

Nr 3

Jesień 2025

ISSN 3071-8945

Oli-onko

Onkologia i Hematologia dla Pacjenta

W NUMERZE

- Rozwój terapii CAR-T w Polsce i na świecie
- Nowe, innowacyjne terapie w szpiczaku plazmocytowym
- Mielofibroza – osiągnięcia i potrzeby
- Chłoniak z komórek płaszczu
- Bezpieczeństwo krwi – bezpieczeństwo pacjenta

BOHATER
NUMERU

Kacper Pacak
pierwszy pacjent
leczony w Polsce
terapią CAR-T

CAR-T
przełomowa terapia XXI wieku





Od Redakcji

Drodzy Czytelnicy,

Ten numer to przede wszystkim suma wiedzy ekspertów zajmujących się terapią CAR-T w Polsce i doświadczeń pacjentów, którzy byli nią leczeni. Eksperci, na czele z prof. Lidią Gil – pionierką we wprowadzaniu terapii CAR-T w naszym kraju – zgodnie podkreślają, że CAR-T to przełom w leczeniu pacjentów z nowotworami krwi i aktualnie już standard w terapii niektórych typów chłoniaków, ostrej białaczki limfoblastycznej i szpiczaka. Jak wskazują wyniki badań, możemy się spodziewać, że w najbliższej przyszłości CAR-T będzie stosowane w leczeniu nowotworów litych i chorób autoimmunologicznych. Pacjenci: Kacper Pacak, który jako pierwszy otrzymał CAR-T w Polsce, oraz onkolog, prof. Jacek Jassem, także leczony CAR-T, zwracają uwagę, że jest to terapia, która jest stosowana z intencją całkowitego wyleczenia.

W hematoonkologii, która jest awangardą w leczeniu nowotworów, jak zwykle wiele nowości, m.in. w leczeniu szpiczaka, gdzie jest szansa na refundację CAR-T i innych innowacyjnych terapii, aby w sposób optymalny i spersonalizowany leczyć chorych, o czym pisze prof. Krzysztof Giannopoulos. Prof. Joanna Góra-Tybor informuje o nowym leku *mometynibie*, który znacząco zmniejsza odsetek pacjentów z mielofibrozą uzależnionych od przetoczeń KKcz. Jest też nadzieja na wydłużenie życia pacjentów z chłoniakiem z komórek płaszcz, którzy nie kwalifikują się do transplantacji. Daje ją inhibitor kinazy Brutona drugiej generacji nie refundowany jeszcze w Polsce, o którym pisze prof. Iwona Hus. Dla bezpieczeństwa pacjentów hematologicznych, często poddawanych przetoczeniom płytek krwi i osocza, kluczowe jest wprowadzenie inaktywacji patogenów jako narzędzia prewencji przed zakażeniami, na co zwraca uwagę prof. Emilian Snarski. Dr Jarosław Woroń wyjaśnia, jakie korzyści daje podskórne podawanie leków dla pacjenta i systemu.

Czwarte prawo Europejskiego Kodeksu Opieki Onkologicznej do specjalistycznej wielodyscyplinarnej opieki komentują: ekspert – prof. Rodryg Ramlau, a z perspektywy pacjentów Joanna Konarowska-Król z Fundacji Onkologicznej Nadzieja.

Dwie różne historie, dwóch różnych pacjentów onkologicznych, dwa różne doświadczenia, a jeden przekaz: *Nie wolno się poddawać*. Takie samo przesłanie płynie z historii Marka Gaika, pacjenta po laryngektomii i nastoletnie poetki Malwiny Krawczyk, pacjentki w trakcie leczenia choroby nowotworowej. Dwie poruszające historie o tym, jak mimo choroby, można rozwijać życiowe pasje.

W swoim felietonie opisuję funkcjonujące obecnie na świecie modele systemu opieki zdrowotnej i zadaję pytanie, czy w Polsce powinniśmy opracować nowy model odpowiadający na aktualne i przyszłe potrzeby systemu zdrowia?

Na zakończenie zapraszam do nowego serwisu internetowego poświęconego terapii CAR-T **www. CAR-T.PL**

Specjalne podziękowania kieruję do Zarządu Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów za merytoryczne wsparcie tego numeru, przygotowanego z okazji spotkania z pacjentami na XXXII Zjeździe PTHiT.

Aleksandra Rudnicka

2 OD REDAKCJI

BOHATER NUMERU

- 4** Jako pierwszy pacjent w Polsce otrzymałem terapię CAR-T, dzięki której żyję
pacjent Kacper Pacak

TEMAT NUMERU CAR-T TERAPIA PRZYSZŁOŚCI

- 7** CAR-T przełomowa terapia XXI wieku
prof. dr hab. n. med. Lidia Gil
- 12** Debata na LAO: Rozwój terapii CAR-T w Polsce i na świecie
*prof. dr hab. n. med. Lidia Gil,
prof. dr hab. n. med. Iwona Hus,
prof. dr hab. n. med. Krzysztof Giannopoulos,
prof. dr hab. n. med. Jacek Jassem*

CO NOWEGO W HEMATOLOGII

- 17** Nowe, innowacyjne terapie w szpiczaku plazmocytowym znacząco wydłużają życie pacjentów
prof. dr hab. n. med. Krzysztof Giannopoulos
- 20** Mielofibroza – osiągnięcia i potrzeby
prof. dr hab. n. med. Joanna Tybor-Góra
- 22** Chłoniak z komórek płaszczka (MLC) – rzadki, agresywny chłoniak i nowa metoda leczenia chorych
prof. dr hab. n. med. Iwona Hus
- 24** Dlaczego bezpieczeństwo krwi jest kluczowe dla pacjentów hematologicznych?
*prof. dr hab. n. med. Emilian Snarski
Katarzyna Lisowska Stowarzyszenie Hematoonkologiczni*

JAKOŚĆ ŻYCIA W CHOROBI

- 26** Życie po laryngektomii – nowy głos, ta sama pasja do życia
pacjent Marek Gaik
- 28** Podskórne drogi podawania leków w onkologii – korzyści dla pacjenta i systemu
dr hab. n. med. Jarosław Woron

PRAWA PACJENTA

- 30** Europejski Kodeks Opieki Onkologicznej Prawo 4. Specjalistyczna Opieka Wielodyscyplinarna
*prof. Rodryg Ramlau
dyr. Joanna Konarzeska-Król,
Fundacja Nadzieja*

ONKOLOGIA I HEMATOLOGIA PEDIATRYCZNA

- 34** Fascynowała mnie możliwość budowania tysięcy światów słowami
pacjentka Malwina Krawczyk

WAŻNE INFORMACJE

- 36** CAR-T.PL - nowy portal edukacyjny o terapiach komórkowych
red. Jarosław Gośliński

FELIETON – W POCZEKLANI

- 37** Czy w polsce jest potrzebny nowy model systemu zdrowia?
red. Aleksandra Rudnicka

SPONSORZY NUMERU:



Wydawca ALEKSANDRIA

Redaktor naczelna Aleksandra Rudnicka

Adres wydawnictwa i redakcji: ul. Pełczyńskiego 20a/12, 01-471 Warszawa, oli-onko@oli-onko.pl

JAKO PIERWSZY PACJENT W POLSCE OTRZYM

Kacper Pacak ma 30 lat. Obecnie pracuje jako kierowca i magazynier, a także studiuje logistykę. Kiedy zachorował na chłoniaka, nowotwór był tak agresywny, że szybko zostały wyczerpane wszystkie dostępne w tym czasie w Polsce możliwości leczenia. *Wtedy* – jak mówi – *Zdarzył się cud, 6 lat temu, jako pierwszy pacjent w Polsce otrzymałem terapię CAR-T, dzięki której żyję.* Dziś Pan Kacper opowiada o tym doświadczeniu i dzieli się swoimi refleksjami o korzyściach, jakie daje terapia CAR-T dla pacjenta i dla systemu.

OBJAWY I DIAGNOZA

Pierwsze symptomy choroby pojawiły się, kiedy miałem 23 lata. Były to bóle w lewej dolnej części pleców. Lekarz rodzinny był zaniepokojony tymi objawami i zlecił mi USG, po którym skierował mnie na tomografię do lokalnego szpitala. Jej wynik był zły. Wszystko wskazywało na chłoniaka. Zanim postawiono mi diagnozę, przeprowadzono biopsję i wycięto węzeł pachowy do badania histopatologicznego. Minęło jeszcze około miesiąca, zanim trafiłem do szpitala specjalistycznego, czyli do Narodowego Centrum Onkologii w Warszawie na Oddział Hematoonkologii. Znalazłem się pod opieką Pani dr Joanny Jarosińskiej-Romejko. Po kolejnych tomografiach w NCO postawiono rozpoznanie – chłoniak DLBCL.

LECZENIE, ALE BEZ EFEKTÓW

W pierwszej linii leczenia otrzymałem trzy serie chemioterapii, które nie pomogły, szybko wystąpiła progresja choroby. Potem były kolejne linie leczenia, po których była częściowa remisja. Następnie przeprowadzono u mnie autoprzeszczep własnych komórek i dosłownie miesiąc później choroba nawróciła. Chłoniak był bardzo agresywny. To było tak, że jak mi coś nawet pomagało, to się okazywało, że w krótkim czasie chłoniak rozprzestrzenił się w innym miejscu.

PIERWSZE INFORMACJE O TERAPII CAR-T

Pierwszy raz o terapii CAR-T dowiedziałem się od mojego kolegi z oddziału, śp. Tomka, który wyczerpał już wszystkie możliwości leczenia w Polsce – miał progresję podczas przygotowania do przeszczepu – i poszukiwał innych dostępnych terapii na świecie. Powiedział mi o terapii CAR-T i o kosztach leczenia nią.

Usłyszałem o tym innowacyjnym leczeniu, ale w tamtym momencie – byłem wtedy przed autoprzeszczepem z własnych komórek – nie skupiałem się na tej terapii. Po pierwszej linii chemioterapii już było wiadomo, że moje leczenie nie będzie łatwe. Pani doktor Domańska-Czyż powiedziała mi i mojej

rodzinie, jaka jest sytuacja, że będzie ciężko, ale lekarze będą się starać mi pomóc i że można spróbować CAR-T. Wtedy zaczęło się szukanie, gdzie wykonać to leczenie i jak zdobyć na nie pieniądze.

STARANIA O CAR-T

Rozpocząłem drugą linię leczenia i jednocześnie szukałem wszędzie możliwości leczenia CAR-T. Kontaktowałem się z wieloma specjalistami, zarówno w Polsce, jak i za granicą. Pierwszym krajem był Izrael, ale tam nie udało się dojść do porozumienia. Zawsze dużo rozmawiałem z ludźmi, była to także w trakcie leczenia moja jedyna atrakcja. Usłyszałem od jednego z pacjentów, że w Niemczech też podają pacjentom z chłoniakiem CAR-T, więc szukałem palcówki w Niemczech, ale w międzyczasie szukałem jeszcze innych rozwiązań. W takiej sytuacji trzeba szukać wszędzie. Siostra pojechała w moim imieniu do pana profesora Sebastiana Giebla do Gliwic. Pan profesor wspomniał siostrze, że w Poznaniu planują taką terapię. Po tej informacji zaczęło się szukanie, w którym szpitalu w Poznaniu faktycznie chcą to robić. Okazało się, że jest to Klinika Hematologii i Transplantacji Szpiku Uniwersytetu Medycznego w Poznaniu, pojechałem tam osobiście.

Gdy pierwszy raz byłem w Poznaniu, to usłyszałem, że 7-8 tygodni może zająć procedura akredytacji. Ale była niespodzianka, bo pani profesor Lidia Gil zadzwoniła po dwóch tygodniach i powiedziała, że zaczynamy.

Kiedy słyszę pytanie: *Czy się nie bałem poddać tej nowej, w Polsce wtedy jeszcze eksperymentalnej terapii?* – odpowiadam – *Nie.* Jestem człowiekiem twardo stającym na ziemi, zawsze szukam rozwiązań i nie mam czasu na takie rozmyślanie. Skupiałem się nad tym, co muszę zrobić. Wiedziałem, że nie ma już dla mnie innego leczenia. Poza tym, przeczytałem, co się dało na temat CAR-T i to były dobre informacje.

CAR-T było mi potrzebne, aby uzyskać tę częściową remisję, aby móc kontynuować jakkolwiek dalsze leczenie. W drugiej linii leczenia miałem cztery różne chemioterapie i po każdej była progresja, więc to była jedyna szansa. Nie było się nad czym zastanawiać.

JAK ZDOBYĆ PIENIĄDZE NA LECZENIE?

Musiałem jeszcze zebrać pieniądze na leczenie. Zbiórka była organizowana przez SIEPOMAGA.PL. Udało się zebrać potrzebną kwotę i co najciekawsze, to z tych pieniędzy nie ruszyłem ani złotówki. Znowu niespodzianka. Firma Gilead, producent CAR-T, zagwarantował sfinansowanie terapii dla trzech pierwszych pacjentów: dla mnie, mojej znajomej Uli



MAŁEM TERAPIĘ CAR-T, DZIĘKI KTÓREJ ŻYJĘ



z Warszawy, która niestety tego nie doczekała i trzeciej osoby, której nigdy nie poznałem.

Jeśli chodzi o zbiórkę, to najbardziej zdziwił mnie fakt, że nikogo o niej nie informowałem. Wiedziało o niej grono najbliższych mi osób, głównie rodzina. Jedna osoba udostępniła informację o zbiórce na Facebooku i zaraz dostałem 200 powiadomień. Wszyscy mnie oznaczali, znajomi ze szkoły i z podwórka, sąsiedzi, po prostu wszyscy szybko zareagowali.

W chorobie wspierała mnie nie tylko rodzina i przyjaciele, ale także koledzy i przełożeni z pracy. Mój szef nawet odwiedził mnie w szpitalu, kiedy dowiedział się, że jestem ciężko chory. Zresztą ja długo pracowałem, dopiero przed czwartą chemioterapią poszedłem na zwolnienie. Do dziś jestem wdzięczny wszystkim za pomoc i wsparcie.

JAK PRZEBIEGAŁA TERAPIA CAR-T, JAKIE BYŁY DZIAŁANIA NIEPOŻĄDANE

Po moich doświadczeniach z chemioterapią, mogę powiedzieć, że to była najnudniejsza terapia, jaką przeszedłem. Nie działało się ze mną praktycznie nic. Dwa razy wieczorem zdarzyło się, że miałem stan podgorączkowy, a poza tym nic. Siedziałem, oglądałem telewizję i wykonywałem testy neurologiczne.

Zdarza się jednak, że są pacjenci, którzy ciężko znoszą CAR-T. U mnie akurat tak nie było. Wiem, że mój znajomy Dominik, też leczony w Poznaniu, przeszedł to trochę jak grypę. Za to, gdy w Warszawie rozmawiałem z pielęgniarkami to mówiły, że bywa z tym ciężko. To jest indywidualne doświadczenie, tak jak każdy człowiek jest inny.

Trudne jest przejście pierwszego miesiąca po podaniu CAR-T, a u niektórych działania niepożądane mogą pojawiać się nawet do trzech miesięcy, tak przynajmniej było 6 lat temu. Teraz lekarze lepiej sobie radzą z działaniami niepożądanymi. Ale nie ma tak dużego wyniszczenia organizmu, jak w przypadku chemioterapii, która działa na cały organizm, niszcząc nie tylko chore komórki, ale i zdrowe.

CZY PO CAR-T PACJENT JEST WYLECZONY, CZY POTRZEBUJE DODATKOWEGO LECZENIA?

Wszystko zależy od pacjenta. Moja choroba była na tyle agresywna i podstępna, że miałem jeszcze dodatkowe leczenie po CAR-T. Byłem na to przygotowany, bo jeszcze przed leczeniem dwójka profesorów z Niemiec powiedziała mi, że pewnie będzie taka konieczność i była. Było to leczenie związane z działaniami niepożądanymi. U mnie był problem związany ze śledzioną. Kiedy pierwszy raz miałem tomografię, to było widać, że moja śledziona jest dwa razy większa niż przewiduje to norma. Byłem w IV stadium nowotworu, więc cały się świeciłem od góry do dołu.

CAR-T dało mi częściową remisję, którą musiałem jeszcze podciągnąć. Dostawałem immunoglobuliny i inne leki, ale bez CAR-T nie otworzyłaby się przede mną ta furtka, szansa na dalsze życie. Nie wiem, czy ze standardową chemioterapią byłbym w stanie dożyć do przeszczepu allogenicznego.

JAK CHOROBA WPŁYNĘŁA NA MOJE ŻYCIE

Wiadomo, leczenie potencjalnie śmiertelnej choroby nie jest łatwe. Parę lat zostało mi wyjętych z życia. Zacząłem leczenie w 2018, a zakończyłem w 2021 r. Jednak pod stałym nadzorem medycznym jestem cały czas, ponieważ efektem ubocznym mojego leczenia jest to, że nie wytwarzam immu-

noglobulin i potrzebuję przetoczeń. Co około 6-8 tygodni jestem w tym celu w Narodowym Centrum Onkologii w Warszawie na Oddziale Hematoonkologii.

Wiem, że aktualnie walczymy o to, aby immunoglobuliny, były refundowane dla szerszej grupy pacjentów hematologicznych. Ja akurat nie odczuwam ich braku, ale faktem jest, że jak się czymś zarazę to bez tych leków jest ciężko.

CAR-T DAJE FAKTYCZNIE SZANSĘ NA WYLECZENIE

CAR-T to terapia jak najbardziej do polecenia i przede wszystkim, daje faktycznie szansę na wyleczenie. Wiadomo, że nikt za pacjenta nie przejdzie tego leczenia, tylko każdy musi przejść przez nie sam. Ale nie ma co się bać. Trzeba po prostu podjąć decyzję, zrobić swoje i wyjść z choroby.

Na pewno ta terapia jest efektywna, bo ja sam znam kilkanaście historii osób po terapii CAR-T, więc wiem, że jest to skuteczne leczenie. Znacznie bardziej skuteczne niż chemioterapia.

Osobiście uważam – i słyszę, że coraz więcej specjalistów się z tym zgadza – że to powinno być leczenie pierwszej linii. Chemioterapia jest długotrwała i kosztuje немало. Do tego

robi spustoszenie w organizmie i często się zdarza, że pacjenci umierają z powodu jej działań niepożądanych. Wiadomo też, że im szybciej zareagujemy silniejszym lekiem, tym lepsze efekty możemy uzyskać. Im dłużej zwlekamy, tym bardziej ryzykujemy tym, że pacjent otrzymujący CAR-T będzie już tak wycieńczony chorobą i leczeniem, że nie odpowie w pełni na tę terapię.

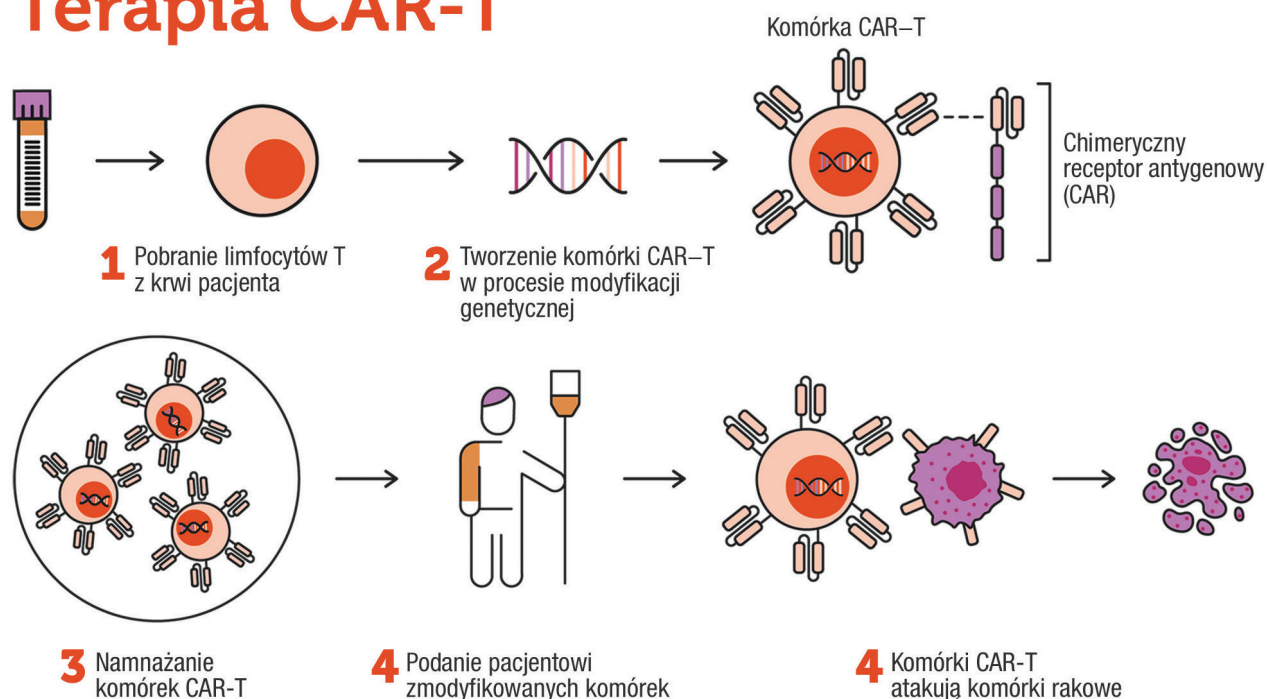
CAR-T TO KORZYŚĆ DLA PACJENTA I DLA SYSTEMU

CAR -T to korzyść zarówno dla pacjenta, jak i dla systemu. W końcu wydaje się ogromne sumy pieniędzy na chemioterapię, na lata leczenia, które nic nie dają, bo choroba jest oporna na leczenie i wciąż nawraca, a organizm pacjenta jest coraz bardziej wyniszczony.

Trzeba pamiętać też o tym, że mamy problem z pielęgniarkami i lekarzami. Jest ich po prostu mało. Nasz system szpitalny jest przeciążony. W czasie mojej ostatniej wizyty widziałem to w Narodowym Instytucie Onkologii w Warszawie na Ursynowie. Przyjechałem o 8:00 na pobranie krwi, a do gabinetu zabiegowego dostałem się o 9:30, bo było tylu chorych.

Dlatego uważam, że jeśli można zrobić coś szybciej, może nie tanio, ale zrobić to skutecznie, to powinno się to zrobić. W końcu chemioterapia to całe lata leczenia, które u wielu pacjentów kończą się niepowodzeniem.

