VASCULITIS
Stowarzyszenie Chorych
na Układowe Zapalenia Naczyń

Warszawa, 28-02-2021

Pan
Minister Zdrowia
Dr n. ekonom. Adam Niedzielski
ul. Miodowa 15
00-952 Warszawa

Szanowny Panie Ministrze,

W imieniu Stowarzyszenia Chorych na Układowe Zapalenia Naczyń Vasculitis zrzeszającego chorych, ich bliskich, sympatyków, a także lekarzy i personel pomocniczy zajmujących się zawodowo leczeniem i opieką nad pacjentem zmagającym się z tym rzadkim schorzeniem apelujemy o wprowadzenie zmian w programie lekowym ujętym w załączniku B75 Leczenie aktywnej postaci ziarniniakowatości z zapaleniem naczyń (GPA) lub mikroskopowego zapalenia naczyń (MPA).

Nasze postulaty mają na celu zwiększenie dostępu do leczenia biologicznego rituksimabem w różnych postaciach chorób należących do układowych zapaleń naczyń we wczesnych etapach choroby celem zminimalizowania ryzyka trwałych uszkodzeń narządów, prowadzących do ich niewydolności; objęcie leczeniem dzieci, a także zagwarantowanie odpowiednio długiego czasu terapii, również w leczeniu podtrzymującym, dającym największą szansę na długotrwałą remisję, a tym samym brak objawów choroby.

Jednocześnie jako Stowarzyszenie deklarujemy wolę współpracy we wszystkich działaniach na rzecz poprawy sytuacji osób cierpiących na układowe zapalenia naczyń. Naszą misją jest popularyzacja i szerzenie wiedzy na temat układowych zapaleń naczyń. Chcemy ułatwić wszystkim zainteresowanym dostęp do rzetelnych informacji, a przez to wpłynąć na szybszą diagnostykę pacjentów i wdrożenie skutecznego leczenia.

Układowe zapalenia naczyń to rzadka grupa chorób, których wspólną cechą są martwiczo-zapalne zmiany ścian naczyń krwionośnych. Choroba może dotyczyć osób w każdym wieku, często osób młodych i dzieci. Nie bez powodu zapalenia naczyń nazywane są chorobami o wielu twarzach, ponieważ u każdego chorego przebiegają inaczej, różniąc się występującymi objawami, stopniem zaawansowania i częstością nawrotów. W tych ciężkich chorobach niezwykle trudnym jest postawienie właściwego rozpoznania ze względu na manifestację objawów z różnych narządów, a prowadzenie leczenia tej jednostki chorobowej jest jednym z najbardziej wymagających i powinno być traktowane indywidualnie, co stanowi wyzwanie nawet dla najbardziej doświadczonych ośrodków medycznych.

Obecny stan wiedzy i możliwości diagnostyczno-terapeutyczne pozwalają chorym na zapalenia naczyń prowadzić stosunkowo normalne życie. Choroby zapalne naczyń uznawane niegdyś za wysoce śmiertelne dziś mogą być pod kontrolą jedynie w sytuacji, gdy lekarze dysponują nowoczesną diagnostyką i leczeniem oraz zarówno lekarze, jak i sami pacjenci są wyposażeni w wiedzę dotyczącą objawów choroby. Podstawą leczenia jest włączenie skutecznej terapii już na wczesnym etapie choroby, aby nie dopuścić do ryzyka powikłań.

https://m.facebook.com/vasculitis.polska/
Dołącz do nas!

