

I Międzynarodowe Forum MEDYCyny PERSONALIZOWANEJ

W Polsce rodzi się **medycyna personalizowana**. Wykorzystanie dobrodziejstw, które ze sobą niesie zależy od tego, jak będziemy ją wdrażać. Konieczne są odpowiednie uregulowania prawne, właściwa jej organizacja i finansowanie, a także kształcenie specjalistów. Eksperti wielu dziedzin nauki rozmawiali na ten temat podczas I Międzynarodowego Forum **Medycyny Personalizowanej**.

Ponad 400 uczestników wzięło 2 marca br. udział w I Międzynarodowym Forum **Medycyny Personalizowanej**, zorganizowanym w Warszawie przez Instytut Ochrony Zdrowia pod honorowym patronatem ministra zdrowia. Goście Forum omawiali najważniejsze zagadnienia związane z **medycyną personalizowaną**, dzielili się doświadczeniami oraz dyskutowali o możliwościach wprowadzenia tego nowoczesnego podejścia do polskiego systemu ochrony zdrowia.

Zagadka szóstego dnia

Kiedy w 2000 r. pokazano światu wstępny opis genomu człowieka, podczas konferencji prasowej prezydent USA Bill Clinton oraz premier Wielkiej Brytanii Tony Blair podsumowali: „Bez wątpienia, jest to najważniejsza, najbardziej cudowna mapa, którą rodzajowi ludzkiemu udało się stworzyć (...). Uczymy się dziś języka, poprzez który Bóg stworzył świat”. Kilka lat później opublikowano już pełną se-

kwencję genomu. Wydawało się, że dzieło szóstego dnia Boskiego stworzenia świata zostało rozkodowane. Rozszyfrowanie ludzkiego genomu trwało 13 lat i kosztowało 3 mld dolarów. Było dla medycyny tym, czym dla astronautyki lądowanie człowieka na Księżycu. Dziś w ciągu dwóch tygodni za półtora tysiąca euro każdy z nas może odczytać swój genom. Jednak wciąż pojawiają się nowe pytania i obszary wymagające badań.

Jak wyjaśniała dr Anna Wójcicka z Zakładu Medycyny Genomowej WUM, gen jest instrukcją, która decyduje o budowie i działaniu naszego organizmu. Geny zapisane są za pomocą 3 miliardów liter, tzw. nukleotydów. – Genom jednej komórki, która jest przecież mniejsza od główki od szpilki, po rozwinięciu to mniej więcej 3 metry. Gdybyśmy chcieli rozwinąć genom całego człowieka, to zajęłoby tyle, ile 70 podróży do Słońca tam i z powrotem – tłumaczyła. Jak zatem dowiedzieć się, która z 3 miliardów „liter” ulega zmianie, kiedy człowiek zapada na jakąś



A NASTAZJA
PILONIS

chorobę? – Dotychczas próbowaliśmy to badać tak, jak naprawia się zepsute lampki choinkowe, czyli wyciągając jedną żarówkę po drugiej i sprawdzając, czy to ona jest zepsuta. Analizy trwały długo i często zmiany odpowiedzialnej za chorobę nie udało się zidentyfikować. Dziś mamy metodę sekwencjonowania, która umożliwia równoczesną analizę całego genomu człowieka – wyjaśniała. To przybliży nas do rozwiązania zagadki „szóstego dnia”.

Persona grata

Dzięki odszyfrowaniu ludzkiego genomu okazało się, że każda z chorób może mieć tyle twarzy, ile cierpiących na nie ludzi. To zmieniło paradygmaty leczenia. Jak zauważył minister zdrowia dr Konstanty Radziwiłł, do tej pory algorytmy i wytycz-