Terapia CAR-T



CAR-T PRZEŁOMOWA TERAPIA XXI WIEKU

Dotychczasowe osiągnięcia i dalsze kierunki rozwoju

Prof. dr hab. n. med. Lidia Gil jest specjalistą w zakresie hematologii i transplantologii klinicznej. Od 2000 roku pracuje i prowadzi działalność dydaktyczną, a także naukową w Klinice Hematologii, Transplantacji i Terapii Komórkowej Uniwersytetu Medycznego w Poznaniu, od 2018 roku jako jej kierownik. W 2019 r. prof. Gil wraz z zespołem przeprowadziła pierwsze podanie terapii CAR-T w Polsce. Terapia CAR-T jest dla prof. Gil nie tylko priorytetem jej naukowych zainteresowań, ale przede wszystkim działań zmierzających do jak najszybszego udostępnienia polskim pacjentom tego przełomowego leku ratującego życie.



CAR-T – SUKCESY I OGRANICZENIA

Zarówno dla mnie, mojego zespołu i zapewne dla wszystkich zespołów w Polsce, CAR-T to dalej jest niezwykle ekscytująca terapia, mimo że została zarejestrowana na świecie już w 2017 roku. Zawsze marzyliśmy o takiej możliwości.

CAR-T to po pierwsze żywy lek, a po drugie preparat, który wykorzystuje naturalne mechanizmy immunologiczne. Stworzenie tej terapii stało się możliwe, dzięki bardzo istotnemu postępowi, który dotyczy przede wszystkim immunologii, ale również biologii molekularnej. Dzisiaj, terapia CAR-T w chorobach układu chłonnego: chłoniakach, szpiczaku i ostrej białaczce limfoblastycznej absolutnie jest standardem postępowania.

Dotyczy to oczywiście określonych grup pacjentów. Wiemy coraz więcej na temat tej terapii, która staje się bardziej bezpieczna i skuteczna. Olbrzymia liczba badań skupia się obecnie na zastosowaniu jej w guzach litych i chorobach autoimmunologicznych, gdzie w najbliższym czasie spodziewamy się rejestracji w tym wskazaniu. W mojej opinii sukces tej terapii wiąże się z faktem, że może być ona stosowana niezależnie od wieku. Nie wiemy jeszcze, jakie są odległe efekty, a nasze obecne oczekiwania to przede wszystkim rozszerzenie wskazań.

Ograniczeniem tej metody jest niestety bardzo wymagająca logistyka: należy pobrać właściwe komórki od pacjenta, przesłać je do laboratorium specjalistycznego, w którym pracuje zespół potrafiący zmodyfikować te limfocyty genetycznie, aby potrafiły rozpoznać wrogie komórki. Zmodyfikowane w ten

sposób limfocyty utrzymują się w organizmie pacjenta, następuje ich ekspansja, co jest gwarancją trwałości odpowiedzi.

Na obecną chwilę mamy zarejestrowanych 7 produktów na świecie. W ciągu ostatniego roku tylko jeden nowy produkt został dołączony do tej grupy leków, natomiast pozostałe rozszerzają swoje wskazania w zakresie nowotworów układu chłonnego. **Według danych z lutego 2025 roku, w Europie przeprowadzono 12 500 terapii CAR-T,** przy czym w znakomitej większości procedury te zostały oparte na lekach komercyjnych, a w znacznie mniejszym stopniu na lekach w badaniach klinicznych. Największą grupą korzystającą z tej terapii są chorzy z chłoniakiem rozlanym z dużych komórek B (DLBCL).

Dzisiaj wiemy, że pacjenci, którzy odpowiedzieli na zastosowanie terapii CAR-T remisją całkowitą i utrzymują tę remisję przez 2 lata są wyleczeni z choroby, a ich krzywe przeżycia są takie, jak w populacji zdrowej. Są to naprawdę imponujące wyniki.

NA CZYM POLEGA PROBLEM DOSTĘPNOŚCI CAR-T W POLSCE I NA ŚWIECIE

Problemem, o którym mówiono w tym roku na konferencjach europejskich oraz światowych, jest fakt, że tylko mniej więcej 1/4 lub 1/3 pacjentów, która powinna otrzymać terapię CAR-T, faktycznie ją otrzymuje. I nie chodzi tu wcale o kraje, w których nie można przeprowadzić akredytacji i zastosować tego leczenia. Dotyczy to Stanów Zjednoczonych i Europy.

15 AKREDYTOWANYCH OŚRODKÓW W POLSCE, KTÓRE PRZEPROWADZAJĄ TERAPIĘ CAR-T

OŚRODKI AKREDYTOWANE		
Uniwersyteckie Centrum Kliniczne Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego	Prof. dr hab. med. Grzegorz Basak	Kymriah, Tecartus, Yescarta
Centrum Hematologiczno-Transplantacyjne, Dolnośląskie Centrum Onkologii, Pulmonologii i Hematologii we Wrocławiu	Dr med. Jarosław Dybko	Yescarta, Tecartus
Narodowy Instytut Onkologii im Marii Skłodowskiej-Curie – Państwowy Instytut Badawczy w Gliwicach, Klinika Transplantacji Szpiku i Onkonkohaematologii	Prof. dr hab. med. Sebastian Giebel	Kymriah, Yescarta, Tecartus
Klinika Hematologii i Transplantacji Szpiku Uniwersytetu Medycznego w Poznaniu	Prof. dr hab. med. Lidia Gil	Kymriah, Yescarta, Tecartus
Klinika Hematologii i Transplantacji Szpiku Śląskiego Uniwersytetu Medycznego w Katowicach	Prof. dr hab. med. Grzegorz Helbig	Kymriah, Yescarta, Tecartus
Klinika Nowotworów Układu Chłonnego, Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie - Państwowe Centrum Badawcze w Warszawie	Dr hab. med. Joanna Jarońska-Romejko	Yescarta, Tecartus
Klinika Transplantacji Szpiku, Onkologii i Hematologii Dziecięcej Uniwersytetu Medycznego we Wrocławiu	Prof. dr hab. med. Krzysztof Kałwak	Kymriah
Instytut Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie	Prof. dr hab. med. Ewa Lech-Marañda	Kymriah, Yescarta, Tecartus
Centrum Onkologii Ziemi Lubelskiej im św. Jana z Dukli, Oddział Hematologii i Transplantacji Szpiku	Dr med. Wojciech Legieć	Yescarta, Tecartus
Klinika Hematologii z Oddziałem Transplantacji Szpiku; Uniwersytecki Szpital Kliniczny nr 1 w Szczecinie	Prof. dr hab. med. Bogusław Machaliński	Yescarta, Tecartus
Klinika Hematologii, Immunologii i Transplantacji Szpiku Świętokrzyskie Centrum Onkologii w Kielcach	Prof. dr hab. med. Marcin Pasiarski	Yescarta, Tecartus
Klinika Pediatrii, Hematologii i Onkologii, Collegium Medicum UMK w Bydgoszczy	Prof. dr hab. med. Jan Styczyński	Kymriah
Klinika Hematologii, Uniwersytet Medyczny w Łodzi	Prof. dr hab. med. Agnieszka Wierzbowska	Kymriah, Yescarta, Tecartus
Klinika Hematologii, Nowotworów Krwi i Transplantacji Szpiku, Uniwersytet Medyczny we Wrocławiu	Prof. dr hab. med. Tomasz Wróbel	Kymriah, Yescarta, Tecartus
Klinika Hematologii i Transplantologii, Uniwersyteckie Centrum Kliniczne w Gdańsku	Prof. dr hab. med. Maciej Zaucha	Kymriah, Yescarta, Tecartus

FINANSOWANIE TERAPII CAR-T W POLSCE

PROGRAM LEKOWY B.12FM

Leczenie chorych na chłoniaki B-komórkowe

Tisagenlecleucel (Kymriah; Novartis)

Aksykabtagen cyloleucel (Yescarta; Gilead/Kite)

Breksukaptagen autoleucel (Tecartus; Gilead/Kite)

PROGRAM LEKOWY B.65

Leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną

Tisagenlecleucel (Kymriah; Novartis)

Breksukaptagen autoleucel (Tecartus; Gilead/Kite)

Kwalifikacji pacjentów do terapii dokonuje
Zespół Koordynacyjny ds. CART powoływany przez
prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia

W Stanach Zjednoczonych odsetek chorych, którzy powinni otrzymywać terapię CAR-T wynosi 25%, a w Europie 33%. Jest to zagadnienie, nad którym powinniśmy pracować, żeby pacjenci, którzy powinni otrzymać tę terapię, mogli z niej skorzystać, ponieważ jest to leczenie ratujące życie.

W Polsce jest 15 akredytowanych ośrodków, które przeprowadzają terapię CAR-T, w tym dwa pediatryczne. Ponadto, jest kilka kolejnych ośrodków będących na ścieżce akredytacyjnej, a więc dostępność tej terapii u nas jest naprawdę duża. Nie ma przeszkód, aby kierować pacjentów do tego leczenia. Ważny jest aspekt edukacji we wszystkich możliwych miejscach, gdzie leczeni są chorzy ze wskazaniami do terapii CAR-T.

Dodatkowo, mamy finansowanie. Dzisiaj dotyczy ono pacjentów: z chłoniakami agresywnymi z dużych komórek B(DLBCL), z chłoniakiem z komórek płaszczka i z ostrą białaczką limfoblastyczną. Natomiast czekamy na finansowanie dotyczące pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym i marzymy o dalszych rozszerzeniach.

CAR-T W GUZACH LITYCH

Ogromna liczba badań skupia się obecnie na zastosowaniu CAR-T w guzach litych i chorobach autoimmunologicznych, gdzie w najbliższym czasie spodziewamy się rejestracji w tym wskazaniu. My również uczestniczymy jako ośrodki w licznych badaniach klinicznych, nie tylko skupiających się na hematologii, ale też na chorobach autoimmunologicznych i guzach litych. Myślę, że właśnie terapia guzów litych to obecnie jedno z największych oczekiwań, dlatego również ta terapia komórkowa powinna wpłynąć na poprawę wyników leczenia określonych guzów nowotworowych.

Jest jeszcze wiele problemów, które są przed nami do pokonania, aby terapia CAR-T okazała się skuteczna. Po pierwsze, w hematologii, stosowane przez nas produkty są skierowane przeciwko określonym antygenom obecnym na powierzchni komórek nowotworowych. Są one powiązane z cyklem życiowym tej komórki, jest ich jednak niewiele lub praktycznie brak. Każdy nowotwór lity ma swoją charakterystykę antygenową. Na dodatek, guzy te mają tendencję do ucieczki antygenów, czyli mechanizmu obronnego, w którym komórki nowotworowe „chowają” swoje antygeny, przez co terapia CAR-T po pewnym czasie przestaje być efektywna.

Są też inne mechanizmy i bariery, jak choćby znaczenie mikrośrodowiska guza, które w przypadku terapii CAR-T jest

immunosupresyjne. Przez to komórki CAR-T nie przenikają do samego guza. Obecnie można to oczywiście zmienić stosując określone techniki chirurgiczne czy zabiegowe, niemniej jest wciąż wiele barier do pokonania. Pozytywnym aspektem na pewno jest to, że trochę mniej boimy się działań niepożądanych takich jak zespół uwalniania cytokin, czy powikłania neurologiczne. Nie mamy jednak pewności, czy przy zastosowaniu CAR-T przeciwko innym, nowym antygenom nie pojawią się powikłania o charakterze narządowym.

WYNIKI BADAŃ CAR-T W GUZACH LITYCH

Badania, które się obecnie toczą, to najczęściej badania pierwszej fazy, dotyczące pacjentów z chorobą oporną i nawrotową.

Są pewne przesłanki, które mówią nam, że jesteśmy blisko sukcesu. Dwa lata temu, opublikowano wyniki badania zastosowania terapii u chorych z neuroblastomą, w które włączono dzieci, osoby młode oraz dorosłych. Okazało się, że jest to terapia, która w grupie chorych z opornością, czy z postacią o złym rokowaniu, daje naprawdę wysokie odsetki powodzenia. Trzyletnie przeżycia były na poziomie 60%, co dla tej źle rokującej choroby jest wyjątkowe.

CAR-T utorowało drogę innym terapiom komórkowym i jest to proces nie do zatrzymania.

W Stanach Zjednoczonych zarejestrowano już terapię dla czerniaka TIL, (*Tumor Infiltrating Lymphocytes*) oraz pochodną CAR-T, w której proces modyfikacji genetycznej nie prowadzi do nasadzenia nowej struktury białkowej na powierzchni komórki, a modyfikuje obecny już receptor limfocyty T. Jest to terapia zarejestrowana do leczenia mięsaka.

CAR-T W CHOROBACH AUTOIMMUNOLOGICZNYCH

W mojej opinii, najbliższej jesteśmy rejestracji dla chorób autoimmunologicznych. Wyniki tutaj są rzeczywiście imponujące, zwłaszcza dla pacjentów z twardziną, toczeniem oraz zapaleniem wielomięśniowym. Używamy tych samych preparatów, które stosujemy w hematologii w leczeniu pacjentów z chłoniakami. Wydaje się, że rezultaty leczenia są tutaj nawet trwalsze niż w hematologii, a profil toksyczności mniej istotny w tej grupie w porównaniu do pacjentów z chorobami nowotworowymi.

PROCES PODAWANIA CAR-T w Klinice Hematologii, Transplantacji i Terapii Komórkowych Uniwersytetu Medycznego w Poznaniu

W październiku 2019 roku pobraliśmy pierwszy produkt wysłany do specjalistycznego laboratorium.

Produkt, który do nas przyjeżdża, jest przechowywany w temperaturze ciekłego azotu. Odebranie i wydanie go dla pacjenta wymaga tzw. „pracy czterech oczu”, gdzie obecny jest zarówno farmaceuta, jak i lekarz, a dodatkowo szefowa banku komórek wyciąga materiał z pojemnika z azotem.



Pobranie limfocytów do modyfikacji genetycznej – Pracownia Aferezy



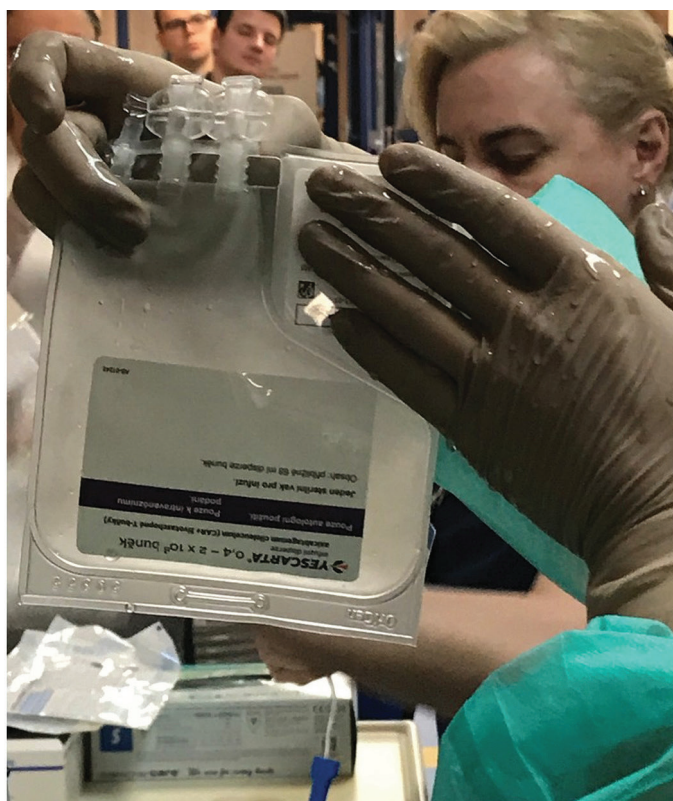
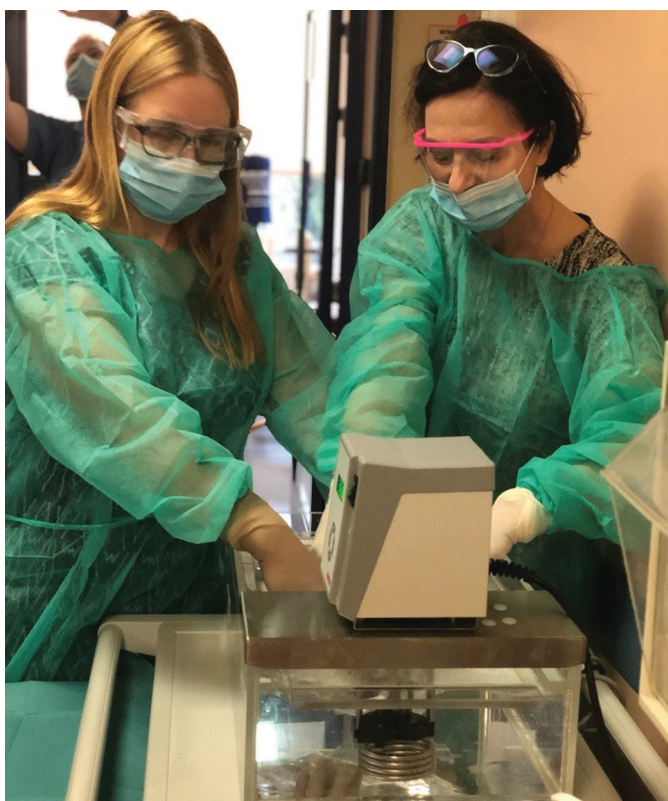
Bank Komórek Krwiotwórczych. Zakład Inżynierii Genetycznej



Transport odbywa się w specjalnych pojemnikach do przechowywania materiału biologicznego w ciekłym azocie.

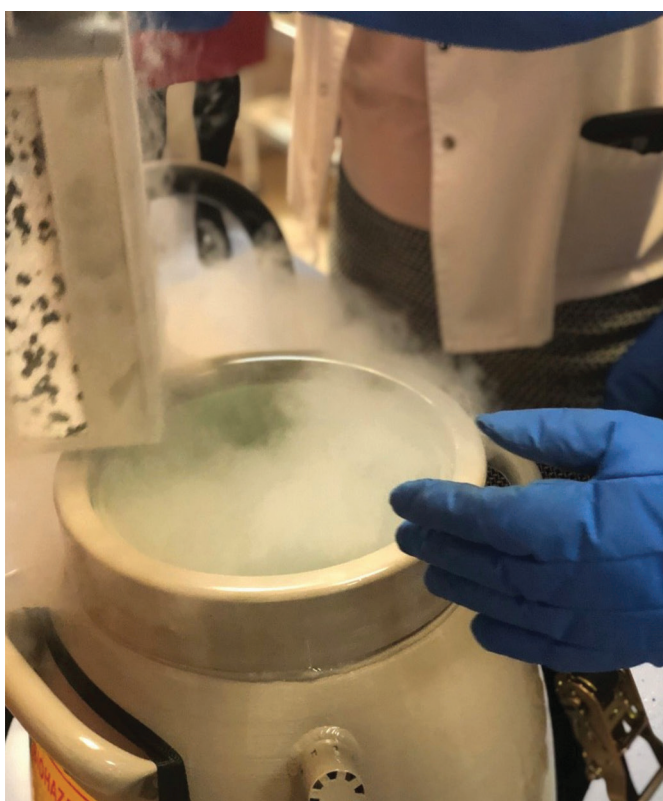
Pojemniki transportowe z warstwą absorbującą i izolacją próżniową, zabezpieczają próbki przed temperaturą i rozlaniem, a także zapewniają stabilność warunków kriogenicznych.

Osoby transportujące są wyposażone w dedykowane akcesoria, takie jak wózki oraz w rękawice i okulary ochronne, aby uniknąć kontaktu z odmrożeniami wywołwanymi przez substancję o niskiej temperaturze.



Sam produkt jest zamknięty w specjalnej kopercie, wyciągamy i rozmrażamy go bezpośrednio przy łóżku pacjenta. Mamy pół godziny na podanie dożylnie.

To 68 mililitrów szczęścia, które dały remisję choroby naszemu pierwszemu pacjentowi w 2019 roku. Dzisiaj dalej pozostaje w tej remisji – mówi prof. Lidia GIL, która przeprowadziła pierwsze podanie terapii CAT-T w Polsce.



ROZWÓJ TERAPII CAR-T W POLSCE I NA ŚWIECIE

Podczas Letniej Akademii Onkologicznej w sierpniu tego roku odbyła się debata na temat rozwoju terapii CAR-T z udziałem: prof. dr hab. n. med. Lidii Gil – kierownik Kliniki Hematologii, Transplantacji i Terapii Komórkowej Uniwersytetu Medycznego w Poznaniu, prof. dr hab. n. med. Iwony Hus – kierownik Kliniki Hematologii Państwowego Instytutu Medycznego MSWiA w Warszawie, prof. dr hab. n. med. Krzysztof Giannopoulos – kierownika Zakładu Hematoonkologii Doświadczalnej Uniwersytetu Medycznego w Lublinie, a także prof. dr hab. n. med. Jacka Jassemę, który podzielił się swoim doświadczeniem pacjenta leczonego CAR-T. Debata moderowała red. Aleksandra Rudnicka.



**prof. dr hab. n. med.
LIDIA GIL**

kierownik Kliniki Hematologii,
Transplantacji i Terapii
Komórkowej Uniwersytetu
Medycznego w Poznaniu

Pani profesor, mija 6 lat od czasu, kiedy Pani jako pierwsza podała terapię CAR-T w Polsce, był to pacjent ze złośliwym chłoniakiem. Wykazała się Pani wielką odwagą, ponieważ nie było to wtedy jeszcze standardowe leczenie. Jakie obawy towarzyszyły Pani wtedy i jakie trudności kliniczne oraz organizacyjne widzi Pani dzisiaj w prowadzeniu tej terapii, co należałoby zmienić, ulepszyć?

Niewątpliwie jest to terapia, która daje wielką satysfakcję, bo umożliwia wyleczenie z choroby nowotworowej. Ale sześć lat temu bardzo obawialiśmy się działań niepożądanych, zwłaszcza tzw. cytokinowych, a w szczególności zespołu uwalniania cytokin i powikłań neurologicznych. Niezbędna była w tym czasie rezerwacja na oddziale intensywnej terapii dla leczonych pacjentów. Dzisiaj podchodzimy do tego leczenia



XV LETNIA AKADEMIA

06-08 SIERPNIA 2025

i powikłań z respektem, natomiast potrafimy zaradzić działaniom niepożądanym w szybki i skuteczny sposób.

Obecnie pracujemy nad tym, aby wszyscy pacjenci potrzebujący terapii CAR-T mogli ją faktycznie otrzymać. Myślę, że w tej kwestii, jest jeszcze dużo do zrobienia w Polsce, zwłaszcza w ośrodkach, które nie mają akredytacji do tej terapii. Jednym z rozwiązań może być stworzenie internetowego systemu, który umożliwi konsultacje placówek w całym kraju i ułatwi kwalifikację pacjentów do terapii CAR-T, trochę na wzór modelu hiszpańskiego.