Wojskowy Instytut Medyczny w Warszawie
Klinika Chorób Wewnętrznych
Nefrologii i Dializoterapii
ul. Szaserów 128, 04-141 Warszawa

459341875 kontakt@vasculitis.pl www.vasculitis.pl

Tylko skuteczne leczenie, prowadzone zgodnie z najnowszymi zaleceniami przez doświadczone wysokospecjalistyczne ośrodki medyczne daje szansę na poprawę jakości życia, przywrócenie chorych społeczeństwu i obniżenie kosztów leczenia. Zdajemy sobie sprawę, że lista naszych oczekiwań jest długa. Pragniemy jednak przedstawić Panu Ministrowi te postulaty, które realnie wpłyną na podniesienie jakości życia chorych, a tym samym obniżą wydatki państwa na leczenie tej grupy chorób:

Prosimy o:

1. **Wydłużenie w programie lekowym czasu leczenia** zapaleń naczyń związanych z przeciwciałami ANCA m.in. ziarniniakowatości z zapaleniem naczyń i mikroskopowego zapalenia naczyń **o leczenie podtrzymujące rituksimabem w małych dawkach (500mg) co 6 miesięcy przez okres min. 2 lat.**

Uzasadnienie:
Wytyczne EULEAR (European League Against Rheumatism) dotyczące postępowania w zapaleniach naczyń związanych z przeciwciałami ANCA (AAV) zalecają, w celu utrzymania remisji, stosowanie leczenia skojarzonego glikokortykosteroidami (GKS) w małych dawkach, z azatiopryną (AZA), rituksimabem (RTX), metotreksatem (MTX) lub mykofenolanem mofetilu (Myk Mof). Leczenie podtrzymujące powinno trwać minimum 24 miesiące po uzyskaniu remisji. W tej rzadkiej i ciężkiej chorobie niezwykle ważne jest stosowanie leczenia o najwyższej skuteczności w uzyskaniu i podtrzymaniu remisji. W badaniu MAINRITSAN w 28 miesiącu trwania terapii u 29% chorych stosujących azatioprynę (AZA) odnotowano nawrót choroby, natomiast w grupie z RTX podawanym w niewielkich, stałych dawkach co 6 miesięcy (500mg) tylko u 5% chorych. Oznacza to, że leczenie podtrzymujące rituksimabem jest najbardziej skuteczne przynosząc choremu największą korzyść w utrzymaniu remisji (brak nawrotu choroby u 95% chorych w leczeniu dwuletnim). Należy podkreślić również, że leczenie podtrzymujące rituksimabem versus azatiopryną jest nie tylko bardziej skuteczne, ale również najbardziej opłacalne, co udowodnili w swoim badaniu Montante A. i wsp. analizując koszty samych leków, hospitalizacji oraz leczenia ewentualnych powikłań i nawrotów choroby, które są częstsze w przypadku leczenia azatiopryną. Dodatkowo również od początku bieżącego roku na rynku polskim dostępne są znacznie tańsze zamienniki leku rituksimab, któremu wygasła ochrona patentowa, co spowoduje, że rozszerzenie programu lekowego nie będzie wymagało znacznie większych nakładów finansowych niż dotychczas.

Do naszego stowarzyszenia należy pewna grupa pacjentów, u której nie stwierdza się trwałej remisji przy leczeniu innym niż leczenie biologiczne Rituksimabem. Regularnie co 8-12 miesięcy następuje nawrót choroby – często zagrażający wydolności narządów. Pacjenci ci przechodzą następnie cykl leczenia w schemacie 4- dawkowym Rituksimabu. Zmiana w programie lekowym uwzględniająca leczenie podtrzymujące umożliwi zmniejszenie liczby dawek leku podawanych takim pacjentom, a także zmniejszy częstotliwość hospitalizacji. Analizując koszty leczenia i hospitalizacji, wydłużenie czasu podaży Rituksimabu w ramach programu lekowego o leczenie podtrzymujące przyczyni się per saldo do obniżenia wydatków państwa, a jednocześnie podniesie jakość życia chorych i pozwoli na normalne funkcjonowanie w społeczeństwie.