Dr Konstanty Radziwiłł – minister zdrowia, prof. Jacek Jassem

ne stworzone przez *evidence based medicine* (EBM) traktowano jak bożyszcze. Niepowodzenia natomiast tłumaczono krzywą Gaussa – jedni reagują na leczenie, inni nie i tak już musi być. – W końcu zorientowaliśmy się, że medycyna oparta na faktach nie może być instrukcją obsługi człowieka – mówił. A to dlatego, jak podkreślał prof. Zbigniew Gaciong, kierownik Katedry i Kliniki Chorób Wewnętrznych, Nadcisnienia Tętniczego i Angiologii WUM, że nie istnieje przeciętny pacjent. Tymczasem medycyna oparta na faktach wykorzystywała uśrednione wyniki badań klinicznych do stworzenia jednej zasady postępowania. W rezultacie takiego podejścia wielu pacjentów poddawanych jest leczeniu, które w ich przypadku ma niskie szanse długoterminowej skuteczności. Stąd koncepcja **medycyny personalizowanej**.

Denis Horgan, dyrektor generalny Europejskiej Koalicji ds. **Medycyny Personalizowanej** (European Alliance for Personalised Medicine) zdefiniował ją jako

„właściwe leczenie właściwego pacjenta we właściwym czasie”. – Metody **medycyny personalizowanej** pozwalają zaoszczędzić pacjentom dyskomfortu związanego z przechodzeniem agresywnych, ale mało skutecznych dla nich terapii. Takie podejście zmniejsza więc wydatki na nieskuteczne terapie i przyczynia się do bardziej wydajnego działania służby zdrowia. Pozwala również na większe zaangażowanie pacjentów w procesie leczenia i umożliwia im lepsze jego zrozumienie – wyjaśnił. Dziś więc podążanie tą drogą to konieczność, bo – jak zauważył Wojciech Matuszewicz, prezes Agencji Oceny Technologii Medycznych – niestosowanie personalizacji w leczeniu antybiotykami cofnęło nas do ery sprzed ich odkrycia.

Nowe wyzwanie

Medycyna personalizowana stanowi duże wyzwanie dla systemów opieki zdrowotnej. – Musimy zabiegać w Europie o unifikację standardów w tej dziedzinie, międzynarodową wymianę wiedzy

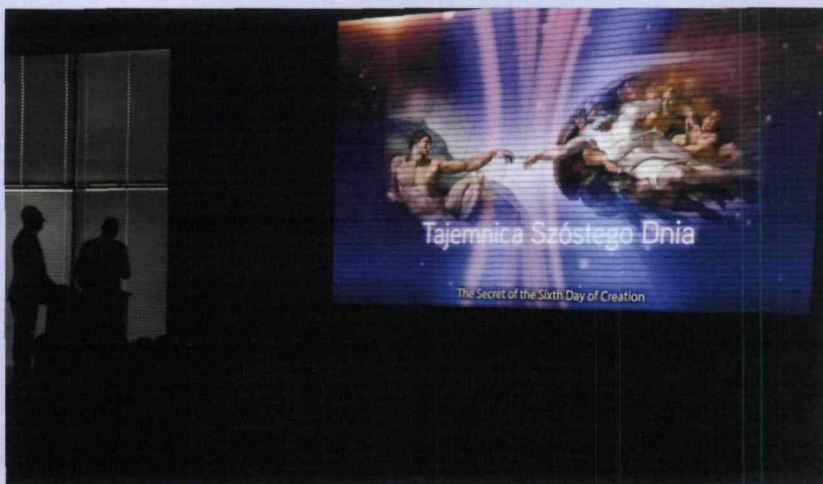
i ekspertów oraz poszukiwać systemu wyceny, który byłby sprawiedliwy i brał pod uwagę różnice w zamożności krajów UE. Dlatego Europejska Koalicja ds. **Medycyny Personalizowanej** ma na celu propagowanie rozwiązań na poziomie unijnym – przekonywał dr Stanimir Hasurdjiev, sekretarz generalny Patient Access Partnership oraz prezes Bułgarskiej Narodowej Organizacji Pacjentów. Jego zdaniem, przeszkodą w rozwoju **medycyny personalizowanej** jest niedostateczna wiedza wśród polityków i profesjonalistów służby zdrowia. Minister zdrowia Konstanty Radziwiłł zapewnił, że resort zdrowia będzie brał pod uwagę postępy w tej dziedzinie medycyny. – Prawie 40 milionom Polaków, którzy mają prawo do leczenia nie można zaoferować czegokolwiek. Trzeba dać im to, co jest dla nich najlepsze – podkreślił. – Nas musi być na to stać – deklarował też wiceminister zdrowia Jarosław Pinkas. – Jesteśmy zdeterminowani na sukces – mówił.



