kraju to korzyść wizerunkowa, tym bardziej że mamy potencjał, tylko jesteśmy niedoszacowani. Pokazują przykłady polskich firm, które mają innowacje na tym polu: Selvita bada skuteczność swojego leku na biłaczkę, a Mabion już niedługo zarejestruje nowy lek na nowotwory – pod warunkiem że dobrze im wyjdą badania kliniczne.

Rozmawiała Marta Szuma

Rozmowa z Markiem Wasilukiem, prezesem zarządu firmy Clinmark

Niedoszacowany potencjał



Marek Wasiluk, lekarz, absolwent studiów MBA, prezes zarządu Clinmark, od lat zajmuje się badaniami klinicznymi

medycznego. Do ich przeprowadzenia potrzebne są know-how, doświadczenie, zasoby. A start-upy najczęściej mają pomysł na lek lub wyrób medyczny, opracowania naukowe dotyczące teoretycznego mechanizmu działania produktu, ale nie mają wiedzy, jak go przetestować na zwierzętach i ludziach, aby dane były wiarygodne. A to konieczne, aby można było lek zarejestrować. Jeśli firma ma jeden produkt, to nie oplota tworzyć od podstaw własnego działu badań klinicznych. Clinmark nie tylko realizuje badania, lecz także pomaga klientom w ich planowaniu, przeprowadza konsultacje z odpowiednimi władzami, nadzoruje jakość

wybrać sobie do współpracy dużą zagraniczną firmę, która przeprowadzi badania kliniczne, ale to z reguły oznacza potworne koszty, na które małe firmy z reguły nie stać. I może też wejść we współpracę z mniejszą firmą, taką jak my, która ma już know-how i zasoby, markę, wiarygodność oraz renomę, a także działa na różnych polach, takich jak doradztwo i audyt. Jesteśmy otwarci na taką współpracę, będąc często partnerem polskich firm biotechnologicznych.

Sama taka firma sobie nie poradzi?

Moim zdaniem nie, bo zupełnie inne myślenie i do-

miesiące może stanowić o byciu pierwszym i potężnym zyskach lub nie.

A przecież co rusz słyszymy o nowych środkach na innowacje: UE, z budżetu państwa. To wsparcie jest niewystarczające?

Były zapowiedzi rządowe, że będzie 500 mln zł na innowacje, ale czy tak się stanie – czas pokaże. Tymczasem już dziś polscy naukowcy mają kreatywne pomysły, są innowacyjni i potrzebują środków na rozwój. W Polsce wsparcie dla biotechnologii nie funkcjonuje dobrze, bo nie ma żadnych klastrów, stowarzyszeń firm biotechnologicznych, nie ma dzielenia się know-how