W ostatnich latach cały świat pracuje nad poszukiwaniem takich metod modyfikacji genetycznej komórek, które poprawią skuteczność terapii. Z jednej strony rozwiązaniem mogą być nowe cząsteczki CAR-T, a z drugiej może być to dodatkowe leczenie, które do tej terapii należałoby dodać.

Przyszłością są obiecujące wyniki toczących się badań nad terapiami CAR-T w guzach litych i chorobach autoimmunologicznych. Patrząc na postęp, jaki dotyczy terapii CAR-T w różnych wskazaniach uważam, że w przyszłości powinniśmy stworzyć w Polsce oddziały terapii komórkowych, gdzie leczylibyśmy chorych na nowotwory krwi, guzy lite i choroby autoimmunologiczne. W takich placówkach pracowaliby specjaliści różnych dziedzin, ale doświadczeni w prowadzeniu terapii komórkowych.



MIA ONKOLOGICZNA

A 2025 R.



**prof. dr hab. n. med.
KRZYSZTOF GIANNOPOULOS**

kierownik Zakładu Hematoonkologii Doświadczalnej
Uniwersytetu Medycznego
w Lublinie

Panie profesorze, terapia CAR-T stawia wysoko poprzeczkę lekarzom, jeśli chodzi o wiedzę i doświadczenie kliniczne, czy mamy odpowiednie kadry do prowadzenia takiego leczenia i jak organizacyjnie, sprzętowo nasze placówki są przygotowane do niego?

Kadrowo na pewno jesteśmy przygotowani. W dość krótkim czasie 15 ośrodków uzyskało certyfikaty pod kątem prowadzenia terapii CAR-T. To jest wystarczająca liczba. Niemcy mają 40 ośrodków akredytowanych, ale to jest kraj dwa razy większy od Polski. Dodatkowo wiemy, że niemiecki system bardzo preferuje ośrodki przeszczepowe i terapii komórkowych skupione tylko na wykonywaniu pojedynczych procedur. Jest to kraj, w którym najwięcej w Europie wykonuje się przeszczepów. W Wielkiej Brytanii jest około 20 takich ośrodków i Brytyjczycy uważają, że ta liczba też jest dla nich wystarczająca.

jąca. Jestem więc przekonany, że będziemy w pełni przygotowani do zapewnienia tej terapii wszystkim kwalifikującym się pacjentom. Kluczowe jest to, o czym profesor Gil powiedziała, czyli współpraca między ośrodkami i odpowiednio wczesna kwalifikacja. Być może i tutaj wprowadzenie e-konsyliów może okazać się pomocne. Na razie funkcjonuje to nieformalnie, ale prace MZ nad e-konsylium na poziomie od ośrodka niższej referencyjności do ośrodka prowadzącego terapię CAR-T, mogą być najlepszym narzędziem systematyzującym sprawne przenoszenie pacjentów i odpowiednią kwalifikację. E-konsylium to oczywiście szersze narzędzie usprawniające ruch chorych na wielu poziomach: POZ-AOS, AOS-szpitala, ale w przypadkach CAR-T widzę doskonale jego rolę.

Co do bezpieczeństwa pacjentów w terapii CAR-T, to w Polsce, podobnie jak w innych krajach Europy, ta technologia stale się rozwija i ulepsza. Pierwszymi ośrodkami certyfikowanymi były duże ośrodki przeszczepowe, choć już wiemy, że procedury przeszczepowe są dużo bardziej skomplikowane. Obecnie wiele ośrodków, które rozpoczynało leczenie CAR-T na oddziałach przeszczepowych tam już tego leczenia nie prowadzi. To już historia, która powtarza się i w Niemczech, i w Hiszpanii, i w Wielkiej Brytanii. Koledzy opowiadają, że na początku rzeczywiście trzeba było tą krzywą uczenia się bardzo szybko odrobić, po czym całkiem bezpiecznie można było podawać CAR-T na łóżkach „nieprzeszczepowych”. W Niemczech są doskonale funkcjonujące odpowiedniki naszych Rejonowych Centrów Krwiodawstwa i Krwiolecznictw, w których są centra aferezy i terapie CAR-T są przygotowywane poza ośrodkami hematologicznymi. Tylko na samo podanie pacjent przychodzi do ośrodka hematologicznego. Ale to jest specyfika bardzo sprawnego niemieckiego systemu.



**prof. dr hab. n. med.
IWONA HUS**

kierownik Kliniki Hematologii
Państwowego Instytutu
Medycznego MSWiA
w Warszawie

Pani profesor, terapia CAR-T staje się coraz bardziej dostępna, wielu pacjentów z nowotworami układu krwiotwórczego czy limfatycznego, uważa że jest ona właśnie dla nich. Jakie są podstawowe warunki zalecenia, kwalifikacji pacjenta do terapii CAR-T, bez względu na typ nowotworu hematoonkologicznego? Co dyskwalifikuje chorych z tej terapii?

Przy kwalifikacji ważne są choroby współistniejące, czyli pacjent musi być w dobrym stanie ogólnym, abyśmy mogli go

do tej terapii zakwalifikować. Jeśli to będzie starsza osoba, też musimy brać pod uwagę, że ryzyko powikłań będzie zawsze większe niż u osoby młodszej, ale mamy coraz więcej pacjentów w starszym wieku i zastosowanie tych nowoczesnych metod leczenia również u tych pacjentów rozważamy.

Powiem, jak wygląda praktyka z perspektywy naszego ośrodka, który kieruje pacjentów do CAR-T. Nasze dotychczasowe doświadczenia są związane z ośrodkiem w Poznaniu. Jest to bardzo dobra współpraca i to, co jest ważne dla pacjenta, że kwalifikacja do CAR-T odbywa się bardzo szybko. Podam przykład pacjenta z chłoniakiem po 12 latach od transplantacji nerki. Wiadomo, że pacjenci po transplantacjach narządowych muszą w sposób ciągły otrzymywać leczenie immunosupresyjne, a to zwiększa ryzyko nowotworów w ogóle, w tym chłoniaków. W momencie, kiedy tylko pacjent został zakwalifikowany do leczenia CAR-T, rozmawiałam z Panią Profesor Gil, która mnie zapytała, czy może on jutro być w Poznaniu. I tak się stało. Młody, 50-kilkuletni pacjent pojechał następnego dnia do Poznania. W MSWiA w Warszawie był prowadzony od lat przez naszych nefrologów, którzy opiekowali się nim jeszcze przed transplantacją nerki. To też jest istotne, ponieważ dyskutowaliśmy wspólnie z nefrologami, na ile możemy odstawić, czy też zmniejszyć leczenie immunosupresyjne przed aferezą.

Ważne są także wieloośrodkowe spotkania online oraz osobiste z lekarzami innych specjalności. Czas kwalifikacji pacjenta i przekazanie go do terapii CAR-T są kluczowe. Dlatego tak istotny jest dobry kontakt, możliwość szybkiego konsylium z ośrodkiem prowadzącym leczenie CAR-T. W przypadku, jeżeli występuje oporność lub szybka wznova po leczeniu pierwszej linii, zadajemy sobie pytanie, czy pacjent jest kandydatem do wysokodawkowanej chemioterapii i transplantacji autologicznych komórek krwiotwórczych, czy nie. I jeżeli tak, jeżeli jest to młodszy pacjent bez istotnych chorób współistniejących, to obecnie już w drugiej linii może on otrzymać terapię CAR-T. Czas jest bardzo istotny, ponieważ to jest agresywna choroba i to, na co liczymy, że się zmieni wkrótce to, że również ci starsi pacjenci będą mieli szansę otrzymać CAR-T już w drugiej linii, ponieważ teraz musimy im podać inne leczenie, np. inny schemat immunoterapii niż ten, który był zastosowany w 1. linii. I może być tak, że w czasie, kiedy choroba postępuje, stan ogólny pacjenta pogorszy się na tyle, że nie będziemy mogli już zastosować CAR-T.

To nie jest tak, że każdy zgłoszony pacjent zostaje zakwalifikowany do CAR-T. Większość rzeczywiście tak, ale zdarzają się przypadki kontrowersyjne. Wtedy dyskutujemy i zastanawiamy się nad tym, czy rzeczywiście ten pacjent skorzysta z leczenia CAR-T. Z drugiej strony – czy możemy też, biorąc pod uwagę określone kryteria włączenia i wyłączenia do tej procedury, akurat tego pacjenta zakwalifikować. Ten pacjent, o którym mówiłam, to był pacjent z chłoniakiem po trans-

plantacji narządu, i wymagał rozważenia wielu aspektów przy kwalifikacji do CAR-T. Udało się, ale takie wyzwania pewnie przed nami będą stały coraz częściej. Wszystko zaczyna się w ośrodku, w którym pacjent jest leczony. Ważne, żeby nie przeoczyć momentu, kiedy możemy pacjenta zakwalifikować i kiedy ma szansę odnieść największą korzyść z leczenia. Ośrodków, w których podawana jest terapia CAR-T jest w tej chwili w Polsce wiele i są one rozłożone równomiernie. Na pewno nie ma problemu z szybką kwalifikacją pacjenta do procedury CAR-T.



prof. dr hab. n. med.
JACEK JASSEM

Panie Profesorze, terapia CAR-T jest określana mianem leczenia ostatniej szansy, podobnie jak przeszczepienie komórek macierzystych szpiku. Co zdecydowało o tym, że zdecydował się Pan na takie leczenie?

Miałem późny nawrót choroby, co zawsze jest niekorzystnym zwrotem, choć rokuje lepiej niż pierwotna oporność, czyli nawrót w trakcie leczenia lub krótko po jego zakończeniu. Chłoniaki to domena hematologów, więc od początku oddałem swój los w ręce opiekującego się mną lekarza i w najmniejszym stopniu nie ingerowałem w jego decyzje. Oczywiście przedstawiał mi on różne możliwości wraz z ich plusami i minusami, ale miałem do niego pełne zaufanie i zawsze wybierałem to, co uznawał za najlepsze. Tak było również w tej sytuacji.

Przebieg mojej choroby był dość nietypowy – również jej nawrót, który pojawił się w bardzo nietypowym miejscu. Dodatkowo zdarzyło się to w czasie pandemii COVID-19, co utrudniało niektóre działania, na przykład wyjazd za granicę. Mój lekarz powiedział mi, że zgodnie z obowiązującymi zaleceniami powinienem otrzymać chemioterapię drugiej linii, a jeśli dobrze zareaguję – w kolejnym etapie wysokodawkową chemioterapię i przeszczepienie szpiku. Wspomniał jednak, że prawdopodobnie za kilka lat terapia CAR-T nie będzie już leczeniem ostatniej szansy, lecz przesunie się do wcześniejszych linii, bo jest naprawdę skuteczna. Tak zresztą dzieje się w onkologii – nowe leki najpierw stosujemy w zaawansowanej chorobie, a z czasem przesuwają się do wcześniejszych etapów, aż po leczenie uzupełniające po operacji czy radioterapii. Tę samą ewolucję przechodzi teraz CAR-T.

W Polsce terapia CAR-T była już dostępna w innych wskazaniach, ale dopiero raczkowaliśmy w tym zakresie. Pionierką była prof. Lidia Gil, a lek otrzymało wówczas kilku pierwszych chorych. W moim przypadku pojawił się jednak prozaiczny problem – terapia nie była refundowana. Gdziekolwiek bym się leczył, musiałbym zapłacić za leczenie, a w Polsce było ono wtedy kosmicznie drogie. Mój lekarz znalazł mi jednak zagraniczny ośrodek, który – co było wyjątkiem – sam opracował technologię „uzbrajania” limfocytów T przeciwko komórkom nowotworu. Dzięki temu koszt był znacznie niższy niż tam, gdzie proces realizują firmy farmaceutyczne. W tej sytuacji bez wahania przyjąłem tę propozycję. Wracając zatem do pytania – to nie był mój wybór, lecz wybór mojego lekarza, któremu całkowicie zaufałem.

Po zakończeniu pierwszej fazy leczenia, jeszcze przed nawrotem, napisałem książkę o swoim chorowaniu. Byłem wtedy w całkowitej remisji i pisałem, że choć cieszę się z efektu, nie wiem, co mnie czeka, bo ta choroba jest nieprzewidywalna. I rzeczywiście – doszło do nawrotu. Dziś myślę podobnie. Zakładam, że te uzbrojone limfocyty nadal krążą w moim organizmie, ale nie wiem, czy efekt będzie trwały. Nie studiuję doniesień z hematologii, nie analizuję krzywych przeżycia – nie wiem, czy poprawiłoby mi to samopoczucie. *Let it be*. Miałem ciekawe i bogate życie, więc z pokorą przyjmę wyrok losu.

PROF. KRZYSZTOF GIANNOPOULOS

Panie profesorze, debatujemy o rozwoju terapii CAR-T w Polsce, wydaje się, że jednym z najważniejszych problemów, jest odpowiedź na pytanie, czy jest w naszym kraju szansa na produkcję własnego CAR-T? Wiemy, że były prowadzone badania kliniczne w tym zakresie finansowane przez ABM, jaki jest ich rezultat?

Kilka konkursów na CAR-T już było, a teraz, przy okazji konkursu na kolejne eksperymenty medyczne, temat CAR-T wraca w ABM. Największy konkurs, w którym były dwa projekty zgłoszone, i który wygrało Konsorcjum Car-NET, zakończył się zamknięciem tego projektu. Drugi projekt nie uzyskał finansowania. Miał on inną bardzo ciekawą koncepcję *point of care*, czyli rozwijania terapii w ośrodkach blisko pacjenta. To jest rodzaj *home made* CAR-T i jest to bardzo ważny teraz obszar rozwoju tej terapii, szczególnie w Niemczech.

Wracając do polskiego CAR-T, można powiedzieć, że ten ogromny bodziec, którym mógł być projekt powyżej 100 milionów finansowany z środków ABM, niestety nie wyszedł. Ale nie jest tak źle, ponieważ obecnie mamy dwa projekty, które są realizowane. Pierwszym jest projekt profesora Tomasza Wróbla, który uzyskał już akceptację na produkt wytwarzany we Wrocławiu. Aczkolwiek sam konstrukt jest na licencji

zagranicznej firmy farmaceutycznej. Jest to nowej generacji CAR-T, a pierwszy pacjent uzyskał już leczenie. Podobnie projekt profesora Grzegorza Basaka z Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego też jest realizowany. Są to może już nie tak ogromne i aż tak ambitne projekty, jakim były poprzednie projekty, ale miejmy nadzieję, że polskie CAR-T powstanie.

Trzeba sobie odpowiedzieć na pytanie – Co to jest polskie CAR-T? Czy użycie komercyjnego konstruktu i generacja go w ośrodku, to jest polskie CAR-T, czy wymyślenie konstruktu, tak jak to było założone w pierwotnym projekcie? Car-NET był bardzo ambitnym projektem i bardzo mu kibicowaliśmy. Czym więc jest polskie CAR-T? To już jest wielka dyskusja odnośnie stanu polskiej nauki.

O ile wydaje się, że poziom medyczny w Polsce naprawdę bardzo wzrósł w ostatnich latach, to poziom naukowy nie nadąża. Nie mamy tak mocnych uniwersytetów, jak na przykład Uniwersytet w Ulm w Niemczech, gdzie jest 50 lekarzy, 50 naukowców i kilkunastu profesorów, którzy są liderami światowymi. W sumie może mamy podobny potencjał w hematologii. Z tego powodu, nie ma się co dziwić, że nasz rozwój właśnie tak trudnych konstruktów, które polegają na świetnej współpracy nauk podstawowych, medycyny translacyjnej i tej klinicznej, nie rozwija się tak jak byśmy tego oczekiwali. Chociaż ten ostatni element rozwija się znakomicie, bo trzeba powiedzieć, że dzięki decyzjom refundacyjnym mamy dostępność do bardzo nowoczesnego leczenia, a wiadomo, że ono wiąże się też zawsze z podwyższaniem standardu opieki nad pacjentem.

To, że polskie ośrodki uczestniczą w badaniach komercyjnych, to też te ośrodki nobilituje, wymusza pewne standardy, ale pamiętajmy, że tam jesteśmy wykonawcami, nie jesteśmy tam autorami tych konstruktów.

PROF. LIDIA GIL

Pani profesor, Pani też uczestniczyła w badaniu Car-NET, jaka jest Pani opinia?

Tak, nasz ośrodek był jednym z konsorcjantów. Rzeczywiście ambicje były olbrzymie, ponieważ chcieliśmy stworzyć i wirusa, i samą cząsteczkę, i produkcję, i zaplecze naukowe. Car-NET nam udowodnił, że 100 milionów na to nie starcza. Stworzenie i wyprodukowanie takiej cząsteczki jest olbrzymim przedsięwzięciem, które wymaga czasu i olbrzymich nakładów finansowych. Dodatkowo napotykalismy na przeszkody natury administracyjnej. Te kilka lat temu, właściwie we wszystkich krajach europejskich, urzędowe decyzje i pozwolenia, były trochę opóźnione w odniesieniu do tej nowatorskiej technologii. Dzisiaj są jeszcze problemy, ale już są znacząco mniejsze. Natomiast trzeba popierać wszystkie inicjatywy, które w Polsce prowadzą do wytwarzania CAR-T, także na licencjach.

PROF. KRZYSZTOF GIANNOPOULOS

Jeszcze uzupełnię, bo jest jeden produkt polski tej terapii, a mianowicie CAR-T z krwi pępowinowej, który rzeczywiście jest tworzony przez polskie konsorcjum, chociaż tak jak Pani profesor przed chwilą powiedziała, ambicje były dużo większe.

PROF. IWONA HUS

Pani profesor, sam proces leczenia terapią CAR-T może być prowadzony tylko przez certyfikowane ośrodki, ale jaka może być rola placówek różnego poziomu referencyjności w opiece nad pacjentem, który jest przygotowywany do leczenia lub jest już po nim?

W sytuacji, kiedy potrzebujemy leczenia pomostowego nie powinniśmy obciążać ośrodka, które CAR-T prowadzi, jeżeli coś z pacjentem w tak zwanym międzyczasie się wydarzy, choćby infekcja, przed czy po terapii CAR-T.

Np. może pacjent potrzebować leków, transfuzji, może mieć jakikolwiek problem medyczny, niekoniecznie bezpośrednio związany z leczeniem, kiedy jest już zakwalifikowany. Więc, aby to wszystko poszło gładko, musi wtedy zgłaszać się do ośrodka macierzystego.

Taka sama sytuacja jest po CAR-T, że chory może potrzebować na przykład badań. Pierwsze badanie PET jest robione w ośrodku podającym CAR-T, ale potem może być potrzebna obserwacja. To jest jednak często duża trudność dla pacjenta ze względu na odległość, dojeżdżać do ośrodka, gdzie otrzymał CAR-T i część tej opieki placówka prowadząca chorego może wziąć na siebie, na przykład podawanie immunoglobulin, jeśli będzie potrzebne. Bardzo ważną rolę odgrywa tutaj dobra współpraca, dobra komunikacja, to że w każdej chwili możemy zadzwonić, zapytać o to, co powinniśmy zrobić.

PROF. JACEK JASSEM

Pan profesor jest pacjentem z doświadczeniem terapii CAR-T. Co chciałby Pan przekazać chorym, którzy stoją przed wyborem tej metody lub zostali już do niej zakwalifikowani? Na co powinni się przygotować?

Od początku choroby, która zaczęła się w 2017 roku, starałem się racjonalizować wszystko, co robię. Tak postępowałem jako lekarz i tak też zachowałem się, gdy sam stałem się pacjentem. Kiedy zdecydowałem się na terapię CAR-T, chciałem dokładnie wiedzieć, co mnie czeka – jakie są spodziewane efekty i możliwe ryzyka. Po przyjeździe do ośrodka odbyłem długą rozmowę z kierownikiem kliniki. Przyjął mnie bardzo serdecznie, a nawet zaproponował, żebym wygłosił wykład. Wiedział, że będę miał wtedy trochę wolnego czasu, bo pobranie limfocytów T poprzedza o około tydzień właściwe leczenie.

Te limfocyty muszą zostać uzbrojone i pomnożone *ex vivo*, czyli w warunkach laboratoryjnych, więc w tym czasie pacjent czeka.

Byłem leczony w ramach naukowego eksperymentu medycznego, ponieważ w tym kraju terapia CAR-T nie była jeszcze zarejestrowana w moim wskazaniu. Musiałem więc poczekać na zgodę tamtejszej komisji bioetycznej. Profesor przedstawił mi swoje wyniki – w badaniu uczestniczyło już 203 pacjentów, z których część tolerowała leczenie bardzo dobrze, inni mieli większe lub mniejsze objawy niepożądane, ale nie było zgonów toksycznych.

Z pewnym zaskoczeniem dowiedziałem się też, że niektóre ośrodki na świecie podają CAR-T w trybie ambulatoryjnym i hospitalizują chorych dopiero, gdy pojawią się objawy.

Po podaniu leczenia przez kilka dni czułem się doskonale. Niestety później wystąpiły nasilone działania niepożądane: wysoka gorączka, retencja płynów, uporczywa biegunka i inne objawy. Czułem się naprawdę fatalnie – w pewnym momencie pomyślałem nawet, że będę tą pierwszą ofiarą śmiertelną. Na szczęście udało się z tego wyjść. Na pewno pomogło mi to, że przez całe życie uprawiałem sport i przed rozpoczęciem terapii miałem dobrą kondycję fizyczną. Do Polski wróciłem jednak na wózku inwalidzkim.

W dzisiejszych czasach, gdy tak często podważa się autorytety i wiedzę ekspertów, apeluję do wszystkich pacjentów: zaufajcie lekarzom. My naprawdę mamy wiedzę i doświadczenie. Jeśli coś proponujemy, bierzemy za to odpowiedzialność. Mój lekarz powiedział mi, że to leczenie jest skuteczne, choć obarczone pewnym ryzykiem – i ja to ryzyko świadomie przyjąłem. Objawy niepożądane były bardziej nasilone niż można się było spodziewać, ale ani przez chwilę nie żałowałem swojej decyzji. Jestem „surwiwalowcem” – lubię wyzwania, latam na spadochronie, robię różne, nie zawsze bezpieczne rzeczy.

Więc co mogę powiedzieć pacjentom? To leczenie jest dla ludzi. Kiedy zachorowałem, swoją „pomoc” zaoferował mi znany polski szarlatan. Grzecznie odmówiłem, mówiąc, że jestem w świetnych rękach.

Podziękowania dla organizatorów LAO za udostępnienie materiału.