Wojskowy Instytut Medyczny w Warszawie
Klinika Chorób Wewnętrznych
Nefrologii i Dializoterapii
ul. Szaserów 128, 04-141 Warszawa
459341875 kontakt@vasculitis.pl www.vasculitis.pl

2. Umożliwienie leczenia w programie lekowym zapaleń naczyń związanych z przeciwciałami ANCA dzieci od 2. roku życia.

Uzasadnienie:
Podstawowym kryterium włączenia do programu lekowego B75 w leczeniu GPA i MPA jest kryterium wiekowe powyżej 18 lat. Tymczasem te rzadkie typy zapaleń naczyń dotykają również dzieci. Skazane są one na leczenie cyklofosfamidem, którego skuteczność w leczeniu indukującym remisję jest w prawdzie porównywalna do rituksimabu, jednak niesie za sobą znacznie więcej działań niepożądanych, w tym zwiększone ryzyko rozwoju nowotworów i nieodwracalną bezpłodność. Mając równie skuteczną alternatywę w postaci leczenia biologicznego, okaleczającym staje się prowadzenie leczenia, które w przyszłości przekreśla drogę do posiadania potomstwa oraz indukuje ryzyko powstawania nowotworów. Zarówno FDA jak i zapisy w Charakterystyce Produktu Leczniczego dopuszczają możliwość stosowania rituksymabu w połaczeniu z glikokortykosteroidami w leczeniu GPA i MPA u dzieci w wieku 2 lat i starszych. Profil bezpieczeństwa u dzieci z GPA i MPA jest zgodny ze znanym profilem bezpieczeństwa rituksymabu u dorosłych z chorobami autoimmunologicznymi, w tym GPA i MPA.
Badania nad leczeniem i diagnostyką zapaleń naczyń są bardzo intensywne i stosunkowo często pojawiają się nowe doniesienia o skuteczniejszych formach leczenia. Dlatego najmłodsi chorzy powinni być objęci najskuteczniejszym z możliwych leczeniem o niskim ryzyku powikłań. To właśnie oni będą tworzyć przyszłe statystyki dotyczące rokowań, przeżywalności i jakości życia w chorobach zapalnych, które mają szansę być jeszcze bardziej optymistycznie niż obecnie. Wprowadzenie rituksymabu w ciągu ostatniej dekady jako nowej terapii do leczenia zapaleń naczyń z obecnością przeciwciał przeciw cytoplazmie neutrofilów (ANCA) było kolejnym krokiem milowym w leczeniu od czasu wprowadzenia cyklofosfamidu przed 40 laty, kiedy chorzy statystycznie umierali w ciągu roku od postawienia diagnozy. Obecnie oczekiwana długość przeżycia po leczeniu wzrosła wielokrotnie, a dwudziesto- czy trzydziestoletnie przeżycia po diagnozie nie budzą już zaskoczenia.

3. Rozszerzenie programu lekowego o leczenie rituksimabem wszystkich układowych zapaleń naczyń związanych z przeciwciałami ANCA jak i również innych znacznie rzadszych zapaleń naczyń, w których skuteczność takiej terapii została potwierdzona naukowo.

Uzasadnienie:
W chwili obecnej program lekowy B75 terapii rituksimabem obejmuje leczeniem chorych jedynie na dwie jednostki chorobowe: ziarniniakowatość z zapaleniem naczyń (GPA) lub mikroskopowe zapalenia naczyń (MPA) z grupy ponad 20 rodzajów zapaleń naczyń. Pozostali chorzy, pomimo dowodów naukowych na skuteczność leczenia rituksimabem, nie mają dostępu do tego typu terapii w ramach programu lekowego, co ogranicza możliwości terapeutyczne lekarzy i znacznie pogarsza rokowania dla pacjenta. Mając na względzie wszystkich chorych naukładowe zapalenia naczyń, prosimy o możliwość objęcia w ramach programu lekowego innych postaci zapalenia naczyń, w których standardowe leczenie jest nieskuteczne lub gdy istnieją silne dowody naukowe na słuszność takiego leczenia jako terapii pierwszego rzutu. Liczne publikacje potwierdzają, że leczenie rituksimabem może być równo-