Prof. Jean-Louis Merlin



Dr Karol Kamiński, dr Anna Wójcicka, prof. Zbigniew Gaciong



Współczesne metody sekwencjonowania umożliwiają równoczesną analizę całego genomu. To przybliży nas do rozwikłania „tajemnicy szóstego dnia”

Modelowe rozwiązanie francuskie

Francja policzyła dokładnie, że stosowanie **medycyny personalizowanej**, a więc leczenie odpowiednim lekiem pacjenta, u którego przeprowadzono diagnostyczne badanie molekularne, przynosi zyski. W 2006 r. Narodowy Instytut Chorób Nowotworowych we Francji zdecydował się stworzyć w całym kraju sieć placówek umożliwiających pacjentom dostęp do diagnostyki molekularnej nowotworów. Pacjent nie musiał za nic płacić. Prof. Jean-Louis Merlin z Instytutu Onkologii Uniwersytetu de Lorraine we Francji opowiadał, że w jego kraju stworzono też system, który ma wspierać walidację nowych biomarkerów pieniędzmi Narodowego Instytutu Onkologii. Środki trafiają do konsorcjum laboratoriów. Kiedy dany marker przechodzi pozytywnie walidację, jest kierowany do refundacji przez płatnika. Francuzi idą jeszcze dalej. Zamiast badać tkankę guza, chcą pobierać próbkę krwi od pacjenta i analizować krążące w niej jego DNA. – Biopsja płynna pozwala na obserwację efektów leczenia w jego trakcie, bo znacznie szybciej niż np. w tomografii komputerowej można zauważyć zmiany. Daje również możliwość wczesnego zdiagnozowania oporności na leczenie, umożliwia wykrycie wznowy choroby pół roku wcześniej i może być traktowana jako marker prognostyczny. Jest też metodą mniej inwazyjną. Badania takie można robić co miesiąc, nawet przy łóżku chorego, co pozwala na dynamiczną ocenę i przyspieszenie decyzji terapeutycznych – opowiadał. Francuzi zajmują się też metodami oznaczania bardziej skomplikowanych zmian w genomie guza, np. zmienności liczby kopii, mutacji somatycznych, rearanżacji genów fuzyjnych. – Myśląc o efektywności kosztowej, pracujemy nad minipanelem 50 genów, który mógłby być tańszy i kosztować nawet poniżej 100 euro – dodał.

Doświadczenia europejskie

Dr Jasmina Koeva-Balabanova z Bułgarskiego Stowarzyszenia **Medycyny Personalizowanej** poinformowała, że Bułgarzy powołali specjalną grupę roboczą, w której skład weszli przedstawiciele resortu zdrowia, parlamentarnej komisji zdrowia, ubezpieczyciela, agencji ds. leków, samorządu lekarskiego i aptekarskiego, firm farmaceutycznych i środowiska akademickiego. Ma ona w ciągu 9 miesięcy stworzyć strategię wdrożenia zasad **medycyny personalizowanej** do 2020 r. – Chcemy, aby była ona włączona do bułgarskiej strategii zdrowotnej – powiedziała. Strategia ma być podzielona na dwa etapy. Pierwszy, od 2016 r. do 2018 r., to faza wstępna wymagająca wdrożenia nowych mechanizmów diagnostyki, refundacji i kontroli. – W drugiej fazie, od 2018 r., chcielibyśmy włączyć **medycynę personalizowaną** do programów kształcenia na uczelniach medycznych. Już w tym roku otwieramy jesienną szkołę **medycyny personalizowanej** we współpracy z akademią medyczną i ośrodkami hematologii klinicznej – zapowiedziała. Dr Marius Geantă, współzałożyciel ru-