XV Letnia Akademia Onkologiczna
odbyła się w dniach 6-8 sierpnia 2025 roku
w Golden Tulip Warsaw Centre w Warszawie.
Wydarzenie jest organizowane przez Fundację
im. dr. Macieja Hilgiera we współpracy
z Polską Ligą Walki z Rakiem.

NOWE, INNOWACYJNE TERAPIE W SZPICZAKU PLAZMOCYTOWYM ZNACZĄCO WYDŁUŻAJĄ ŻYCIE PACJENTÓW



Prof. Krzysztof Giannopoulos – kierownik Zakładu Hematoonkologii Doświadczalnej Uniwersytetu Medycznego w Lublinie, prezes Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów przedstawia aktualną sytuację dostępu do leczenia pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym oraz nowe, innowacyjne terapie, których refundacja pozwoli optymalizować leczenie kolejnych linii.

AKTUALNY DOSTĘP DO TERAPII I EFEKTYWNOŚĆ LECZENIA SZPICZKA PLAZMOCYTOWEGO

Ostatnie decyzje refundacyjne zdecydowanie poprawiły rokowania chorych na szpiczaka plazmocytowego. Dostępność do leków można określić jako dobrą, a nawet bardzo dobrą. W obszarze rejestracyjnym i refundacyjnym w szpiczaku plazmocytowym dużo się dzieje. Mamy nowe rejestracje, więc perspektywy są coraz lepsze. Dotychczas stosowana terapia zwiększyła średnie przeżycie wielokrotnie – mediana całkowitego przeżycia przekracza już 10 lat.

Natomiast leki, które chciałbym przybliżyć, to obecnie dostępne terapie rejestrowe – jeśli przynoszą one korzyść w zakresie wydłużenia czasu do progresji, to łączny efekt przełoży się na przeżycie całkowite dopiero po kilku latach. Liczymy, że to sekwencyjne wydłużanie czasu wolnego od progresji przełoży się na dalsze wydłużenie życia pacjentów.

Co jest przyczyną wydłużenia przeżycia? Na pewno skuteczność każdej linii leczenia. Zaczynamy od leczenia pierwszego rzutu i już od tego momentu myślimy, jak optymalizować leczenie, jakie są najbardziej skuteczne i dostępne możliwości terapii.

DWIE ŚCIEŻKI LECZENIA CHORYCH NA SZPICZAKA

Zasadniczo w podejściu do leczenia chorych na szpiczaka plazmocytowego, nic się nie zmieniło – **pacjentów leczymy w zależności od kwalifikacji do przeszczepienia**. Dawniej, ta procedura zlecana była osobom młodszym, obecnie zwracamy bardziej uwagę na wiek biologiczny, a nie metrykalny. Mamy pojedynczych pacjentów powyżej 70 r.ż., u których

doświadczone ośrodki transplantologiczne wykonują autologiczne przeszczepienie.

Generalnie, patrząc na całość populacji pacjentów chorych na szpiczaka, zdecydowana większość z nich nie zakwalifikuje się do przeszczepienia. Dane polskie pokazują, że jest to 70% pacjentów. Z kolei allogeniczne przeszczepienie jest oferowane w wyjątkowych, bardzo trudnych przypadkach, zazwyczaj nie w pierwszej linii leczenia.

LECZENIE I LINII CHORYCH KWALIFIKUJĄCYCH I NIE KWALIFIKUJĄCYCH SIĘ DO PRZESZCZEPIONIA

Tak więc zostajemy przy podziale na dwie grupy: chorzy kwalifikujący i niekwalifikujący się do przeszczepienia. Ci drudzy są leczeni w sposób ciągły i mamy dostępność do nowoczesnych terapii z *daratumumabem* – przeciwciałem monoklonalnym, które celuje w komórki nieprawidłowe, a także dodatkowo dwa leki doustne: *lenalidomid*, *deksametazon*.

Natomiast chorzy kwalifikujący się do transplantacji komórek macierzystych otrzymują schemat *daratumumab*, *bortezomib*, *talidomid*, *deksametazon*. Tych chorych leczymy w sposób blokowy, czyli najpierw leczenie indukujące remisję, później przeszczepienie, następnie konsolidacja po przeszczepieniu i leczenie podtrzymujące z *lenalidomidem*. Jest to dosyć skomplikowane leczenie, ale jest to optymalna sekwencja.

Pamiętamy, że powyżej 30% chorych na szpiczaka plazmocytowego nie otrzyma leczenia drugiego rzutu. Podkreślam, jak ważna jest optymalizacja każdej linii leczenia, zaczynając już od pierwszej.

NOWE LEKI ZAREJESTROWANE W I LINII LECZENIA

Mamy dwie nowe rejestracje w pierwszej linii leczenia. Są to schematy czterolekowe: *daratumumab*, *bortezomid*, *lenalidomid*, *deksametazon*. Zaczyna być on uniwersalny, bo może być stosowany zarówno w grupie przeszczepowej (badanie Perseus) jak i w grupie pacjentów niekwalifikujących się do przeszczepienia (badanie CEPHEUS).

Schemat czterolekowy: *daratumumab*, *bortezomid*, *lenalidomid*, *deksametazon* jest pewnego rodzaju przełomem, ponieważ był on zarezerwowany wcześniej dla młodych pacjentów, a obecnie jest oferowany pacjentom niekwalifikującym się do przeszczepienia, czyli pacjentom obciążonym czynnikami ryzyka, czy też starszych wiekiem.

PRZEWAGA SCHEMATU CZTEROLEKOWEGO – DOBRY PROFIL BEZPIECZEŃSTWA, LEPSZA JAKOŚĆ ŻYCIA, WIĘKSZA SKUTECZNOŚĆ

W sytuacji, gdy dysponujemy terapiami dobrze tolerowanymi i o korzystnym profilu bezpieczeństwa, możliwe jest zastosowanie schematu złożonego z czterech leków: przeciwciała monoklonalne (także w formie podskórnej), *bortezomibu* podawanego podskórnie, *lenalidomidu* – doustnego leku immunomodulującego – oraz *deksametazonu*, czyli doustnego glikokortykosteroidu.

Co ważne, umożliwia to leczenie ambulatoryjne, a ponadto są to bardzo skuteczne terapie w porównaniu ze schematem, który dotychczas był bardzo często stosowany w Stanach Zjednoczonych, czyli VRd. Obejmował on trzy leki: *bortezomib*, *lenalidomid* oraz *deksametazon*.

Czterolekowy schemat ma przewagę w kontekście czasu wolnego od progresji (PFS): szacowany 54-miesięczny PFS na poziomie 68% *versus* 49%. Nigdy nie widzieliśmy tak dobrych wyników w grupie niekwalifikującej się do przeszczepienia.

TERAPIE II LINII LECZENIA SZPICZAKA PLAZMOCYTOWEGO

W kolejnych liniach leczenia, także w Polsce, dostępność terapeutyczna jest bardzo dobra, a wachlarz możliwości naprawdę szeroki. Warto jednak zwrócić uwagę na wyzwania i cele terapii już od drugiej linii. Jeśli w pierwszym etapie wykorzystamy przeciwciała monoklonalne skierowane przeciwko CD38, to kolejne terapie oparte na tym samym mechanizmie nie będą skuteczne. Podobnie, *lenalidomid* jako lek immunomodulujący traci swoją skuteczność u pacjentów z nawrotem choroby. Sytuacja ta wymusza poszukiwanie nowych celów terapeutycznych – jednym z nich jest antygen dojrzewania limfocytów B (BCMA). Wykazuje on wysoką ekspresję na komórkach szpiczakowych, co sprawia, że terapia ukierunkowana na BCMA działa

wybiórczo wobec nieprawidłowych plazmacytów. Ekspresja na komórkach progenitorowych jest natomiast istotnie niższa, co sprawia, że potencjalna toksyczność wobec młodszych form komórkowych pozostaje minimalna. BCMA jest więc bardzo dobrym celem terapeutycznym.

Pojawiły się trzy nowe możliwości leczenia pacjentów ze szpiczakiem plazmacytowym w II linii. Pierwsza to przeciwciała dwuswoiste, druga to CAR-T, czyli terapia komórkowa, a trzecią jest koniugat *belantamab mafodotyny*.

Dostępność przeciwciał bispecyficznych jest w Polsce dokładnie taka sama jak w krajach Europy Zachodniej czy Stanach Zjednoczonych, co daje nam wyjątkowo komfortową sytuację – trzy leki zarejestrowane są dostępne u nas. CAR-T, czyli terapia komórkowa to żywy lek, na który bardzo czekamy. Proces refundacyjny rozpoczął się w styczniu dla jednego z produktów i liczymy, że ta dostępność się wkrótce pojawi. Dysponujemy licznymi wynikami badań pokazującymi, jak skuteczne jest CAR-T w kontekście chorych na szpiczaka plazmacytowego.

STOSOWANIE BELANTAMABU MAFODOTYNY OD PIERWSZEGO NAWROTU

Inny lek, który ma ciekawą historię to koniugat, przeciwciała monoklonalne-lek, immunotoksyna – *belantamab mafodotyny*. Zaczęliśmy o nim powoli zapominać, w monoterapii został nawet wyrejestrowany. Później jednak pojawiły się dwie nowe rejestracje w połączeniu z dwoma lekami, również nieklasycznymi chemoterapeutykami. W takim leczeniu skojarzonym terapia jest bardzo skuteczna.

Mechanizm działania *belantamabu mafodotyny* jest, można powiedzieć, sprzyjający – taka a'la chemioterapia, czyli terapia zabijająca komórki, ale w sposób celowany, dlatego że to przeciwciała łączy się tylko z antygenem BCMA obecnym na komórkach plazmatycznych. Z drugiej strony, nie zapominamy o skutecznej odpowiedzi układu odpornościowego, bo jest to nadal przeciwciała monoklonalne – taki podwójny mechanizm działania. Oczywiście, te mechanizmy immunologiczne są znacznie bardziej skomplikowane. Nie zawsze można na nie liczyć, ponieważ pacjenci chorzy na szpiczaka plazmacytowego mają niedobory odporności, ale wtedy dominuje element cytotoksyczny, immunotoksyny. Stąd bierze się tak duża skuteczność, która została potwierdzona badaniami rejestracyjnymi z poprzedniego roku. Rejestracja europejska jest z sierpnia bieżącego roku, także to bardzo aktualna historia.

Dwa badania, DREAMM-7 oraz DREAMM-8, porównywały skuteczność leczenia *belantamabem* w połączeniu z *bortezomibem*, *deksametazonem* od pierwszego nawrotu choroby ze schematem *daratumumab*, *bortezomib*, *deksametazon*. Wykazały dużo wyższą skuteczność tego

pierwszego, zarówno w kontekście czasu wolnego od progresji, jak również całkowitego przeżycia.

Jest to niesłychane osiągnięcie dla terapii, którą się porównuje z tak skutecznym lekiem, jakim jest *daratumumab*. Wydaje mi się, że tutaj nie będziemy myśleli o leku, który będziemy stosować *versus daratumumab*, ponieważ jest nam potrzebna terapia po *daratumumabie*, który jest trzonem w terapii pierwszej linii, co sprawia, że nie będzie on skuteczny w kolejnych etapach. *Belantamab mafodotyny* odpowiada na tę potrzebę.

Dodatkowo może on odpowiedzieć w sposób wygodniejszy dla pacjenta, ponieważ tutaj mamy schemat z badania DREAMM-8, również rejestracyjnego dla *belantamabu* w leczeniu skojarzonym z *pomalidomidem* i *deksametazonem*, czyli nowej generacji lekiem immunomodulującym oraz sterydem. Znowu przewaga nad schematem PVD, istotna zarówno w kontekście czasu wolnego od progresji, jak i czasu całkowitego przeżycia.

Co ważne, porównano pośrednio te trzy schematy i wykazano, że *belantamab* w połączeniu z *pomalidomidem* i *deksametazonem* jest również skuteczniejszy nad schematem *daratumumab*, *bortezomib*, *deksametazon*, co znowu pokazuje, że są to schematy najskuteczniejsze w terapii nawrotu.

W TRZECIEJ LINII LECZENIA – KONECZNOŚĆ DOSTĘPU DO IMMUNOTERAPII

Przechodzimy do dalszych opcji terapeutycznych, czyli terapii od trzeciej linii. Tutaj wskazywaliśmy na konieczność dostępu do immunoterapii. Pierwszy krok został już osiągnięty, bo mamy dostęp do wszystkich trzech zarejestrowanych przeciwciał dwuswoistych. Skuteczność tych trzech leków jest porównywalna, chociaż oczywiście bezpośrednich porównań nie ma. Są pewne różnice między tymi trzema lekami. Dwa celują w BCMA, a trzeci w GPRC5D, czyli inny antygen, stąd też potencjalne możliwości również sekwencjonowania takich terapii.

Toksyczność terapii bispecyficznych jest toksycznością immunologiczną, do której musimy przygotować nasze ośrodki i lekarzy, którzy prowadzą chorych na szpiczaka plazmocytozy. Po początku leczenia, które wymaga dobrego monitoringu, może być ono kontynuowane w ambulatorium, ponieważ przeciwciała dwuswoiste mogą być podawane drogą podskórną.

Natomiast wciąż oczekujemy na decyzje refundacyjne terapii komórkowych – CAR-T.

Mamy długie analizy, powyżej 5 lat obserwacji, z badania CARTITUDE-1 zaprezentowanego w 2021 roku. Było ono

prowadzone w trudnej populacji pacjentów opornych, nawrotowych, gdzie nie było już innych opcji leczenia. Udało się przeanalizować 97 pacjentów i 32 z nich miało czas wolny od progresji powyżej 5 lat. To niesłychany wynik. A jeszcze ciekawszy jest wynik drugi, że 45 osób z tych 97 nadal żyje.

Dlaczego to są tak ważne wyniki? Ponieważ porównywano je do wszystkich innych możliwości leczenia poza CAR-T w tej populacji pacjentów. W badaniu LocoMMotion mediana czasu do progresji wynosiła tylko 4,6 miesiąca i tak naprawdę większość pacjentów umierała przed rokiem od czasu stwierdzenia oporności na trzy klasy leków, co jest fatalnym rokowaniem.

Cilta-cel, produkt, który był podsumowywany w pięcioletniej analizie, pokazał wielokrotnie większą skuteczność: mediana PFS-u wynosiła 61 miesięcy, czyli co najmniej dziesięciokrotnie więcej.

Dlaczego liczymy, że ta technologia będzie jeszcze bardziej korzystna? Mamy dwa badania, CARTITUDE-1 i CARTITUDE-4, czyli ten sam lek, tylko użyty w innych populacjach pacjentów – CARTITUDE-4 we wcześniejszych nawrotach. W badaniach tych pokazano, że skuteczność jest jeszcze większa: 30 miesięczny PFS 68% *versus* 54%. Czyli te wyniki z badania rejestracyjnego dla wcześniejszej rejestracji, mogą być jeszcze lepsze, jeśli terapia będzie wcześniej zastosowana. Z badania rejestracyjnego w trudnej populacji pacjentów mediana PFS 8 miesięcy *versus* te 3 miesiące, które były w badaniu LocoM-Motion, czyli tutaj też co najmniej dwukrotne wydłużenie czasu wolnego od progresji.

Na co realnie liczymy? Liczymy na dostępność do technologii **Idc-cel**. To jest lek, który teraz jest w procesie refundacyjnym. Pierwsze etapy przebiegają i szybko i korzystnie dla objęcia refundacją tego leku. Mamy nadzieję, że pod koniec tego roku, bądź na początku przyszłego będziemy mieli upragnioną refundację.

PODSUMOWANIE

Wydłużenie przeżycia chorych zależy od optymalizacji i maksymalizacji skuteczności każdej linii leczenia. W pierwszej linii leczenia terapie czterolekowe z anty-CD38 będą stosowane niezależnie od kwalifikacji do przeszczepienia. Od pierwszego nawrotu zarejestrowane zostały terapie z zastosowaniem *belantamabu mafodotyny* – pierwszej immunotoksyny, której skuteczność może przeważać nad kombinacjami z *daratumumabem*. Obecnie **Program lekowy B.54** zapewni dostępność do wszystkich zarejestrowanych terapii przeciwciałami dwuswoistymi. **Skuteczność CAR-T i przeciwciał dwuswoistych w terapii chorych nawrotowych przeważa nad innymi metodami nowoczesnego leczenia.** W opiece nad chorym należy zwracać uwagę na objawy CRS (zespół uwalniania cytokin) i ICANS (zespół neurotoksyczności) oraz zarządzanie powikłaniami infekcyjnymi.

MIELOFIBROZA – OSIĄGNIĘCIA I POTRZEBY

Prof. dr hab. n. med. Joanna Góra-Tybor – kierownik Oddziału Hematoonkologii z Pododdziałem Chemioterapii Diennej w Wojewódzkim Wielospecjalistycznym Centrum Onkologii i Traumatologii im. M. Kopernika w Łodzi przedstawia osiągnięcia i potrzeby w leczeniu pacjentów z mielofibrozą.



NOWOTWORY MIELOPROLIFERACYJNE

Mielofibroza (MF) to rzadki nowotwór, należący do klasy czynnych nowotworów mieloproliferacyjnych (MPN) Filadelfia ujemnych, razem z takimi chorobami jak **czerwieńca prawdziwa (PV)** i **nadpłytkowość samoistna (ET)**. Mielofibroza występuje w postaci **pierwotnej mielofibrozy (PMF)** i **mielofibrozy po transformacji z PV/ET**.

Mielofibroza, zwłaszcza w zaawansowanych stadiach charakteryzuje się najgorszym rokowaniem spośród klasycznych MPN.

PODŁOŻE MOLEKULARNE NOWOTWORÓW MIELOPROLIFERACYJNYCH

W tej grupie nowotworów mamy do czynienia z rewolucją w wiedzy na temat podłoża molekularnego. Wszystko zaczęło się w 2005 roku dzięki odkryciu mutacji JAK2, która towarzyszy większości pacjentów z tymi nowotworami.

W mielofibrozie ponad połowa pacjentów jest obarczonych mutacją JAK2. W kolejnych latach odkryto mutacje MPL i CALR, a więc udało się scharakteryzować molekularne podstawy nowotworów mieloproliferacyjnych.

Dzięki rozpoznaniu mutacji wiodących, uruchamiających proces nowotworzenia wiele dowiedzieliśmy się o mechanizmach warunkujących rozwój choroby m.in. pobudzeniu szlaku JAK-STAT.

OBJAWY NOWOTWORÓW MIELOPROLIFERACYJNYCH

Szlak JAK-STAT wiąże się z pobudzeniem receptorów dla cytokin i zwiększeniem ich stężenia w organizmie. Pacjenci z MPN często mają tzw. **objawy cytokinowe: gorączkę, bóle kostne, świąd skóry, zmęczenie, utratę wagi**. Wielu pacjentów z mielofibrozą ma te objawy już w momencie rozpoznania choroby. Bardzo często występuje też **niedokrwistość**. U części pacjentów jest na tyle głęboka, że wymaga przetoczeń koncentratu krwinek czerwonych (KKCz). Typowym obja-

wem mielofibrozy jest również powiększona śledziona, często powodująca objawy dyspeptyczne (objawy niestrawności), takie jak bóle brzucha, uczucie wczesnej sytości.

Mogą też wystąpić **powikłania zakrzepowe**: przemijający atak niedokrwienny, udar mózgu, zawał serca, zakrzepica żył głębokich, zakrzepica żył wątrobowych (zespół Budd-Chiari).

Mielofibroza jest bardzo heterogenną chorobą i w zależności od stadium zaawansowania, u części pacjentów może prawie w ogóle nie dawać objawów, a u innych te objawy będą bardzo nasilone.

SKALE PROGNOSTYCZNE, A STRATEGIA TERAPII

Strategia terapii mielofibrozy zależy od zaawansowania choroby. W ocenie ryzyka choroby i przewidywanego czasu przeżycia pomagają skale prognostyczne. Zawsze istotnym czynnikiem jest wiek. Podeszły wiek to niekorzystny czynnik ryzyka w każdej chorobie, ale zwracamy też uwagę na **obecność takich objawów jak**: niedokrwistość, wysoka liczba białych krwinek, zwiększona liczba blastów (młodych form krwinek białych), zależność od przetoczeń krwi oraz dodatkowo na małopłytkowość i niekorzystne zmiany w obrazie kariotypu, czyli w chromosomach.

W zależności od skali zaawansowania, oczekiwany czas przeżycia bardzo się różni. W grupach niskiego ryzyka można zaobserwować wyniki powyżej 100 miesięcy, podczas gdy w grupach pacjentów o wysokim ryzyku – niecałe 2 lata. Nic więc dziwnego, że strategie lecznicze są różne.

TERAPIE W KOLEJNYCH STADIACH CHOROBY

We wczesnych stadiach mielofibrozy (niskie ryzyko), możemy jedynie obserwować pacjenta. Można też za-

stosować preparaty interferonu alfa lub hydroksymocznik – jeżeli np. w morfologii krwi obserwujemy istotną nadpłytkowość czy zwiększoną liczbę krwinek białych. Natomiast w zaawansowanych stadiach choroby, u młodszych pacjentów bez istotnych chorób współistniejących, już od początku myślimy o transplantacji szpiku kostnego.

U chorych z niedokrwistością niejednokrotnie jedynym możliwym postępowaniem jest przetoczenie KKCz. Leki, które mogą pobudzić szpik do produkcji krwinek czerwonych to *erytropoetyna*, androgeny (*danazol*), steroidy, leki immunostymulujące takie jak *talidomid* czy *lenalidomid*.

Przełomowe leki w terapii mielofibrozy to inhibitory kinazy JAK, wprowadzone do terapii dzięki odkryciu ważnej roli pobudzenia szlaku JAK-STAT w rozwoju choroby.

TERAPIE W PROGRAMIE LEKOWYM

W programie lekowym mamy dostępne w Polsce trzy inhibitory kinazy JAK: *ruksolitynib*, *fedratynib*, a od 1 października tego roku *mometolitynib*. Jest też czwarty inhibitor, *pakrytynib*, który jest zarejestrowany tylko przez FDA w Stanach Zjednoczonych. Sytuacja dostępności polskich pacjentów do tych leków jest bardzo dobra, ponieważ mamy refundację wszystkich trzech leków zarejestrowanych w Europie.

Najwcześniej zarejestrowanym lekiem z tej grupy, z którym mamy największe doświadczenie jest właśnie *ruksolitynib*. Badania COMFORT wykazały, że jest skuteczniejszy od wcześniej stosowanych leków. Nieraz w spektakularny sposób potrafi zmniejszyć śledzionę u pacjentów, dobrze również niweluje objawy cytokinowe: poty, bóle kości, zmęczenie czy utratę wagi. Ta terapia potrafi znacznie poprawić komfort życia pacjenta, a dzięki poprawie jakości życia, wydłuża również jego czas. Drugi lek dostępny w naszym programie, *fedratynib*, bardzo podobny do poprzedniego, również zmniejsza śledzionę i nasilenie objawów ogólnych. Możemy go stosować zarówno w pierwszej linii leczenia, jak i u chorych po niepowodzeniu terapii pierwszym inhibitorem, czyli *ruksolitynibem*.