Wojskowy Instytut Medyczny w Warszawie
Klinika Chorób Wewnętrznych
Nefrologii i Dializoterapii
ul. Szaserów 128, 04-141 Warszawa
459341875 kontakt@vasculitis.pl www.vasculitis.pl

równoważną alternatywą lub leczeniem drugiego wyboru w zapaleniach naczyń związanych z krioglobulinemią lub w gwałtownie postępującym kłębuszkowym zapaleniu nerek (z obecnością przeciwciał anty-GBM i z dodatnim wynikiem ANCA lub bez).
Ponadto proponujemy objęcie całej grupy chorób wspomnianym programem lekowym na wzór wytycznych EULEAR, które traktują ogólnie zapalenia naczyń związane z przeciwciałami ANCA, nie wyodrębniając przy tym pojedynczych jednostek chorobowych takich jak ziarniniakowatość z zapaleniem naczyń (GPA), eozynofilowa ziarniniakowatość z zapaleniem naczyń (EGPA) lub mikroskopowe zapalenia naczyń (MPA).

4. Zmiana kryteriów włączenia do programu lekowego zgodnie z wytycznymi EULEAR.

Uzasadnienie:
W aktualnym programie lekowym Rituksimab może być podany po spełnieniu wyłącznie po spełnieniu aż 5 kryteriów, w tym: gdy wykazana jest nieskuteczność lub ograniczona skuteczność standardowej terapii, tylko w wysoce aktywnej, ciężkiej, uogólnionej postaci choroby, jedynie u osób dorosłych. Z punktu widzenia pacjenta takie leczenie zostanie podane dopiero, gdy wyczerpie się wszystkie inne opcje terapeutyczne, minimum po 3 miesiącach, a stan ogólny wciąż utrzyma się jako ciężki; co z kolei sprawia, iż szansę na zakwalifikowanie do programu lekowego otrzymują jedynie pacjenci hospitalizowani na oddziałach intensywnej terapii, w stanie krytycznym oraz pacjenci, których stan zdrowia uległ pogorszeniu lub nie uległ poprawie wskutek dotychczasowego leczenia.

Wytyczne EULEAR zalecają w celu uzyskania remisji w zapaleniach naczyń związanych przeciwciałami ANCA ze zmianami narządowymi lub zagrażającymi życiu stosowanie leczenia za pomocą kombinacji glikokortykosteroidów (GKS)i cyklofosfamidu (CYK) lub Rituksymabu (RTX). Takie leczenie powinno być uznawane jako równorzędne, ponieważ dowiedziono, iż skuteczność RTX w leczeniu inicjującym jest podobna jak w przypadku cyklofosfamidu. W związku z powyższym powinna więc zaistnieć możliwość wyboru rodzaju terapii oraz w razie potrzeby zmiany leczenia z cyklofosfamidu na RTX i odwrotnie w możliwie jak najkrótszym czasie (zamiast po 3 miesiącach jak w obecnym programie lekowym). W leczeniu zapaleń naczyń najważniejsze jest szybkie wprowadzenie pacjenta w remisję, aby nie dopuścić do trwałych powikłań zagrażającym niewydolności narządów, a nawet zgonu.

Jesteśmy przekonani, że odpowiednie leczenie dające największą szansę na trwałą remisję spowoduje obniżenie kosztów leczenia choroby z uwagi na zmniejszoną częstotliwość hospitalizacji oraz krótszy czas ich trwania.

W imieniu chorych na zapalenia naczyń prosimy Pana Ministra o pozytywne rozpatrzenie naszych postulatów.

Z poważaniem,

Izabela Skrzypiec
PREZES
Stowarzyszenia
„Vasculitis”

Wojskowy Instytut Medyczny w Warszawie
Klinika Chorób Wewnętrznych
Nefrologii i Dializoterapii
ul. Szaserów 128, 04-141 Warszawa
459341875 kontakt@vasculitis.pl www.vasculitis.pl