Francuzi zamiast badać **TKANKĘ GUZA**, chcą pobierać **PRÓBKĘ KRWI** od pacjenta i analizować krążące w niej DNA

muńskiego Centrum Innowacji Medycznych, opowiadał o walce rumuńskich pacjentów o dostęp do terapii celowanych. Chorzy na przerzutowego czerniaka pozwali swoje państwo w Europejskim Trybunale Sprawiedliwości, który przyznał im rację. Niestety, ministerstwo zdrowia wygrało apelację i chorzy nadal nie mają dostępu do leczenia. – Moim zdaniem, problem związany jest z mentalnością. Brak pieniędzy nie może tłumaczyć bra-

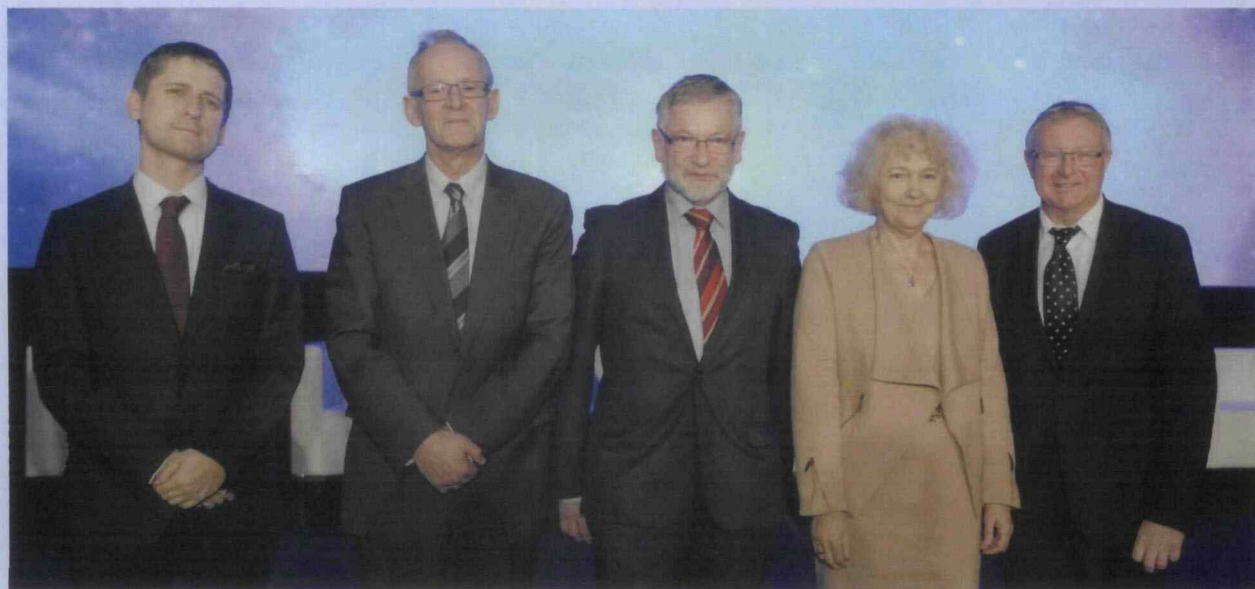
ku wizji i strategii leczenia. Dlatego edukacja jest kluczowym czynnikiem wprowadzenia **medycyny personalizowanej** do systemu ochrony zdrowia. Powinniśmy stworzyć dużą grupę ekspertów na poziomie UE, ambasadorów **medycyny personalizowanej**, którzy nieśliby ten kaganek oświaty. Musimy zadbać o stworzenie środowiska przyjaznego personalizowanemu podejściu do leczenia – apelował.

Gdzie jesteśmy?