Mimo wielu zalet, oba te inhibitory mają swoje objawy niepożądane i często najtrudniejszym dla pacjenta i lekarza prowadzącego jest nasilenie niedokrwistości. Większość pacjentów z MF już wyjściowo ma niedokrwistość, a te leki, ze względu na swój mechanizm działania, u części chorych te dolegliwości nasilają.

Zatem musimy wyważyć, czy jesteśmy na tyle zadowoleni z ich działania, że kontynuujemy leczenie mimo niedokrwistości, czy

u niektórych chorych powinniśmy wziąć pod uwagę zmianę terapii.

NIEDOKRWISTOŚĆ W MIELOFIBROZIE

Już w momencie rozpoznania mielofibrozy 40% chorych cierpi na niedokrwistość. Przyczyny są bardzo różne, ale podstawowy powód to właśnie włóknienie szpiku (jak sama nazwa nowotworu wskazuje), w którym nie ma miejsca na prawidłową hematopoezę. Dodatkowo, powiększona śledziona powoduje nadmierne niszczenie erytrocytów. Zdarzają się też krwawienia oraz toksyczność stosowanych leków – *ruksolitynibu* i *fedratynibu*. Podobnie jak we wszystkich chorobach, gdzie są nasilone procesy zapalne, zwiększone stężenie cytokin prozapalnych skutkuje zwiększonym stężeniem hepcydyny – hormonu, który zmniejsza dostępność żelaza dla prekursorów krwinek czerwonych. Powoduje to zaburzenia metabolizmu żelaza, czyli nawet jeśli mamy żelazo w organizmie, to organizm nie potrafi z niego korzystać, ponieważ jest ono uwięzione w magazynach i nie może być uwolnione do komórek produkujących krwinki czerwone.

LECZENIE NIEDOKRWISTOŚCI W MIELOFIBROZIE

Leczenie niedokrwistości w mielofibrozie jest bardzo trudne. Możemy stosować *erytropoetynę*, steroidy, androgeny (*danazol*) czy leki immunomodulujące jak *talidomid*, ale dają one niestety krótki efekt, a czasem – nic nie zmieniają. Leki te zmniejszają niedokrwistość jedynie u około 1/3 pacjentów. Niestety wśród pacjentów z zaawansowaną mielofibrozą jest duża grupa chorych zależna od transfuzji krwinek czerwonych i w przypadku tych pacjentów nie mamy aktualnie leku lepszego niż po prostu przetoczenia KKCz.

Dostępny od października w programie lekowym – *mometolitynib* ma nieco odmienny od *ruksolitynibu* i *fedratynibu* mechanizm działania i dzięki temu u części pacjentów poprawia parametry czerwonych krwinek.

Mometolitynib poza hamowaniem kinazy JAK hamuje również receptor aktywiny A typu I (ACVR1), co skutkuje obniżeniem stężenia hepcydyny i pobudzeniem erytropoezy – tworzenia krwinek czerwonych. W badaniu porównującym skuteczność *mometolitynibu* z *danazolem* (androgenem typowo stosowanym u chorych z mielofibrozą i niedokrwistością) *mometolitynib* okazał się istotnie skuteczniejszy pod względem odsetka pacjentów, którzy uniezależnili się od przetoczeń KKCz.

Aktualnie w badaniach klinicznych są leki na niedokrwistości u pacjentów z mielofibrozą: *luspatercept* (już z powodzeniem stosowany w niedokrwistości w przebiegu nowotworów mielo-dysplastycznych) i *erlittercept*.

JEDYNĄ TERAPIĄ, KTÓRA MOŻE WYLECZYĆ MIELOFIBROZĘ JEST ALLOTRANSPLANTACJA SZPIKU KOSTNEGO

Należy podkreślić, że nadal jedyną terapią leczącą mielofibrozę jest allotransplantacja komórek macierzystych szpiku. Oczywiście jest to bardzo trudna procedura i udowodniono, że powinno się na nią kierować pacjentów, którzy mają mielofibrozę w wyższych stadiach zaawansowania. Przy kwalifikacji pomaga nam jeszcze indeks prognostyczny, w którym bierzemy pod uwagę wiek, stan ogólny pacjenta, liczbę płytek krwi i leukocytów, rodzaj dawcy oraz rodzaj mutacji wiodącej. Na tej podstawie oceniamy ryzyko potransplantacyjne.

Dla chorych z niskim ryzykiem przewidywane przeżycie 5 lat po allotransplantacji dotyczy większości pacjentów i wynosi ok. 90%. Natomiast przy wyjściowo wysokim ryzyku tylko 1/3 pacjentów będzie żyła po 5 latach, a więc różnica jest bardzo znacząca.

Należy podkreślić, że w przypadku planowania transplantacji powinno się ją przeprowadzić w momencie dobrej odpowiedzi na stosowane leki (inhibitory kinazy JAK). Utrata odpowiedzi na leczenie farmakologiczne wiąże się z pogorszeniem stanu pacjenta i ryzyko niepowodzenia transplantacji jest wówczas większe.

BADANIA KLINICZNE W MIELOFIBROZIE

Aktualnie nie ma niestety leku, który trwale hamuje progresję mielofibrozy. Na szczęście toczy się wiele badań z nowymi częściami, wśród których – mamy ogromną nadzieję – znajdzie się taka, która odmieni historię tej choroby. Skuteczny lek powinien mieć zdolność zmniejszenia włóknienia szpiku, wywołania odpowiedzi hematologicznej i molekularnej i co najważniejsze wydłużenia czasu życia pacjentów.

Nam pozostaje wierzyć, że w najbliższych latach doczekamy się przełomowej terapii, a na razie zadowolimy się i optymalnie korzystać z tych opcji, które są dostępne.

CHŁONIAK Z KOMÓREK PŁASZCZA (MCL) – rzadki, agresywny chłoniak i nowa metoda leczenia chorych

Chłoniak z komórek płaszcza to diagnoza, która budzi lęk – choroba jest rzadka, postępuje szybko i często nawraca. Dla wielu starszych pacjentów dotąd oznaczała bardzo ograniczone możliwości leczenia. Teraz jednak pojawia się światło w tunelu – nowoczesna terapia celowana dająca nadzieję na dłuższe życie w lepszym zdrowiu – mówi prof. dr hab. n. med. Iwona Hus, kierownik Kliniki Hematologii Państwowego Instytutu Badawczego MSWiA w Warszawie.



Chłoniak z komórek płaszcza (ang. *mantle cell lymphoma*, MCL) należy do rzadkich nowotworów układu chłonnego – statystycznie występuje u jednej osoby na 25 tysięcy. W Polsce diagnozuje się go rocznie u około 250 pacjentów, najczęściej po 60. roku życia. Jest to choroba trudna: postępuje szybko, ma skłonność do nawrotów i mimo coraz lepszych terapii wciąż jest praktycznie nieuleczalna. Średni czas przeżycia od momentu diagnozy wynosi 3-5 lat. W przypadku choroby o nawrotowym charakterze, takiej jak MCL, której kolejne nawroty wiążą się z coraz krótszymi okresami remisji, **kluczowe**

znaczenie ma zastosowanie jak najskuteczniejszych metod terapii już w najwcześniejszych liniach leczenia. Takie podejście daje pacjentom szansę na dłuższe przeżycie.

OBJAWY

Najczęściej pierwszym sygnałem jest **niebolesne powiększenie węzłów chłonnych** – szyjnych, nad- i podobojczykowych, pachowych lub pachwinowych. Choroba może także obejmować węzły chłonne w jamie brzusznej, przewód pokarmowy, szpik kostny. **Jeśli zauważy się powiększenie węzłów**

chłonnych należy udać się do lekarza POZ, który stwierdzi czy są wskazania do diagnostyki. W przypadku podejrzenia chłoniaka **niezbędna jest chirurgiczna biopsja lub wycięcie całego węzła w specjalistycznym ośrodku**. Zwykła biopsja cienkoigłowa jest w tym przypadku niewystarczająca.

LECZENIE

Dla młodszych pacjentów obecnie standardem leczenia 1. linii jest immunochemioterapia i wysokodawkowana chemioterapia wspomagana autologicznym przeszczepieniem komórek krwiotwórczych – to leczenie najbardziej skuteczne, ale wymagające dobrej kondycji organizmu. Niestety większość chorych na MCL to osoby starsze, obciążone innymi schorzeniami – w ich przypadku intensywna terapia i przeszczepienie nie są możliwe. Dla nich standardem w leczeniu choroby jest zastosowanie mniej intensywnej immunochemioterapii. Wyzwanie polega na tym, że aż 40% pacjentów doświadcza nawrotu choroby w ciągu 2 lat od zakończenia terapii, a 1 na 4 chorych nie dożywa kolejnej linii leczenia. **To pokazuje, jak ogromna jest potrzeba nowych rozwiązań terapeutycznych.**

Chłoniak z komórek płaszczka to rzadka i agresywna choroba krwi, która w większości przypadków dotyka osób starszych i ma tendencję do nawrotów. Do tej pory możliwości leczenia tej grupy pacjentów były bardzo ograniczone, jednak dzięki innowacyjnej terapii celowanej z grupy inhibitorów BTK – pojawia się realna szansa na wydłużenie życia i dłuższy czas bez progresji choroby.

Przełom w leczeniu opornej/nawrotowej choroby przyniosły nowoczesne leki z grupy inhibitorów kinazy Brutona (BTK). Pierwszym lekiem był nieodwracalny inhibitor BTK pierwszej generacji (*ibrutynib*) zarejestrowany w monoterapii w leczeniu opornej/nawrotowej postaci MCL. U chorych po leczeniu inhibitorem BTK można zastosować immunoterapię CAR-T, choć nie

każdy chory może być do niej zakwalifikowany. Istniała zatem duża potrzeba nowych terapii, które mogły być zastosowane już od pierwszej linii w leczeniu chorych niekwalifikujących się do transplantacji autologicznej. W styczniu 2025 roku rejestrację EMA uzyskał schemat: akalbrutynib (odwracalny inhibitor BTK drugiej generacji), w połączeniu z immunochemioterapią BR w leczeniu 1. linii chorych, którzy nie kwalifikują się do transplantacji. To pierwsza od ponad dekady innowacyjna terapia przeznaczona dla starszych pacjentów, którzy ze względu na chorobę współistniejącą nie kwalifikują się do przeszczepienia komórek krwiotwórczych, a tym samym pierwszy inhibitor BTK zarejestrowany w leczeniu 1. linii w tej populacji chorych. W badaniu klinicznym ECHO, które objęło chorych z nowo rozpoznany MCL, wykazano, że dodanie innowacyjnej terapii celowanej do istniejącego schematu leczenia wydłuża czas wolny od progresji choroby o około 1,5 roku i zmniejsza ryzyko progresji o 27%, a po uwzględnieniu wpływu pandemii COVID-19 – nawet o 36%.

Należy podkreślić **korzystny profil bezpieczeństwa akalbrutynibu** – lek wiąże się z mniejszym ryzykiem powikłań sercowo-naczyniowych niż *ibrutynib*, co jest szczególnie ważne u osób starszych.

NOWA NADZIEJA, KTÓREJ JESZCZE BRAKUJE W POLSCE

Jest to obecnie **jedyny inhibitor BTK zarejestrowany do stosowania w pierwszej linii leczenia MCL u pacjentów, którzy nie kwalifikują się do przeszczepienia komórek krwiotwórczych**. Terapia ta została uwzględniona w najnowszych amerykańskich wytycznych NCCN, co potwierdza jej znaczenie kliniczne. W Polsce lek nie jest jeszcze refundowany. Oznacza to, że **chorzy wciąż czekają na możliwość leczenia zgodnie z najnowszymi światowymi standardami**. Refundacja otworzyłaby przed pacjentami realną szansę na dłuższe życie bez progresji choroby i poprawiłaby rokowania w grupie, która do tej pory miała szczególnie ograniczone opcje terapeutyczne.

Chłoniak z komórek płaszczka ang. mantle cell lymphoma, MCL

Ten rodzaj chłoniaka należy do rzadkich nowotworów układu chłonnego. Postępuje szybko, ma skłonność do nawrotów i wciąż jest praktycznie nieuleczalna.

NIE CZEKAJ – szybka diagnostyka zwiększa szanse na skuteczne leczenie



OBSERWUJ WĘZŁY CHŁONNE
jeśli są powiększone, zgłoś się do lekarza



DOMAGAJ SIĘ PEŁNEJ BIOPSJI
tylko pobranie całego węzła lub jego fragmentu pozwala postawić właściwą diagnozę



SZUKAJ OŚRODKÓW HEMATOLOGICZNYCH
leczenie MCL powinno odbywać się w wyspecjalizowanych placówkach.

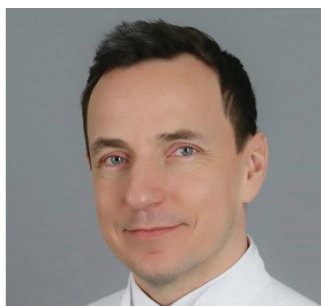


PYTAJ O NOWE TERAPIE
dostęp do nowoczesnych leków może znacząco wydłużyć czas bez progresji choroby

DLACZEGO BEZPIECZEŃSTWO KRWI JEST KLUCZOWE DLA PACJENTÓW HEMATOLOGICZNYCH?



Katarzyna Lisowska
Stowarzyszenie Hematoonkologiczni



prof. dr hab. n. med. Emilan Snarski
kierownik Klinicznego Oddziału
Hematologii w Szpitalu Uniwersyteckim
im. Karola Marcinkowskiego
w Zielonej Górze

BEZPIECZNA KREW – KLUCZ DO SKUTECZNEGO LECZENIA PACJENTÓW Z OBNIŻONĄ ODPORNOŚCIĄ

Otrzymanie diagnozy choroby nowotworowej przez Ciebie lub bliską osobę często przynosi nadzieję na skuteczne leczenie dzięki dostępności do ciągle optymalizowanych protokołów terapeutycznych z uwzględnieniem przełomowych terapii. Choć te zaawansowane metody mają ratować życie, mechanizmy stojące za ich skutecznością jednocześnie wprowadzają pacjentów w stan głębokiej immunosupresji*, zwiększając podatność na powikłania, zwłaszcza zakażenia, dlatego tak kluczowe znaczenie ma minimalizacja ryzyka powikłań.

Kampania „Bezpieczeństwo krwi, bezpieczeństwo pacjenta” prowadzona przez Stowarzyszenie Hematoonkologiczni koncentruje się na jednym z istotnych elementów ścieżki terapeutycznej – bezpieczeństwie przetoczeń. Choć w ciągu ostatnich pięciu dekad dokonał się znaczący postęp w zakresie bezpieczeństwa krwi, to w przypadku wyjątkowo wrażliwej grupy chorych z upośledzoną odpornością, jakimi są pacjenci hematoonkologiczni, nawet minimalne ryzyko może stanowić poważne zagrożenie, a pozornie niewielkie ryzyko może przełożyć się na poważne zagrożenie kliniczne.

PACJENCI SZCZEGÓLNIE NARAŻENI – SZEROKA POPULACJA

Co roku w Polsce tysiące pacjentów z ostrymi białaczkami oraz zespołami mielodysplastycznymi (MDS) poddawanych jest intensywnemu leczeniu. Choroby te i ich leczenie powodują istotną dysfunkcję układu odpornościowego.

Dla zobrazowania skali tego zjawiska: w 2023 r. pacjenci hematologiczni w Polsce otrzymali co najmniej 62 000 jedno-

stek składników krwi, z istotnym udziałem chorych z ostrymi białaczkami i zespołami mielodysplastycznymi oraz chorymi po przeszczepieniach szpiku. Pacjenci ci często wymagają transfuzji krwi i płytek (koncentratów krwinek czerwonych i koncentratów krwinek płytkowych) w celu opanowania głębokiej cytopenii – częstego następstwa stosowanych terapii. Przykładowo, u pacjenta z ostrą białaczką szpikową (AML) leczonego w schemacie indukcyjnym mediana zapotrzebowania na KKP wynosi 7 jednostek – często chorzy wymagają kilkudziesięciu przetoczeń w trakcie trwania jednej hospitalizacji.

KLINICZNE I EKONOMICZNE KONSEKWENCJE POWIKŁAŃ

Koszt zaawansowanych terapii, takich jak transplantacje, nowe generacje leków, czy terapie komórkowe CAR-T, jest ogromny dla budżetu państwa. Rzeczywiste wydatki mogą gwałtownie wzrosnąć, jeśli u pacjenta wystąpią powikłania, a zwłaszcza ciężkie zakażenia.

Wysokie koszty leczenia szpitalnego związane z opanowaniem takich działań niepożądanych – infekcji czy zespołu uwalniania cytokin (CRS) w przypadku CAR-T – potrafią podnieść łączny rachunek o dziesiątki tysięcy złotych.

Zagrażające życiu zakażenie nie tylko wydłuża hospitalizację, lecz także może zagrozić powodzeniu całego procesu terapeutycznego, którego całkowity koszt liczony jest w setkach tysięcy w złotych. Dodatkowo zakażenia mogą obniżyć skuteczność leczenia przez pogłębienie dysfunkcji komórek układu odpornościowego biorących udział w eliminacji komórek nowotworowych.

Mimo że ryzyko zakażenia przeniesionego drogą transfuzji (*transfusion-transmitted infection*, TTI) zostało istotnie zredukowane dzięki badaniom przesiewowym dawców, to u pacjentów z niemal całkowicie obniżoną odpornością, nawet infekcja o niewielkim nasileniu, może stanowić realne zagrożenie dla zdrowia i życia. Problemem pozostaje ryzyko rezydualne** i kumulatywne***, wynikające z wielokrotnych transfuzji u pacjentów szczególnie narażonych z omawianych grup ryzyka.

Szczególnie newralgiczne są transfuzje płytek krwi, które wymagają przechowywania w temperaturze pokojowej i są najbardziej narażone na kontaminację bakteryjną.

Skala działań zapobiegawczych różni się istotnie pomiędzy krajami i ośrodkami. W niektórych regionach, jak w przy-

padku wybranych centrów krwiodawstwa w Polsce, strategie ograniczania ryzyka mogą być minimalne lub wręcz nieobecne. W innych stosuje się podstawowy poziom badań przesiewowych w kierunku bakterii, jednak bez pogłębionej hodowli mogą one nie wykryć niskiego poziomu drobnoustrojów, które namnażają się w pojemniku ze składnikiem krwi już po wykonaniu testu, a przed transfuzją. Znacznie mniejsza liczba centrów krwiodawstwa wykorzystuje technologię inaktywacji patogenów (PIT), która skutecznie neutralizuje szerokie spektrum czynników zakaźnych, w tym bakterie, wirusy i pasożyty.

Ta różnorodność metod ograniczania zakażeń płytek krwi pokazuje, że choć ryzyko całkowite jest niskie, nie jest zerowe. U pacjenta z głęboko upośledzoną odpornością nawet niewielkie ryzyko resztkowe może stanowić zagrożenie życia.

Częsta konieczność transfuzji – wynikająca z działań niepożądanych leczenia podstawowego – wielokrotnie wystawia pacjenta na ryzyko, co wzmacnia potrzebę stosowania najwyższych standardów bezpieczeństwa w przygotowaniu składników krwi.

INAKTYWACJA PATOGENÓW JAKO NARZĘDZIE PREWENCJI

Technologie inaktywacji patogenów (PIT) mogą być rozwiązaniem dla zaistniałej sytuacji.

PIT to proces wykorzystujący specjalne światło i związki chemiczne do neutralizacji wirusów, bakterii i pasożytów, które mogą znajdować się w krwi od dawcy – bez konieczności wcześniejszej identyfikacji, co dodatkowo zwiększa bezpieczeństwo. Inaktywacja patogenów chroni przed tymi patogenami, które są nam znane jak i przed tymi, które nie są jeszcze wykrywane w standardowo przeprowadzanych testach.

Technologia ta jest już stosowana w ponad 40 krajach w odniesieniu do składników krwi, takich jak płytki krwi i osocze. Choć podobna metoda dla krwinek czerwonych nie jest jeszcze dostępna komercyjnie, jej opracowanie stanowi istotny cel dla środowiska pacjentów oraz badaczy.

Inwestowanie w bezpieczniejsze składniki krwi dzięki takim technologiom jak PIT pozwala chronić zarówno ogromne nakłady finansowe, jak i emocjonalne związane z przebiegiem terapii. PIT jest działaniem proaktywnym, które może pomóc w zapobieganiu zakażeniom przenoszonym drogą transfuzji (TTI), ograniczyć kosztowne niepowodzenia oraz ostatecznie zapewnić pacjentowi jak największe szanse na pomyślny wynik leczenia.

Kompleksowa analiza wszystkich dotychczasowych badań

dotyczących płytek krwi poddanych inaktywacji patogenów wykazała, że nie wszystkie technologie charakteryzują się porównywalną skutecznością ani częstością reakcji poprzetoczeniowych. Analiza ta podkreśla kluczową różnicę: płytki traktowane amotosalenem i promieniowaniem UVA wykazują skuteczność co najmniej równą, a często lepszą niż płytki niepoddane obróbce, podczas gdy płytki traktowane ryboflawiną i promieniowaniem UV wiążą się z wyższym ryzykiem krwawień. Wynik ten jednoznacznie wskazuje, że zastosowana technologia inaktywacji patogenów ma bezpośredni wpływ na wyniki kliniczne pacjentów, szczególnie w populacjach wrażliwych, takich jak chorzy hematoonkologiczni. Wybór odpowiedniej technologii PIT ma tu kluczowe znaczenie dla powodzenia efektu terapeutycznego/klinicznego.

Z punktu widzenia korzyści finansowych i organizacyjnych dla systemu ochrony zdrowia, jak również klinicznych dla pacjenta, zasadnym wydaje się wprowadzenie szerszego stosowania PIT w transfuzjologii, zwłaszcza dla chorych szczególnie narażonych.