Prof. Zbigniew Gaciong uważa, że jesteśmy już bardzo blisko momentu, kiedy będzie można sekwencjonować genom konkretnego człowieka w ciągu jednego dnia i będzie to kosztować poniżej tysiąca dolarów. – Sądzę, że nastąpi to już w tym lub przyszłym roku – powiedział.

Prof. Draga Toncheva, bułgarski krajowy konsultant genetyki medycznej z Uniwersytetu Medycznego w Sofii poinformowała, że w 2014 r. jeden na pięć dopuszczonych przez FDA leków był przeznaczony do terapii celowanej. – Obecnie mamy 138 dopuszczonych przez FDA leków, których działanie opiera się na informacji o biomarkerach. Najwięcej, bo aż 38 proc. terapii celowanych stosowanych jest w on-

Dr Lucjan Wyrwicz, prof. Maciej Krzakowski, prof. Janusz Siedlecki, prof. Draga Toncheva, prof. Jean-Louis Merlin





Prof. Renata Langfort, prof. Paweł Krawczyk, dr Jasmina Koeva-Balabanova, dr Renata Duchnowska, dr Ewa Kalinka-Warzocha, prof. Dariusz Kowalski, dr Marius Geantă

kologii i hematoonkologii, 17 proc. w psychiatrii, 10 proc. w leczeniu chorób zakaźnych, 7 proc. w kardiologii, po 6 proc. w zaburzeniach endokrynologicznych i w neurologii, 5 proc. w gastroenterologii i 4 proc. w reumatologii – wyliczała.

Prof. Janusz Siedlecki, zastępca dyrektora ds. naukowych Centrum Onkologii w Warszawie przypomniał, że do lat 80. model terapii raka opierał się na założeniu, że trzeba zabić komórkę nowotworową. Kiedy pojawiła się medycyna molekularna, zaczęliśmy mówić o zahamowaniu procesu poliferaacji. – To, co dziś robimy w ramach diagnostyki molekularnej, to dobór pacjentów do odpowiednich inhibitorów. Obecnie około 300–400 inhibitorów jest w różnych fazach badań klinicznych – stwierdził.

Personalizowana diagnostyka nowotworów

W Polsce szacuje się, że na raka zapadnie jedna na trzy osoby urodzone po 1960 r. Co czwarta z nich zachoruje, bo urodziła się z obciążeniem genetycznym. Rodzinne

ryzyko zachorowania na nowotwory jest związane za zmianami w mniej więcej 60 genach. – Jesteśmy w stanie przebadać je wszystkie w jednej analizie. Od chwili pobrania krwi od pacjenta do przedstawienia wyników trwa to nie dłużej niż 4 tygodnie. A na podstawie wyników można dostosować do konkretnego pacjenta diagnostykę i leczenie – poinformowała dr Anna Wójcicka z Zakładu Medycyny Genomowej WUM. Nowotwór jelita grubego rozwija się zaledwie u 6 proc. populacji, ale aż 82 proc. z nich ma zmiany genetyczne. Zwiększają one nie tylko ryzyko raka jelita, ale i macicy, żołądka oraz jajnika. Wiedza o takim obciążeniu genetycznym pozwala wdrożyć odpowiednią strategię badań profilaktycznych. Zdiagnozowany i wycięty odpowiednio wcześniej polip nie rozwinie się w zmianę nowotworową. Podobnie jest w przypadku raka piersi. Ryzyko zachorowania dotyczy 13 proc. populacji, ale 80 proc. z nich jest obciążonych genetycznie. Co ciekawe, obecność mutacji w genie BRCA1 i BRCA2, choć zwiększa ryzyko zachorowania, zmniejsza