JAKIE DZIAŁANIA NALEŻY PODJĄĆ

Kampania „**Bezpieczeństwo krwi, bezpieczeństwo pacjenta**” ma na celu podnoszenie świadomości oraz zachęcanie szpitali i ośrodków medycznych do priorytetowego stosowania możliwie najbezpieczniejszych składników krwi. Z perspektywy klinicznej kluczowe jest promowanie proaktywnego podejścia do bezpieczeństwa pacjenta. Aby zapewnić najwyższe standardy w polskiej medycynie transfuzjologicznej, warto rozważyć:

- wprowadzenie szerszego stosowania PIT w transfuzjologii, zwłaszcza dla **pacjentów szczególnie narażonych**,
- edukację personelu medycznego w zakresie ryzyka rezidualnego TTI,
- uwzględnianie kosztów i ryzyka powikłań poprzetoczeniowych w analizach farmakoekonomicznych terapii CAR-T oraz innych zaawansowanych metod leczenia w hematologii,
- zwiększenie świadomości decydentów, płatników, liderów organizacji pacjentów w zakresie korzyści wynikających z podniesienia standardów bezpieczeństwa krwi.

Współpraca pacjentów, rodzin oraz personelu medycznego pozwoli zagwarantować, że obietnica tych przełomowych terapii nie zostanie zagrożona przez działania niepożądane i możliwe do uniknięcia ryzyka z nimi związane.

DEFINICJE:

* **Immunosupresja** to stan charakteryzujący się obniżeniem lub zahamowaniem aktywności układu odpornościowego.

** **Ryzyko rezidualne** – pozostałe (resztkowe) ryzyko zakażenia przenieszonego drogą transfuzji po wdrożeniu procedur ograniczających ryzyko, np. po zastosowaniu testów o określonej czułości, ocenie ryzykownych zachowań dawców oraz dezynfekcji skóry przed oddaniem krwi.

*** **Ryzyko kumulatywne** – ryzyko łączące zakażenia przenieszonego drogą transfuzji w określonej sytuacji, np. na danym obszarze, przy krążeniu konkretnych patogenów i przy wdrożonych określonych środkach ograniczających to ryzyko.

ŻYCIE PO LARYNGEKTOMII – NOWY GŁOS, TA SAMA PASJA DO ŻYCIA

Laryngektomia to chirurgiczny zabieg, którego nazwę trudno wymówić i zapamiętać. To operacja, w której usuwa się krtani – narząd odpowiedzialny za głos i oddychanie. Dla wielu pacjentów diagnoza raka krtani brzmi jak wyrok, bo choroba odbiera nie tylko zdrowie, lecz także część tożsamości: głos, sposób komunikowania się. A jednak, jak pokazuje historia pana Marka Gaika, wiceprezesa Koalicji Polska Laryngektomia po tak radykalnej operacji można dalej żyć – być z bliskimi, cieszyć się pasjami, dzielić się doświadczeniem z innymi. To opowieść o trudnościach, ale też o sile, pogodzie ducha i o tym, że życie nie kończy się na chorobie.



■ Panie Marku, jak wyglądało Pana życie, zanim pojawiła się choroba?

Było zwyczajne, ale pełne pracy i odpowiedzialności. Od młodości byłem w ruchu – najpierw wojsko, potem kopalnia na Śląsku. To była ciężka praca pod ziemią: ciemność, hałas, ryzyko, ale też szkoła charakteru. Później zmieniłem branżę – przez lata pracowałem jako kontroler jakości, a w końcu zostałem spawaczem na gazociągu jamalskim. Dzięki temu wyjechałem za granicę. Tam praca też nie była lekka – prędkość, wysokie wymagania, duża odpowiedzialność. Można powiedzieć, że całe moje życie zawodowe było próbą siły i wytrzymałości – fizycznej i psychicznej. A po pracy? Normalne życie: rodzina, pasje, spotkania ze znajomymi. Czułem, że jestem w swoim rytmie.

■ A kiedy ten rytm został przerwany? Pamięta Pan pierwszy moment, który wzbudził niepokój?

Tak. To zaczęło się jeszcze wtedy, gdy pracowałem za granicą. Ciężkie zmiany, spawanie, hałas, kurz – człowiek był zmęczony, więc gdy pojawiła się chrypka, myślałem: *Przeziębienie, przemęczenie, samo przejdzie*. Każdy z nas tak mówi. Ale mijały tygodnie, potem miesiące, a głos wciąż nie wracał do dawnej barwy. Zaczynał być coraz słabszy, jakby nie mój. Pamiętam powrót do kraju – to był moment, kiedy poczułem, że sprawa jest poważna. Wraca się do swojego domu, do znajomych miejsc i nagle okazuje się, że głos, który towarzyszył ci przez całe życie, brzmi obco. Wtedy dotarło do mnie, że to nie drobiazg, tylko sygnał, że w organizmie dzieje się coś naprawdę złego.

■ Jakie emocje towarzyszyły diagnozie raka krtani?

Oczywiście, że pojawił się strach. Kiedy słyszysz słowo „rak”, to pierwsza myśl jest taka, że coś się kończy – zdrowie, normalne życie, to, co znane. Ale zaraz obok tego lęku była

też determinacja. Pomyślałem: *Trzeba działać, nie ma na co czekać*. Może to przez doświadczenia z chorobą mojej żony – już wtedy wiedziałem, że w onkologii liczy się czas i że zwlekanie tylko odbiera szanse. Miałem też w sobie taką wewnętrzną wiarę, że warto walczyć. Nie chodzi o naiwne zaklinanie rzeczywistości, tylko o świadome powiedzenie sobie: *Jest sens, jest przyszłość, mogę jeszcze żyć normalnie*. Wiedziałem, że operacja to nie koniec świata, tylko początek nowego rozdziału. Taka myśl dawała mi siłę – bo jak człowiek wierzy, że ma po co żyć, to nawet najtrudniejsze wiadomości przyjmuje inaczej.

■ Kiedy usłyszał Pan od lekarza, że konieczna jest laryngektomia, co Pan poczuł?

To był wstrząs. Na początku nawet nie wiedziałem, czym dokładnie jest ta laryngektomia. Samo słowo brzmiało obco, jak wyrok z podręcznika medycyny. Trafiłem jednak na profesora, który tłumaczył mi wszystko spokojnie, krok po kroku. Wyjaśnił mi na czym polega operacja, co będę czuł po zabiegu, jak będę oddychał, mówił, jak wygląda rehabilitacja. To było dla mnie bardzo ważne – że ktoś nie tylko postawił diagnozę, ale wziął mnie za rękę i przeprowadził przez ten strach. Oczywiście w środku był lęk – bo to nie jest zwykła operacja. To decyzja, że od jutra człowiek nie mówi tak jak wcześniej i oddycha inaczej. Ale w tym lęku rodziła się też jasność: *Chcę żyć*. Dlatego zgodziłem się bez wahania. Powiedziałem sobie: *To będzie nowy rozdział – inny niż wszystkie dotąd, ale rozdział, który muszę napisać*. I ta świadomość – że to nadal jest życie, że warto – dawała mi siłę.

■ Kiedy po operacji pojawiła się kwestia protezy? Kiedy mógł Pan znowu mówić?

U mnie nie stało się to od razu. Musiałem poczekać, aż rana się zagoi, żeby można mi było bezpiecznie wszczepić protezę. Tak więc, w moim przypadku trochę to trwało. I dopiero wtedy, gdy

usłyszałem swój głos – inny niż dawniej, ale mój – poczułem ulgę. To było ogromne doświadczenie – wrócić do rozmowy, do zwyczajnych słów, do kontaktu z ludźmi.

Większość osób laryngektomowanych ma wszczepianą protezę już w trakcie operacji. Ale zdarza się – jak u mnie – że na protezę trzeba poczekać. Ważne jest jednak, żeby o całej procedurze, konsekwencjach i możliwościach jak najwięcej rozmawiać z lekarzem jeszcze przed operacją. Zadawać pytania, rozwiewać wątpliwości – bo to daje poczucie bezpieczeństwa i pomaga lepiej przygotować się na to, co czeka po zabiegu.

Ogromną rolę w tym procesie odgrywa logopeda. To on uczy pacjenta, jak korzystać z protezy, jak wydobywać głos, jak oddychać i mówić jednocześnie. Pierwsze słowa to dopiero początek – prawdziwa komunikacja wymaga ćwiczeń, cierpliwości i wsparcia specjalisty. Idealnie byłoby, gdyby logopeda towarzyszył pacjentowi od pierwszych dni po operacji, bo wtedy rehabilitacja głosu daje najlepsze efekty. Niestety, w wielu placówkach logopedów brakuje – i pacjenci zostają sami w momencie, w którym najbardziej potrzebują fachowej pomocy.

■ A dziś, po latach, co sprawia, że życie ma dla Pana smak?

Pasje. Najbardziej wędkarstwo – kiedy siedzę nad wodą, czuję spokój i radość, których wcześniej nie doceniałem. Cisza, szum fal, słońce odbijające się w tafli – to są chwile, które naprawdę smakują. Ale nie tylko natura. Ogromną wartością są dla mnie ludzie – rozmowy, spotkania, wspólne działanie. Nauczyłem się, że największa siła płynie z relacji, z obecności bliskich, z tego, że ktoś cię wysłucha albo po prostu jest obok. Dziś życie ma dla mnie zupełnie inny wymiar – bardziej świadomy. Cieszę się drobiazgami, doceniam to, że mogę wyjść z domu, pośmiać się z przyjaciółmi, podzielić się doświadczeniem. Dawniej brałem to za oczywiste, dziś wiem, że to prawdziwe skarby codzienności.

■ Patrząc z perspektywy czasu – co sprawiło, że udało się Panu wrócić do codziennego życia, do pasji i spotkań z ludźmi?

Najważniejsze było dobre leczenie i rehabilitacja – dzięki nim mogłem znów oddychać spokojnie, mówić i odnaleźć swój rytm. Ogromną siłę dawały też rozmowy z innymi pacjentami, którzy przeszli przez to samo oraz rodzina. Dlatego tak ważny jest dostęp do holistycznej opieki: lekarza prowadzącego, logopedy od pierwszych dni po operacji, psychologa wspierającego pacjenta i rodzinę, pielęgniarek laryngologicznych uczących codziennej pielęgnacji stomy, a także rehabilitantów pomagających odzyskać sprawność całego ciała. To zespół, bez którego trudno mówić o prawdziwym powrocie do życia. Opieka po laryngektomii to proces ciągły – od diagnozy, przez kolejne kontrole i wymiany protezy głosowej, aż po codzienne funkcjonowanie. To nie luksus, ale warunek jakości życia. Ogromną rolę pełni tu Koalicja Polska Laryngektomia – wspólnota pacjentów, która wspiera osoby po laryngektomii, dzieli

się z nimi wiedzą i działą, aby każdy pacjent po tej operacji w Polsce miał dostęp do tak kompleksowej opieki.

Opieka po laryngektomii to proces ciągły – od diagnozy, przez kolejne kontrole i wymiany protezy głosowej, aż po codzienne funkcjonowanie. Sprzęt medyczny – proteza głosowa, filtry, rurki, akcesoria do pielęgnacji stomy – towarzyszy pacjentowi już na zawsze. To element codzienności, który umożliwia oddychanie, mówienie, normalne funkcjonowanie. Dzięki niemu można pracować, spotykać się z ludźmi, żyć aktywnie. Dla wielu z nas ten sprzęt to nie symbol choroby, lecz narzędzie, które pozwala żyć dalej – pełniej i z godnością.

■ Angażuje się Pan też w działania społeczne. Dlaczego?

Ponieważ chcę pokazać innym, że da się żyć normalnie, że po laryngektomii człowiek nadal może być sobą, tylko trochę w innej wersji. Dla mnie to ważne – podać rękę tym, którzy dopiero stoją przed operacją i czują strach.

Dlatego współpracuję z Akademią Śląską, gdzie razem z logopedką Barbarą Gromek-Zabawską pokazujemy studentom, jak wygląda życie po laryngektomii. Oni uczą się od nas praktyki, a ja mam satysfakcję, że mogę swoją historią pomóc innym – nie tylko pacjentom, ale i przyszłym specjalistom. W jednej z prezentacji Barbary nawet demonstrowałem, jak działa proteza głosowa i jak można się komunikować po operacji.

Jestem też aktywnym członkiem **Koalicji Polska Laryngektomia**. To wspólnota pacjentów, rodzin i ekspertów, która walczy o to, żeby nikt po takiej operacji nie czuł się sam. Dzięki Koalicji mogę działać razem z innymi, zabierać głos w sprawach systemowych, wspierać nowych pacjentów i ich bliskich. Daje mi to poczucie sensu – że moja choroba nie jest tylko osobistą historią, ale może służyć innym.

■ Co chciałby Pan przekazać osobom, które dziś dopiero czekają na laryngektomię?

Na pewno, że nie wolno się poddawać. Choroba to trudny etap, ale nie koniec. Trzeba wierzyć, że życie się nie zatrzymuje – że nadal można kochać, być z bliskimi, mieć pasje. Głos może brzmieć inaczej, ale człowiek nadal ma serce i wolę życia.

Chciałbym powiedzieć, że po tej operacji świat wcale się nie kończy – on zmienia barwy. To, co wcześniej wydawało się oczywiste, nagle zaczyna cieszyć bardziej: rozmowa z przyjacielem, uśmiech partnerki, zapach wiosny, chwila nad wodą z wędką. Człowiek odkrywa życie na nowo, w innym rytmie, ale nadal pełne sensu.

I warto pamiętać – nie jest się samemu. Są lekarze, logopedzi, psychologowie, organizacje pacjentów, a także inni ludzie po laryngektomii, którzy wiedzą, co to znaczy, i zawsze podadzą rękę. To daje siłę, by przejść przez strach i zobaczyć, że po chorobie można żyć zwyczajnie, a czasem nawet piękniej niż wcześniej.

Bardzo dziękuję za tę rozmowę

PODSKÓRNE DROGI PODAWANIA LEKÓW W ONKOLOGII – korzyści dla pacjenta i dla systemu

Dr hab. n. med. Jarosław Woroń z Oddziału Klinicznego Anestezjologii i Intensywnej Terapii Szpitala Uniwersyteckiego w Krakowie, przedstawia specyfikę i zalety podskórnej drogi podawania leków, która zmienia jakość życia pacjentów z chorobami nowotworowymi, umożliwiając im leczenie w warunkach pozaszpitalnych.



LEKI PODSKÓRNE A PERSONALIZACJA LECZENIA

Leki stosowane w onkologii oraz ich sposób podania to temat niezwykle ciekawy i na czasie. Daje ogromną nadzieję, że pacjent będzie mógł być leczony w sposób zindywidualizowany i spersonalizowany. A personalizacja to nie tylko genetyka – to także odniesienie się do wszystkich cech pacjenta, które mają istotne znaczenie dla farmakoterapii. Pacjenci przynoszą ze sobą całą swoją historię medyczną, ponieważ oprócz chorób nowotworowych, na których się skupiamy, nierzadko występują choroby współistniejące. Chorobowość, która jest jednym z najbardziej istotnych czynników modulujących stosunek korzyści do ryzyka stosowanych leków nie dotyczy jedynie substancji czynnych, ale także dróg podania.

PODSKÓRNE PODANIE LEKÓW A WYNIK LECZNIA

Wiemy o tym, że brak możliwości wielokierunkowego stosowania leków niestety rodzi błędy. Dzieje się tak z powodu zaawansowania choroby nowotworowej, innych chorób pacjenta, współwystępującego procesu wyniszczenia oraz innych czynników, które przestają być możliwe do modyfikacji.

Podskórne podanie leku jest jedną z dróg, która zawiera w sobie niezwykle istotne elementy skuteczności, bezpieczeństwa i przede wszystkim możliwości ominięcia pewnych istotnych z praktycznego punktu widzenia czynników, mogących wpłynąć na końcowy wynik leczenia.

Ważny jest końcowy wynik, ponieważ każdy liczy na to, że będzie wyleczony. Dlatego oczekuje, że jego leczenie będzie związane z ogromną eskalacją skuteczności i deeskalacją

działań niepożądanych. Stąd jest to tak istotne, że mamy możliwość podania leków podskórnie.

DLACZEGO WARTO PODAĆ LEKI PRZEZ SKÓRĘ

Skóra jest jednym z bardziej skomplikowanych kompartmentów. **Kompartament** to hipotetyczna przestrzeń, niekoniecznie zgodna z barierami anatomicznymi w organizmie, w której badana substancja jest równomiernie rozmieszczona i osiąga identyczne stężenie w danym momencie.

Przez skórę zachodzi nie tylko proces wchłaniania, ale też retencji – zatrzymania leku, który później trafi do dystrybucji w układzie krążenia i dotrze tam, gdzie jest potrzebny. W skórze zachodzi też metabolizm leków oraz ich wydalanie.

Skóra to niezwykle ciekawy narząd, któremu nie poświęcamy zbyt dużo czasu i uwagi, a warto – podskórnie możemy stosować wodne roztwory izoosmotyczne, zawiesiny w objętości nie większej niż 2 mililitry, które podawane są wprost do tkanki łącznej bogatej w naczynia chłonne i krwionośne.

Wiele leków stosowanych w onkologii ma charakter **lipofilny**, czyli dużą predylekcję do tłuszczu. Leki mają też preferencję do podawania i dystrybuowania nie tylko krążeniem ogólnym, ale też drogami, które są związane i kompatybilne z ich profilem farmakokinetycznym i dynamicznym. Typowym przykładem są chociażby naczynia chłonne.

Skóra jest elementem niezwykle ciekawych zdarzeń, które promują wchłanianie leków i umożliwiają dokładne uzyskanie w docelowych kompartmentach takich stężeń i takiej skuteczności leku, która będzie adekwatna do oczekiwań tera-

apeutycznych. Dlatego skóra spełnia wszystkie kryteria niezbędne do skutecznego i bezpiecznego leczenia pacjenta. Czynnikiem, który pozwala na osiągnięcie równie wysokich, skutecznych i efektywnych wartości stężeń terapeutycznych jest przede wszystkim **hemodynamika skóry**, a inaczej mówiąc – dynamika przepływu krwi w skórze. To ukrwienie umożliwia szybkie wchłanianie substancji, co jest niezwykle istotne w kontekście leków, których efekt zależy od czasu, w jakim osiągnięte zostanie maksymalne stężenie, czyli stężenie terapeutyczne. Wszelkiego rodzaju opóźnienia w osiągnięciu tego nazywamy czasem retencji. W przypadku podania podskórnego czas ten jest niezwykle krótki.

KORZYŚCI Z PODSKÓRNEGO PODANIA LEKU DLA JAKOŚCI ŻYCIA PACJENTA

Inną istotną zaletą takiej drogi podania jest **zmniejszenie konieczności hospitalizacji**, ponieważ pacjent często jest w stanie sam sobie podać lek drogą podskórną. Niezbędna jest oczywiście odpowiednia edukacja w tym zakresie. Jeden pacjent może mieć np. większą objętość tkanki tłuszczowej, a inny, wyniszczony procesem chorobowym, może tej tkanki zupełnie nie mieć. Dla obu tych pacjentów jesteśmy w stanie dobrać optymalną drogę. A droga podskórna jest tylko i wyłącznie związana z koniecznością zachowania pewnego podstawowego reżimu dawkowania, w rozumieniu techniki podawania. Jest to niezwykle proste dla pacjenta. Optymalna droga podania musi być skorelowana z pacjentem.

ZMNIEJSZENIE DZIAŁAŃ NIEPOŻĄDANYCH LEKU PODAWANEGO PODSKÓRNI

Lek jest skuteczny, kiedy otrzymujący go pacjent będzie w stanie spełnić kryteria dawkowania oraz poprawności drogi, która będzie dawała możliwość osiągania stężeń terapeutycznych i sukcesu terapeutycznego. Sukces terapeutyczny to stosunek korzyści do ryzyka, więc pamiętajmy, że droga podskórna także zmniejsza prawdopodobieństwo wystąpienia niektórych działań niepożądanych.

To z kolei w bardzo istotny sposób wpływa na adherencję, czyli przystawalność do terapii. Im bardziej przyjazna jest dla pacjenta droga podania, tym mniej negatywnych skutków terapii zauważa. Choroba nowotworowa zabiera pacjentowi jakość życia w wielu sytuacjach, a działanie niepożądane leków onkologicznych, które często są dodatkowo podane nieprawidłową drogą, mogą również sumować ten efekt.

Dzisiaj jesteśmy w stanie zaproponować każdemu pacjentowi taką drogę i sposób podania, który będzie przede wszystkim jak najbardziej optymalny i będzie skutkować najlepszymi wy-

nikami terapeutycznymi. Istnieje też możliwość dostosowywania pewnych rodzajów struktur chemicznych, aby umożliwić optymalne rozpuszczenie. Pozwala to na wyeliminowanie efektu drażniącego tkanki oraz możliwość zindywidualizowania czasu dotarcia leku do miejsca docelowego.

POŁĄCZENIE WYSOKIEJ SKUTECZNOŚCI I OPTYMALNEGO PODANIA

Ta niewielka objętość i wszystko co wokół niej się dzieje – czyli hemodynamika, obecność naczyń chłonnych i wszystkiego niezbędnego do dystrybucji leków jest czynnikiem warunkującym nie tylko skuteczność, ale też coraz szerszą możliwość wykorzystywania podskórnej drogi podania leku. Nie tylko w onkologii, chociaż to w niej właśnie przede wszystkim, leki biologiczne są coraz szerszą grupą wykorzystywaną na oddziałach onkologicznych.

Droga podskórna jest swoistego rodzaju mostem, który łączy możliwości uzyskania wysokiej skuteczności i optymalnego podania. Optymalne podanie to minimalizacja ryzyka wystąpienia działań niepożądanych i wszystkiego, co może się z tym wiązać. Stwarza też opcję do leczenia w warunkach domowych, co jest kluczowe u pacjenta z chorobą nowotworową.

W przypadku pacjentów onkologicznych i hematologicznych powinniśmy jak najbardziej ograniczyć ich kontakt ze wszystkimi czynnikami szpitalnymi, które mogłyby stać się przyczyną wystąpienia powikłań. Jednym z większych zagrożeń hospitalizacyjnych są wielolekooporne szczepy bakterii. Dla pacjentów, którzy bardzo często są w immunosupresji, czyli tych o obniżonej odporności, lub tych, którzy mają już powikłania narządowe, jest to bardzo niebezpieczne.

PODSKÓRNE PODANIE LEKÓW PRZECIWBÓLOWYCH

Jeśli porównamy charakterystykę podania dożylnego i podskórnego to parametry, które mogą być osiągnięte dla wielu leków są bardzo zbliżone. Zatem przy praktycznie niezmiennym skuteczności uzyskujemy możliwość bardziej przyjaznego dla pacjenta podania oraz szansę na zastosowanie tego leczenia w warunkach pozaszpitalnych. Należy także pamiętać o tym, że dzisiaj leczenie onkologiczne nie zawsze jest skuteczne, ponieważ część pacjentów będzie niestety musiała się mierzyć z objawami rozsianej choroby nowotworowej.

Wśród objawów rozsianej choroby niezwykle często występuje ból. Ból nie jest tylko konsekwencją chorowania – dlatego nie mówimy o bólu nowotworowym, tylko o bólu chorego na nowotwór. Również w takich przypadkach podskórne podawanie leków, przede wszystkim analgetyków opioidowych,

daje szansę na niezwykle istotną opiekę domową. Opiekę, która będzie mniej angażować system opieki zdrowotnej, a bardziej kierować pacjenta do jego naturalnego miejsca pobytu, jakim jest dom.

W przypadku podania podskórnego zmniejsza się też częstość iniekcji oraz możliwe jest utrzymanie stałego stężenia leku w surowicy, a stałe stężenie leku w surowicy to również niezwykle istotny element braku obawy przed cierpieniem.

W przypadku farmakoterapii, szczególnie u pacjenta u kresu życia, mogą pojawiać się obrzęki czy dodatkowe przestrzenie płynowe związane z dysalbuminemią. **Dysalbuminemia** to dziedziczna, genetycznie uwarunkowana zmiana w strukturze albuminy, która prowadzi do jej zwiększonego powinowactwa do hormonów tarczycy, zwłaszcza tyroksyny [T4]. Objawy te mogą też być związane z chorobami współistniejącymi. Może to utrudniać wykorzystanie drogi podskórnej. Musimy być więc przygotowani, że niewielka część pacjentów, z powodu tej retencji płynów, będzie wykluczona z opcji ta-

kiego podawania leków. Szczególnie ważne jest to w kwestii analgetyków, bo byłyby one „utopione” w tym obrzęku i efekt nie będzie tak spektakularny, jak przy podaniu innymi drogami.

PODSUMOWANIE

Podskórna droga podania leków będzie się rozwijać. To jest to, co daje dzisiaj nowe horyzonty leczenia nie tylko w hospitalizacji, ale także w warunkach domowych. Zrozumienie tych mechanizmów daje przede wszystkim możliwość przekonania pacjenta, że zmieniając drogę, możemy paradoksalnie poprawić skuteczność i zmniejszyć ryzyko wystąpienia działań niepożądanych.

Dlatego warto pamiętać, że podanie leków dzisiaj niejedno ma imię. Chcemy, aby farmakoterapia była prawidłowo dobrana i aby była ona oczywiście farmakoterapią kontekstową – czyli kontekst nie tylko choroby, ale też pacjenta wraz z jego uwarunkowaniami zdrowotnymi i oczekiwaniami.

Pamiętajmy, że pacjent ma prawo mieć swoje oczekiwania, a lekarze mogą na podstawie dostępnych produktów leczniczych coraz częściej te oczekiwania spełniać.

EUROPEJSKI KODEKS OPIEKI ONKOLOGICZNEJ

Prawo 4. Specjalistyczna Opieka Wielodyscyplinarna

Przedstawiamy wyniki ankiet przeprowadzonych wśród ekspertów medycznych i pacjentów dotyczące 4. prawa EKOO, które daje pacjentowi prawo do SPECJALISTYCZNEJ OPIEKI WIELODYSCIPLINARNEJ, a także komentarze: prof. dra hab. n. med. Rodryga Ramlaua, prezesa Polskiej Grupy Raka Płuca i dyrektor Joanny Konarzewskiej-Król z Fundacji Onkologicznej Nadzieja.

4. SPECJALISTYCZNA OPIEKA WIELODYSCIPLINARNA: Masz prawo do opieki sprawowanej przez wyspecjalizowany wielodyscyplinarny zespół, najlepiej w ramach współpracujących ze sobą ośrodków onkologicznych.

- Czy postępowanie w moim przypadku omówi **zespół wielodyscyplinarny**?
- Czy moje poglądy i preferencje będą jasno i terminowo **przekazywane temu zespołowi**?
- Czy mój ośrodek jest częścią **współpracującej sieci onkologicznej**?

WYNIKI ANKIETY WDRAŻALNOŚCI EUROPEJSKIEGO KODEKSU OPIEKI ONKOLOGICZNEJ PRZEPROWADZONEJ WŚRÓD EKSPERTÓW DOTYCZĄCE 4. PUNKTU – SPECJALISTYCZNA OPIEKA WIELODYSCIPLINARNA

W ankiecie przeprowadzonej przez Polską Ligę Walki z Rakiem udział wzięło 222 respondentów, członków medycznych towarzystw. Uczestnicy ankiety oceniając to prawo w skali od 1 do 5 uznali je za **drugie z najtrudniejszych do wdrożenia**.

Średnia ocen wyniosła 2,97 i była to druga najniższa ocena spośród 10 praw, po ocenionych równorzędnie jako najtrudniejsze (ocena 2,93) prawie 1. (równy dostęp do możliwie najlepszej opieki onkologicznej) i prawie 9. dotyczącym uzyskania przejrzystego, dobrze zorganizowanego i możliwego do realizacji prawa wychodzenia z choroby i rehabilitacji oraz omówienia go w swoim zespole medycznym.

Co ciekawe, 25 z spośród ankietowanych osób (11,3%) uznało to prawo za bardzo trudne do wdrożenia i jednocześnie taka sama liczba osób, taki sam procent respondentów za bardzo łatwe do wprowadzenia. Zbliżone były liczby osób oceniających 4. prawo EKKO jako trudne – 58 (26,1%) i średnio trudne do wdrożenia – 63 (28,4%). Blisko ¼ ankietowanych – 51 (23,1%) uznało 4. Prawo EKKO za łatwe do wprowadzenia.

Eksperci biorący udział w ankiecie uznali realizację tego prawa za najtrudniejsze wyzwanie organizacyjne.

Respondenci podzielili się też swoimi refleksjami na temat wdrażalności 4. prawa dotyczącego specjalistycznej opieki wielodyscyplinarnej:

- *Współpraca pomiędzy ośrodkami jest mocno ograniczona przez brak odpowiednich narzędzi komunikacyjnych, przede wszystkim połączonych systemów informatycznych.*
- *Brak czasu i ludzi do oddelegowania do takiej współpracy.*
- *Nie ma żadnej współpracy między ośrodkami onkologicznymi, w mojej opinii jest jedynie rywalizacja, co działa na szkodę pacjenta.*
- *Współpraca ośrodków – skomplikowane, zespoły interdyscyplinarne – częściowo są, ale najczęściej niewystarczające (np. jeden psycholog na oddział, brak fizjoterapeutów, dietetyków).*
- *Są ośrodki, które potrafią dobrze ze sobą współpracować merytorycznie, opieka onkologiczna jest skojarzona i ma prawidłowy „timing”, ale nie wszędzie – procentowo około 60% placówek ma to ustalone, w aspekcie dobrego timingu leczenia skojarzonego – już nieco gorzej około 30-40%.*
- *W niektórych ośrodkach Oddziały Onkologii tego samego szpitala są w innym rejonie miasta i kontakt z zespołem wielodyscyplinarnym może odbyć się tylko zdalnie o umówionej porze, więc nie w razie potrzeby. Pacjent ma nieraz kontakt tylko z onkologiem, który przekazuje decyzje zespołu, nie ma bezpośredniego kontaktu z członkami zespołu, nie może zadać pytań innym lekarzom, bo lekarzem prowadzącym jest onkolog i inni lekarze wydają tylko opinie. Poza prowadzącym onkologiem inni lekarze nie poczuwają się do współodpowiedzialności za pacjenta.*

WYNIKI ANKIETY NA TEMAT EUROPEJSKIEGO KODEKSU OPIEKI ONKOLOGICZNEJ PRZEPROWADZONEJ WŚRÓD PACJENTÓW, DOTYCZĄCE 4. PUNKTU – SPECJALISTYCZNA OPIEKA WIELODYSCIPLINARNA

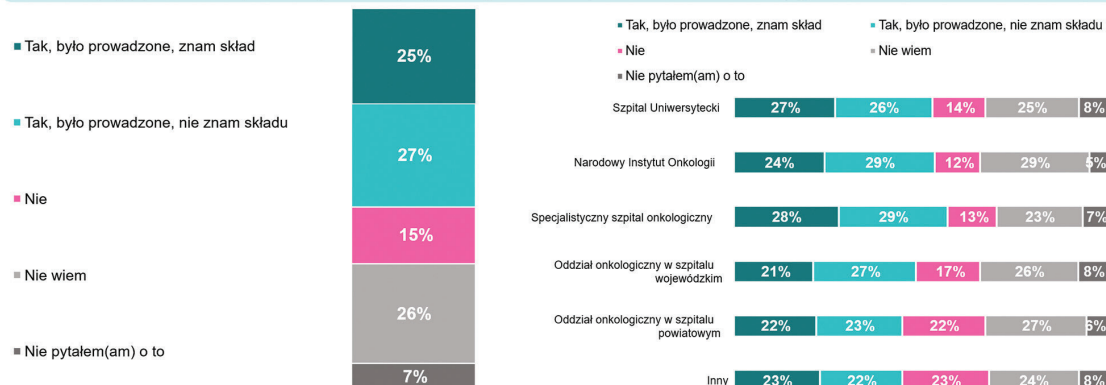
Nieco ponad połowa badanych pacjentów (52%) zadeklarowała, że ich diagnostyka i leczenie były prowadzone przez zespół wielodyscyplinarny, a 25% z nich znało skład tego zespołu.

Ponad połowa ankietowanych (58%) nie wie czy szpital, w którym się leczą/leczyli, należy do sieci współpracujących placówek. Z kolei 29% badanych stwierdziło, że leczą/leczyli się w szpitalu, który jest częścią takiej sieci.

Udział zespołu wielodyscyplinarnego w diagnostyce i leczeniu oraz świadomość jego składu

Czy Pana/Pani diagnostyka i leczenie są/ były prowadzone przez zespół wielodyscyplinarny i wie Pan/Pani kto wchodził/wchodził w jego skład?

Kobiety, u których rozpoznano raka piersi (30%), badani, u których rozpoznano chorobę między 2020 a 2024 rokiem (27%) oraz respondenci, którzy leczą/leczyli się w specjalistycznym szpitalu onkologicznym (28%), częściej stwierdzali, że ich diagnostyka i leczenie są/były prowadzone przez zespół wielodyscyplinarny oraz wiedzą kto wchodził/wchodzi w jego skład.



N=2380

29

opinia24

Przynależność szpitala do sieci współpracujących placówek medycznych

Czy szpital w którym Pan/Pani się leczą/leczyli/a należy do sieci współpracujących szpitali?

Respondenci, którzy leczą/leczyli się w Narodowym Instytucie Onkologii (34%) częściej stwierdzali, że ich szpital należy do sieci współpracujących szpitali.



N=2380

30

opinia24



prof. dr hab. n. med.
Rodryg Ramlau
prezes Polskiej Grupy Raka
Płuca

ROLA ZESPOŁÓW WIELODYSCIPLINARNYCH

Leczenie chorych na raka płuca powinno być zaplanowane przez zespół wielospecjalistyczny (torakochirurg, specjalista

radioterapii, onkolog kliniczny, pneumonolog, radiodiolog, patomorfolog, diagnosta laboratoryjny z kompetencjami z zakresu genetyki lub biolog molekularny) i prowadzone w ośrodkach mających dostęp do obowiązujących współcześnie metod diagnostyki, leczenia chirurgicznego, radioterapii i leczenia systemowego.

Ośrodki takie powinny mieć odpowiednie doświadczenie i możliwości prowadzenia leczenia skojarzonego oraz odpowiedniego postępowania w przypadkach wystąpienia, często nieuniknionych powikłań.

Współpraca interdyscyplinarna szerokiego grona ekspertów pozwala szybko i co najważniejsze, precyzyjnie rozpoznać

nowotwór płuca i zagwarantować prawidłowe postępowanie z pobranym od pacjenta materiałem histologicznym i cytologicznym, a następnie wdrożyć spersonalizowane leczenie.

W wyniku wielodyscyplinarnego konsylium planowane decyzje terapeutyczne zmieniono prawie u co drugiego chorego.

Współczesne rozwiązania technologiczne i powszechnie dostępne narzędzia komunikacji umożliwiają integrowanie ekspertów z różnych ośrodków i będących jednocześnie nawet w odległych lokalizacjach. Decyzje o zmianach planów terapeutycznych (dzięki udziałowi w naradzie zespołu wielodyscyplinarnego) najczęściej dotyczyły lekarzy nie będących onkologami klinicznymi oraz z praktyką krótszą niż 15 lat.

Gwarantem sprawnego postępowania diagnostyczno-terapeutycznego jest stworzenie warunków do sprawnej komunikacji i przepływu informacji pomiędzy specjalistami oraz koordynatorem pacjenta, biorąc pod uwagę rosnącą liczbę chorych oraz ograniczenia kadrowe.

Kluczowym elementem wielodyscyplinarnej opieki powinno być też konsylium z udziałem pacjenta, na którym zostanie on poinformowany o zaplanowanej dla niego ścieżce diagnostyki i leczenia. Zaakceptowanie i zrozumienie przez pacjenta tej ścieżki jest konieczne dla przebiegu leczenia, dla partnerskiej współpracy z opiekującym się nim zespołem.



Joanna Konarzewska-Król
dyrektor Fundacji
Onkologicznej Nadzieja

WIELODYSCIPLINARNY ZESPÓŁ GWARANTEM DOBREJ OPIEKI ONKOLOGICZNEJ

W dyskusji o jakości leczenia onkologicznego w Polsce coraz częściej pojawia się temat organizacji opieki i dostępu pacjentów do nowoczesnych modeli wsparcia. Z perspektywy Fundacji Onkologicznej Nadzieja mogę potwierdzić, że niejednokrotnie to właśnie sposób zorganizowania procesu terapeutycznego decyduje o tym, jak pacjent przechodzi przez chorobę – czy czuje się zaopiekowany, czy zagubiony w systemie. Dlatego tak istotne jest mówienie o potrzebie opieki wielodyscyplinarnej.

Dlaczego pacjent onkologiczny powinien mieć dostęp do opieki wielodyscyplinarnej?

Pacjent onkologiczny to osoba, która zmaga się z ogromnym obciążeniem – nie tylko zdrowotnym, ale także emocjonalnym

i społecznym. Choroba nowotworowa wymaga zaangażowania wielu specjalistów, ponieważ sama chirurgia, chemioterapia czy radioterapia nie wystarczą. Do pełnej opieki potrzebni są również patomorfolog, radiolog, psychoonkolog, dietetycy, rehabilitanci czy specjaliści medycyny paliatywnej. Dopiero taki zespół może zaproponować spójne, a przede wszystkim skuteczne leczenie.

Pacjent, szczególnie tuż po diagnozie, nie ma siły ani wiedzy, by samodzielnie koordynować kontakty między poszczególnymi lekarzami. Opieka wielodyscyplinarna pozwala odciążyć go z tego obowiązku – to zespół specjalistów wspólnie omawia przypadek, analizuje wyniki badań i decyduje o najlepszej ścieżce leczenia. Dla chorego oznacza to krótszy czas oczekiwania na wdrożenie optymalnej terapii, mniejsze ryzyko błędów i większą szansę na dobre efekty leczenia. To również poczucie, że nie jest sam, lecz ma wokół siebie grupę ekspertów, którzy współpracują w jego interesie.

Dlaczego wielodyscyplinarność jest tak istotna w opiece onkologicznej i jak to się ma do idei tzw. Cancer Unit?

Nowotwory to choroby niezwykle złożone – każdy przypadek jest inny, a pacjenci różnią się stanem zdrowia, wiekiem, chorobami współistniejącymi czy sytuacją rodzinną. Dlatego właśnie tak ważne jest spojrzenie na pacjenta z różnych perspektyw. Wielodyscyplinarność oznacza, że każdy specjalista wnosi swoją wiedzę i doświadczenie, a pacjent otrzymuje plan leczenia „szyty na miarę”.

To podejście najlepiej realizują tzw. *Cancer Units* – wyspecjalizowane w leczeniu danych nowotworów ośrodki, gdzie wszystkie elementy terapii skupione są w jednym miejscu. I co najważniejsze, gwarantują odpowiednią jakość leczenia. Pacjent nie musi samodzielnie przemieszczać się między placówkami, a jego leczenie jest koordynowane przez zespół ekspertów.

W Polsce mamy pozytywny przykład *Breast Cancer Units*, które istotnie poprawiły wyniki leczenia raka piersi. Niestety, dla innych nowotworów takie rozwiązania praktycznie nie funkcjonują. Brak *Cancer Units* dla raka płuca, jelita grubego czy nowotworów ginekologicznych sprawia, że pacjenci tracą czas na szukanie pomocy i są narażeni na chaos organizacyjny. Wprowadzenie tego modelu do szerszej praktyki przyniosłoby ogromne korzyści – nie tylko zdrowotne, ale też ekonomiczne. Dzięki współpracy specjalistów można uniknąć m.in. powielania badań, szybciej reagować na możliwe powikłania terapii i lepiej wykorzystywać dostępne zasoby. W wielu krajach Europy taki system jest standardem i sprawdza się doskonale. Polska również powinna dążyć do tego, aby pacjent onkologiczny miał prawo do kompleksowej, wielodyscyplinarnej opieki – bo to właśnie ona daje realną szansę na życie i godne przejście przez chorobę.

FASCYNOWAŁA MNIE MOŻLIWOŚĆ BUDOWANIA TYSIĘCY ŚWIATÓW SŁOWAMI

Tak mówi o swojej poezji Malwina Krawczyk, podopieczna Fundacji Na Ratunek Dzieciom z Chorobą Nowotworową, utalentowana nastolatka, której wiersz został nagrodzony na XXVIII Ogólnopolskim i XLII Wojewódzkim Przeglądzie Dziecięcej i Młodzieżowej Twórczości Literackiej. Malwina dzieli się przemyśleniami i doświadczeniem swoje choroby, opowiada o tym, co jest dla niej inspiracją do tworzenia poezji i czym jest dla niej pisanie.

kawalerka nad sklepem z antykami

kawalerka
nad sklepem z antykami
z widokiem na park
i smukłe tabędzie szyje
odbite w lustrze jeziora
ponoć są sobie wierne całe życie
a oczy mają jakoś podobne do twoich
nadal jeszcze
z oddali dobiega drżący głos dzwonka
w sklepie poniżej
nadal jeszcze
unoszą się zapach kawy papierosów i niezapominajek
jakby same niebo spoglądało w okrągłe okno w dębowej ramie
na pochylone pismo
rozmażane łzami czy może herbatą
kawalerka
nieduża mansarda ot nic wielkiego
niewidzialna przechodniom idylla
nad sklepem z antykami
trochę odrapana ściana
poplamiony winem dywan przykrywający dziurę w parkiecie
dawniej komplet filiżanek w pudełku po butach
rozmiar 37 czółenka bez
dziś tylko puszka
kakao najwyższa jakość Wenezuela
a w nim roztrzaskane kawałki porcelany nie do pary
i zapach zimnych wieczorów książka z zagiętym rogiem
i sklezione plastrem okulary
niedokończony list
i niedopita herbata
niewypowiedziane słowa
uwięzione gdzieś między dwudrzwiową szafą
a stolikiem z jedną krótszą nogą
kłopoty w rajach

przecież nie mogli wiedzieć
przecież nie było nic prócz ukradkowych spojrzeń
oboje wchodziliśmy innymi drzwiami
i nie włączaliśmy radia
nie mogli wiedzieć
gdzieś jeszcze leży pewnie guzik twojej marynarki
i moja spinka do włosów
jedyne pamiątki po nas
prócz świadectwa smukłych tabędzi



■ **Opowiedz proszę o historii swojej choroby – co niepokoiło Ciebie lub Twoich rodziców na tyle, że trafiliście do lekarza, a później do Kliniki Przylądek Nadziei?**

Przyznam, że jestem zmęczona opowiadaniem historii swojej choroby, bo raz już ją przeżyłam i to mi w zupełności wystarczy. Jednak jeżeli miałabym wybierać, to wolę już, żeby każdy poznał ją z artykułu w czasopiśmie, nigdy zaś z autopsji. Diagnoza zbiegła się niefortunnie w czasie z moim pójściem do szkoły średniej. Początkowo towarzyszyło mi ogromne zmęczenie, które tłumaczyłam na wszystkie możliwe sposoby, jednak później pojawił się również ból kości utrudniający codzienne funkcjonowanie. Wieczorami nie miałam już na nic siły, więc leżałam nieruchomo na podłodze i wpatrywałam się w sufit, a zamiast śniadania, obiadu i kolacji jadłam leki przeciwbólowe. Po licznych konsultacjach u lekarzy, fizjoterapeutów oraz radach, żebym odpoczęła, nie wymyślała, zaczęła uprawiać sport, przestała uprawiać sport, więcej jadła, mniej jadła, nie siedziała tyle przy książkach, nie chodziła po mrozie, dostałam skierowanie do Przylądka Nadziei, co zresztą nie zrobiło na mnie wielkiego wrażenia, bo nie miałam siły nawet spakować walizki do szpitala. Z przytłaczającego ogromu historii pacjentów wydaje mi się, że należy zapamiętać jedno – żeby nie bagatelizować zmęczenia i nie bać się pobierania krwi, bo inaczej pozostaje tylko strach przed jej wynikami, przed którymi już nie ma ucieczki.

■ **Czy wiersze znajdujące się w tomiku „Ulgowy do Edenu, poproszę” powstały w czasie Twojego pobytu w szpitalu? Jeśli tak - jak znalazłaś w sobie motywację do tego, aby pisać w tak trudnym czasie? Jeśli nie – kiedy je tworzyłaś?**

Wiersze znajdujące się w moim tomiku, wydany dzięki uprzejmości Fundacji na Ratunek Dzieciom z Chorobą Nowotworową, powstawały w wielu ważnych dla mnie momentach, większość z nich podczas mojego pobytu w szpitalu. Pisanie było dla mnie początkowo ucieczką od rzeczywistości, później jednak odnalazłam w sobie odwagę, by skonfrontować się z tym, przed czym chciałam uciec, dlatego też traktuję ten tomik jak swego rodzaju pamiętnik, w którym dzielę się przemyśleniami na temat wszystkiego, co mnie zastanawia, a czasem też niepokoi. Ten zbiór wierszy pokazał mi, jak bardzo zmieniła mnie choroba. Nauczyła mnie dystansować się do wielu spraw, ale też pozwoliła dostrzec te, o których istnieniu nie miałam pojęcia.

■ **Kiedy zaczęła się Twoja przygoda z pisaniem?**

Trudno wskazać mi moment, w którym zaczęła się moja przygoda z pisaniem. Nie obudziłam się z myślą, że zacznę pisać, z pewnością był to bardziej złożony proces, choć wydaje mi się, że zupełnie dla mnie naturalny. Na pewno impulsem do sięgnięcia po pióro była miłość do książek wpajana mi od

dziecka przez moją mamę. W moim domu rodzinnym, odkąd pamiętam, obecna była literatura, nie sposób mi wyobrazić sobie życia bez niej. Fascynowała mnie możliwość budowania tysięcy światów słowami, utrwalania rzeczywistości na papierze, zachowania kawałka siebie. W szpitalu rozumiałam też, że życie nie należy do najtrwalszych wartości, lecz to, co podczas niego można zrobić – już tak.

■ **Co inspiruje Cię do pisania? Czym ono dla Ciebie jest?**

Pisanie jest dla mnie czymś naturalnym, sposobem wyrażania siebie, uporania się z własnymi myślami, czymś co pozwala mi zrozumieć to, czego się nie tłumaczy, uważając za zbyt oczywiste. Podoba mi się rola obserwatora zdarzeń, szczególnie zaprzyjaźniłam się z nią podczas miesięcy spędzonych w szpitalu. Godzinami potrafiłam obserwować ludzi za oknem, nauczyłam się rozpoznawać cały personel kliniki po krokach, znałam plan dnia nieznanym ludzi i martwiłam się, gdy spóźniali się ze swoimi codziennymi rytuałami – droga do pracy, bieganie, spacer z psem. Zrozumiałam, że prozaiczne fragmenty tworzą większą całość i są najcenniejsze. I to właśnie codzienność jest dla mnie największą inspiracją.

■ **Jakie są Twoje dalsze plany?**

Najpierw chciałabym skończyć leczenie onkologiczne i zdać maturę (śmiech). Później planuję studia medyczne, które wydają mi się teraz oczywistym wyborem – mam niemały dług wdzięczności i chciałabym mieć swój symboliczny wkład w naukę, która sprawiła, że mogę być tu, gdzie teraz jestem i opowiadać o swoich marzeniach, że mogę w ogóle je mieć. Podczas pobytu w klinice poznałam ludzi, którzy stali się dla mnie wzorem, jakim lekarzem, ale i człowiekiem, chciałabym być w przyszłości. Teraz rozumiem, że ten czas, choć bardzo trudny, wiele mnie nauczył. Była to niechciana lekcja, ale na pewno bardzo cenna. Chciałabym też móc powiedzieć, że dałam radę, bo wiem, jak bardzo potrzebowała tego piętnastoletnia ja w dniu diagnozy. Dziękuję wszystkim tym, którzy byli wtedy przy mnie: moim najwspanialszym rodzicom, dziadkom, lekarzom i pielęgniarkom, a także tym którzy stali się dla mnie drugą rodziną – personelowi szpitala, nauczycielom, którzy zawsze we mnie wierzyli i moim najcudowniejszym przyjaciółom, bez których nie byłabym tu, gdzie jestem. Dziękuję, że byliście ze mną w chwilach, gdy zatrzymał się dla mnie świat i pomogliście mi uwierzyć, że mimo tego się nie skończył.

■ **Czy chciałabyś przekazać coś tym, którzy są na początku lub w trakcie swojej drogi do zdrowia?**

Chciałabym powiedzieć coś, co z pewnością już wiedzą – żeby nigdy się nie poddawali, ale i pozwolili sobie na chwile słabości, bo to one sprawiają, że są silniejsi niż myślą.

Bardzo dziękuję za tę rozmowę

CAR-T.PL – nowy serwis edukacyjny o terapiach komórkowych

Z dumą ogłaszamy oficjalny start serwisu internetowego CAR-T.PL – nowoczesnej platformy edukacyjnej dedykowanej technologii CAR-T – jednej z najbardziej innowacyjnych terapii we współczesnej hematologii i onkologii.

Immunoterapia CAR-T jest uznawana za przyszłość w leczeniu wielu typów nowotworów. Serwis powstał z myślą o pacjentach, ich bliskich, środowiskach medycznych oraz wszystkich zainteresowanych tematyką nowoczesnych terapii onkologicznych.

Terapie CAR-T z impetem wkroczyły do leczenia onkologicznego – przede wszystkim nowotworów układu chłonnego. Równocześnie toczy się wiele badań w odniesieniu do leczenia guzów litych. To terapia słusznie zasługująca na miano przełomowej.

Serwis edukacyjny CAR-T.PL został uruchomiony we wrześniu 2025 roku, w ramach projektu Zwrotnik Raka i funkcjonuje jako część inicjatywy edukacyjnej na rzecz zwiększania świadomości onkologicznej. Korzystając z naszego doświadczenia w edukacji zdrowotnej, przy wsparciu merytorycznym ekspertów oraz z pomocą partnerów – rozwijamy nową platformę edukacyjną. Publikujemy sprawdzone i przystępnie zaprezentowane materiały dotyczące terapii CAR-T, mechanizmów jej działania, aktualnych wskazań klinicznych oraz przebiegu leczenia.

Dotychczas do grona Partnerów serwisu dołączyli: vlog/blog oli-onko.pl, Bristol Myers Squibb, Fundacja im. dr Macieja Hilgiera, portal zwrotnikraka.pl, serwis immuno-onkologia.pl.

CO ZNAJDZIESZ NA STRONIE CAR-T.PL

Na stronie prezentujemy treści merytoryczne, przygotowane przy współpracy ekspertów w dziedzinie onkologii i hematologii:

- **baza wiedzy** – kluczowe i praktyczne informacje dotyczące terapii CAR-T w Polsce i na świecie – przygotowane we współpracy z ekspertami,
- **filmy edukacyjne** – materiały wideo poświęcone tematyce przełomowej technologii CAR-T,
- **centrum prasowe** – najnowsze doniesienia i ważne aktualności dotyczące technologii CAR-T, komentarze specjalistów,
- **raporty i analizy** – scenariusze rozwoju terapii CAR-T w Polsce i na świecie.

Choć technologia CAR-T w Polsce jest obecna dopiero od kilku lat, jej potencjał oraz wyzwania lecznicze i organizacyjne wymagają szerokiej informacji. Serwis CAR-T.PL wypełnia tę lukę, oferując materiały przystępne, ale merytorycznie poprawne.

Zapraszamy do współpracy!

Jarosław Gośliński, redaktor naczelny car-t.pl
kontakt@car-t.pl



CZY W POLSCE JEST POTRZEBNY NOWY MODEL SYSTEMU ZDROWIA?

Głównym tematem rozmów w szpitalnych poczekalniach jest porównywanie funkcjonowania opieki zdrowotnej w Polsce i w innych krajach. Podajemy liczne przykłady na to, jak nasz system ochrony zdrowia jest źle zorganizowany i jak dobrze dany problem jest rozwiązany w innym państwie. Dlatego warto odpowiedzieć sobie na pytanie, czy w naszym kraju jest to spowodowane wyborem złego modelu systemu opieki zdrowotnej, czy tym, jak go realizujemy w rzeczywistości i czy w ogóle taki idealny model istnieje? Czy może nadszedł czas, by stworzyć w Polsce model opieki zdrowotnej na miarę aktualnych i przyszłych potrzeb, a także zmieniających się wyzwań zdrowotnych?

CZYM JEST SYSTEM ZDROWOTNY?

System ochrony zdrowia to zespół wszystkich organizacji i instytucji (publicznych i prywatnych), ludzi oraz wszelkich zasobów i działań, którego celem jest zapobieganie chorobom, zachowanie lub przywracanie zdrowia, niezależnie od otoczenia politycznego i instytucjonalnego, w które system jest wpisany. Opieka zdrowotna w poszczególnych krajach zależy od: stopnia rozwoju ekonomicznego, ustroju społeczno-politycznego, poziomu nauki i techniki, a także tradycji i kultury.

Twórcą pierwszego zintegrowanego systemu ochrony zdrowia był sir Edwin Chadwick (1800-1890). Celem jego systemu było utrzymanie pracowników do późnego wieku w jak najlepszym zdrowiu. Obecnie na świecie opieka zdrowotna opiera się czterech głównych modelach: Bismarcka (1883), Beveridge'a (1948), Siemaszki i wolnorynkowym.

Aby porównać te modele trzeba, poza przedstawieniem ich ogólnej charakterystyki, odpowiedzieć na następujące pytania: Jaki jest cel, jakie są źródła finansowania, jaka jest dostępność do usług, jaka jest rola państwa, kto świadczy usługi oraz jakie są zalety i wady danego modelu ochrony zdrowia?

MODEL BISMARCKA (UBEZPIECZENIOWY)

Charakterystyka: Koszty opieki zdrowotnej pokrywają firmy i ich pracownicy. Firmy muszą pobierać opłaty od pracowników i same się dokładać, tworząc fundusz zdrowia.

Cel: Zapewnienie ochrony zdrowotnej pracownikom i zapobieganie destabilizacji społecznej z powodu chorób.

Finansowanie: Z obowiązkowych składek zdrowotnych, płaconych przez pracodawców i pracowników. Kluczowy element to działanie funduszy ubezpieczeniowych, tzw. kas chorych (niezależny od państwa płatnik), które kontraktują świadczenia u publicznych i prywatnych dostawców.

Dostępność usług: Opieka zdrowotna jest dostępna dla osób objętych ubezpieczeniem (praktycznie – dla wszystkich pracujących i ich rodzin), obejmuje współpłacenie za większość świadczeń.

Rola państwa: Umiarkowana – nadzór i regulacja. Państwo sprawuje nadzór w ramach tworzonych przez siebie ram prawnych dla funkcjonowania systemu, a instytucje ubezpieczeniowe są niezależne od administracji publicznej.

Kto świadczy usługi: Głównie świadczeniodawcy prywatni, działający dla zysku (lecznictwo otwarte) lub placówki typu *non-profit* (szpitale). Rząd kontroluje ceny za usługi.

Zalety: System ten jest tańszy dla rządu i zapewnia wysoką jakość świadczeń dzięki dużej konkurencji między świadczeniodawcami, a także stabilność finansowania. Stawki dla personelu na kontraktach są określone w mechanizmie administracyjno-negocjacyjnym i są często jednolite dla całego kraju. Pacjenci mają wolny wybór świadczeniodawców.

Wady: Większe koszty administracyjne, ryzyko nierówności, wykluczenie osób poza systemem, np. bezrobotnych bez ubezpieczenia, koncentracja na osobach pracujących. Jest to system droższy dla firm międzynarodowych, dlatego mogą one preferować prowadzenie działalności w państwach o innym modelu. Koszyk świadczeń wyklucza niektóre rodzajów usług (m.in. w stomatologii lub jej części, fizjoterapii, chirurgii plastycznej).

Historyczną genezą powstania model Bismarcka nie było zapewnienie powszechnego dostępu do opieki zdrowotnej, model ten był nie tyle wyrazem troski o zdrowie obywateli, co o zdobycie głosów wyborców, łagodzenie niepokojów społecznych i realizowania potrzeby zapewnienia państwu zdrowego rekruta. Prawo do świadczeń zdrowotnych było związane ze statusem pracy, z przekonaniem, że zdrowi pracownicy są bardziej wydajni.

Obecnie model Bismarcka jest stosowany m.in.: we Francji, w Japonii, Niemczech, Austrii, Belgii, Holandii, Szwajcarii.

MODEL BEVERIDGE'A (BUDŻETOWY)

Charakterystyka: Odpowiedzialność państwa za zapewnienie bezpieczeństwa zdrowotnego wszystkim obywatelom. Rząd

kontroluje obie strony – świadczeniodawców i pacjentów. Opieka zdrowotna jest powszechnie dostępna, bezpośrednio bezpłatna w miejscu świadczenia, czyli każdy może z niej korzystać bez ponoszenia dodatkowych kosztów.

Cel: Zapewnienie powszechnego, szerokiego zakresu bezpłatnych usług zdrowotnych, niezależnie od statusu materialnego.

Źródło finansowania: Opieka zdrowotna jest zapewniana przez jednego płatnika – rząd, ze środków publicznych, z podatków i dochodów państwa.

Dostępność opieki: Powszechna, bezpłatne świadczenia.

Rola państwa: Silna rola państwa jako organizatora, finansującego i często właściciela placówek medycznych.

Kto świadczy usługi: Głównie świadczeniodawcy publiczni.

Zalety: Niskie koszty utrzymania systemu, ponieważ pracownicy służby zdrowia pracują dla rządu, który również kontroluje ceny leków. Dzięki temu nie ma dodatkowych opłat za świadczenie usług medycznych. Równość dostępu, brak barier finansowych dla pacjenta. Minimalne współpłacenie za opiekę zdrowotną. Szeroki koszyk świadczeń.

Wady: Długi czas oczekiwania na określone procedury i wizyty u niektórych specjalistów. Regulowany dostęp do kolejnych szczebli opieki. Ryzyko niedofinansowania, ryzyko biurokracji. W sytuacjach kryzysowych, kiedy obywatele muszą częściej korzystać z systemu, rząd musi wydawać znacznie więcej pieniędzy publicznych, przykładem tego była pandemia COVID-19.

Model Beveridge'a był wyrazem koncepcji państwa opiekuńczego. Rozwijany był początkowo w krajach o względnie wysokich dochodach, a następnie na całym świecie. Było to przejście od ubezpieczenia zdrowotnego jako prawa wynikającego z pracy, do zdrowia jako prawa człowieka lub prawa obywatelskiego, miał być wyrazem solidarności, troski o spójność społeczną.

Obecnie ten model opieki zdrowotnej jest stosowany w Wielkiej Brytanii, Hiszpanii, Szwecji i Danii.

MODEL PUBLICZNEGO SYSTEMU ZDROWIA

Charakterystyka: Łączy systemy Beveridge'a i Bismarcka, czyli państwo pobiera pieniądze za pośrednictwem systemu ubezpieczeń i płaci za opiekę zdrowotną, jak w modelu Beveridge'a, ale usługi są świadczone przez firmy prywatne, jak w modelu Bismarcka.

Cel: Udostępnienie pełnego zakresu świadczeń zdrowotnych dla wszystkich.

Finansowanie: Państwo pobiera pieniądze za pośrednictwem systemu ubezpieczeń i płaci za opiekę zdrowotną, jak w modelu Beveridge'a.

Dostępność: Każdy obywatel, bez względu na wiek, dochody, status społeczno-ekonomiczny oraz stan zdrowia, posiada dostęp do pełnego zakresu świadczeń zdrowotnych.

Kto świadczy usługi: Usługi są świadczone przez firmy prywatne, jak w modelu Bismarcka.

Zalety: Dobrze rozwinięty system prywatnych, dodatkowych, dobrowolnych ubezpieczeń, zapewniających tanie w utrzymaniu programy ubezpieczeniowe, ponieważ nie generują one zysków, a ceny są kontrolowane.

Wady: Brak konkurujących dostawców oraz system jednego płatnika powoduje, że szpitale mające stałe budżety nie mogą zapewnić pomocy wszystkim potrzebującym, stąd m.in. reglamentacja świadczeń i kolejki, czas oczekiwania na świadczenia może być długi.

Poza systemem publicznej opieki zdrowotnej w Kanadzie znakomicie rozwinięty jest również system prywatnych, dodatkowych, dobrowolnych ubezpieczeń, które są realizowane przez liczne prywatne instytucje i ubezpieczalnie.

Gwarantują one pacjentom refundację dodatkowych opłat, jakie ponoszą oni w zakresie powszechnego ubezpieczenia obowiązkowego, bądź też zapewniają te usługi zdrowotne, których nie zapewnia system powszechny.

W modelu publicznej opieki zdrowotnej funkcjonują systemy ochrony zdrowia w Kanadzie i w Australii.

MODEL SIEMASZKI (SOWIECKI, BUDŻETOWY)

Charakterystyka: System całkowicie finansowany i kontrolowany przez państwo.

Cel: Zapewnienie formalnie bezpłatnej i powszechnej opieki zdrowotnej.

Dostępność: Powszechnie dostępny.

Źródło finansowania: System całkowicie finansowany przez państwo.

Rola państwa: Totalitarna, czyli państwo finansuje, zarządza, kontroluje i nadzoruje opiekę zdrowotną.

Kto świadczy usługi: Brak prywatnego sektora, scentralizowane zarządzanie.

Zalety: Teoretyczna powszechność i równość.

Wady: Niska jakość usług, niedofinansowanie, biurokracja, ograniczony dostęp do nowoczesnych terapii, innowacji.

Model Siemaszki powstał w latach 30. w ZSRR, kiedy podstawowymi problemami zdrowotnym były choroby zakaźne (tyfus, gruźlica, grypa hiszpanka), jak również głód, złe warunki bytowania ludności.

Do dziś, w zmodyfikowanej formie funkcjonuje w Rosji, na Białorusi i w części krajów byłego bloku wschodniego.

MODEL WOLNORYNKOWY/REZYDUALNY/ Z WŁASNEJ KIESZENI (THE OUT-OF-POCKET)

Charakterystyka: Działanie na zasadach wolnego rynku, gdzie dostępność usług zależy od możliwości zakupu ubezpieczenia lub zasobności portfela pacjenta, który musi płacić prywatnym firmom i lekarzom za opiekę zdrowotną.

Cel: Zapewnienie w miarę możliwości opieki medycznej mieszkańcom w ramach gospodarki wolnorynkowej.

Finansowanie: Głównie z prywatnych ubezpieczeń lub indywidualnych płatności za usługi medyczne.

Dostępność do leczenia: Ograniczona, zależna od możliwości finansowych pacjenta.

Rola państwa: Ograniczona – państwo może zapewniać tylko podstawową opiekę dla najuboższych lub osób w trudnej sytuacji życiowej. Minimalna – regulacje prawne, czasem programy zdrowotne dla wybranych grup.

Kto świadczy usługi: Głównie sektor prywatny.

Zalety: Szeroki wybór usług, wysoka jakość świadczeń dla osób zamożnych.

Wady: Nierówności w dostępie, wysokie koszty dla pacjenta i dla systemu. Jakość opieki zdrowotnej, jaką otrzymują mieszkańcy, jest bezpośrednio związana z tym, ile mają pieniędzy. W związku z tym wiele osób nie odwiedza regularnie lekarza, co ma duży wpływ na zdrowie indywidualne i publiczne.

Model „z własnej kieszeni” występuje na dużych obszarach Afryki i Ameryki Południowej, ale część populacji w krajach rozwiniętych, takich jak USA, również jest objęta opieką zdrowotną w tym systemie.

W systemie wolnorynkowym państwo nie zapewnia wszystkim obywatelom dostępu do opieki zdrowotnej.

Sektor medyczny funkcjonuje w tym systemie jako rynek, gdzie decydują popyt i podaż, pacjent jest klientem, a zdrowie towarem.

! WARTO WIEDZIEĆ, że tylko około jedna piąta świata, czyli większość rozwiniętych, uprzemysłowionych krajów posiada zorganizowany system opieki zdrowotnej.

MODEL OPIEKI ZDROWOTNEJ A JEGO RZECZYWISTE FUNKCJONOWANIE

Modele systemów opieki zdrowotnej to wzorce idealne, teoretyczne. Faktycznie funkcjonujące w poszczególnych państwach systemy zdrowotne łączą elementy różnych modeli, ponieważ są dostosowane do gospodarki, polityki, historii, tradycji i kultury danego kraju.

Dla przykładu, aktualnie w USA działa model rynkowy, ale z elementami Beveridge’a (system *Medicare* dla seniorów, *Medicaid* dla ubogich). Z kolei Wielkiej Brytanii klasyczny model budżetowy Beveridge’a, dopuszcza prywatne ubezpieczenia i usługi zdrowotne.

MODEL OPIEKI ZDROWOTNEJ W POLSCE

Jaki jest obecnie polski model opieki zdrowotnej w kontekście wyżej przedstawionych modeli? Spróbujmy go opisać.

Charakterystyka: Model mieszany łączący finansowanie oparte na modelu ubezpieczeniowym Bismarcka (składki zdrowotne wpłacane przez pracowników i pracodawców do ZUS przekazywane do NFZ), z centralnym zarządzaniem przez rząd i MZ charakterystycznym dla modelu Beveridge’a, ale także z modelem rynkowym z rosnącą rolą sektora prywatnego (**jak podaje gazetaprawna.pl, aż 64% Polaków korzystało w 2024 r. z prywatnej opieki medycznej**).

Cel: Zapewnienie szerokiego zakresu bezpłatnych usług zdrowotnych.

Finansowanie: Z obowiązkowej składki zdrowotnej odprowadzanej do ZUS przez pracowników i pracodawców lub KRUS przez rolników.

Dostępność usług: Opieka zdrowotna dostępna dla osób objętych ubezpieczeniem (praktycznie – dla wszystkich pracujących i ich rodzin).

Rola państwa: Centralne zarządzanie przez rząd i MZ, rozliczanie i nadzorowanie realizacji świadczeń przez NFZ.

Kto świadczy usługi: Głównie publiczne placówki zdrowia, ale także prywatne organizacje opieki zdrowotnej, które mają podpisaną umowę na świadczenie usług medycznych w ramach NFZ (ceny kontrolowane), jak również świadczeniodawcy prywatni (ceny niekontrolowane, rynkowe).

Zalety: System – **dotąd tańszy dla państwa** – bo w większości finansowany ze składek do ZUS. Dostępność dla większości społeczeństwa,

Wady: Wykluczenie pacjentów poza system, np. bezrobotnych bez ubezpieczenia, pracujących na umowach śmieciowych. Brak w koszyku świadczeń gwarantowanych niektórych rodzajów usług (m.in. w stomatologii lub jej części, niektórych badań genetycznych, zabiegów chirurgii plastycznej). Kolejki do specjalistów i czas oczekiwania na niektóre zabiegi. Zbyt wysokie stawki dla specjalistów na kontraktach. Biurokracja. Upolitycznienie systemu. **Ryzyko niedofinansowania, które stało się faktem – ogromna dziura budżetowa**, wymagająca dofinansowania systemu z budżetu państwa, co podważa stabilność finansowania ze składki zdrowotnej, jak w modelu Bismarcka.

Obecnie polski system zdrowia nie wpisuje się w żaden model zintegrowanej opieki zdrowotnej.

Jego funkcjonowanie i finansowanie jest coraz trudniejsze, a cel niemożliwy do osiągnięcia. System nie jest w stanie sprostać aktualnym wyzwaniom demograficznym, kadrowym, organizacyjnym i technologicznym.

PODSUMOWUJĄC: Potrzebne jest stworzenie nowego modelu opieki zdrowotnej w Polsce.

red. Aleksandra Rudnicka



Zmieniamy życie pacjentów dzięki nauceTM

Naszą misją jest odkrywanie, opracowywanie oraz dostarczanie innowacyjnych leków, które pomagają pacjentom przezwyciężyć poważne choroby.



Dowiedz się więcej na bms.com