jednocześnie śmiertelność w raku jajnika. Jednak za rozwój raka piersi i jajnika odpowiedzialne są mutacje nie tylko w genie BRCA1 i BRCA2. Przeprowadzone w 2004 r. w Polsce badania wśród kobiet z rodzinnym rakiem piersi i jajnika pokazały, że mutacje w tych genach występowały u 61 proc. pacjentek. Jednak w badaniu z 2015 r. wśród mieszanek południowej części naszego kraju mutacje te stwierdzono tylko u 9 proc. Poza tym wykryto 9 nowych mutacji, wcześniej nieznanych. Oznacza to, że badanie tylko wytypowanych mutacji nie pozwoli na znalezienie zmian odpowiedzialnych za zachorowanie. – Poza tym trzeba też brać pod uwagę interakcje między zmianami. Wiadomo np., że obecność mutacji RAD51 przeszło trzykrotnie zwiększa zachorowanie u pacjentek z mutacją w genie BRCA2 – zaznaczyła dr Wójcicka.

Leczenie szyte na miarę

Diagnostyka molekularna jest podstawą **medycyny personalizowanej**. To ona umożliwia użycie terapii, która będzie

najbardziej skuteczna u danego pacjenta. – Zasady celowania w farmakoterapii są prawie takie same, jak w strzelectwie. Trafimy tylko wtedy, gdy broń będzie wycelowana z największą dokładnością. To oznacza, że musimy poznać cel molekularny, zidentyfikować szlaki sygnałowe i ich wzajemne zależności – tłumaczył prof. Dariusz Kowalski z Kliniki Nowotworów Klatki Piersiowej i Płuc Centrum Onkologii w Warszawie.

Prof. Maciej Krzakowski, krajowy konsultant w dziedzinie onkologii klinicznej, przypomniał, że symbolem leczenia ukierunkowanego jest terapia raka piersi, a jego archetypem stosowanie anty-estrogenów. – Wprowadzenie tamoksifenu było pierwszą terapią celowaną. Poglębialiśmy tę wiedzę i w efekcie identyfikacja receptorów rodziny HER przyniosła jeszcze większe korzyści – mówił. Dr Renata Duchnowska z Kliniki Onkologii Wojskowego Instytutu Medycznego w Warszawie przyznała, że spektakularnym postępem w dziedzinie leczenia raka piersi było wprowadzenie leku hamującego cykl komórkowy u pacjentek z anty-HER2. – Niestety, mimo że zarejestrowane są już trzy przeciwciała monoklonalne, w Polsce refundowane jest tylko jedno – dodała.

Również terapia czerniaka to modelowa dziedzina pokazująca, że podejście personalizowane przynosi wymierne skutki. – Na takie leczenie odpowiada od 60 do 70 proc. chorych, podczas gdy na chemioterapię 6 proc. – podkreślała dr Ewa Kalinka-Warzocho, kierownik Oddziału Chemioterapii Wojewódzkiego Szpitala Specjalistycznego im. M. Kopernika w Łodzi.

Również dzięki terapiom ukierunkowanym molekularnie udało się przedłużyć nawet pięciokrotnie czas życia chorych paliatywnie z rakiem płuca. – W przypadku tego najgroźniejszego nowotworu pogłębienie diagnostyki molekularnej mogłoby wytypować chorych do badań klinicznych z różnymi cząsteczkami, co przełożyłoby się na jeszcze bardziej spektakularny sukces – dodał prof. Pa-



Dr Konstanty Radziwiłł



Dr Denis Horgan



Dr Jarosław Pinkas



Prof. Jacek Jassem, dr Mariusz Gujski



Dr Andrzej Jacyna, prof. Jacek Fijuth



Prof. Jacek Fijuth przekazuje wiceministrowi zdrowia dr Jarosławowi Pinkasowi „Deklarację Polskiej Koalicji **Medycyny Personalizowanej**”

wel Krawczyk z Pracowni Immunologii i Genetyki Uniwersytetu Medycznego w Lublinie. – Pojawienie się leków ukierunkowanych molekularnie, jak również immunokompetentnych można porównać do zmian rewolucyjnych zmieniających nasze postrzeganie choroby nowotworowej – podsumował prof. Dariusz Kowalski.

Personalizacja kardiologii

Podejście personalizowane nie jest również czymś nowym w kardiologii. Jest obecne choćby w doborze środków prewencji w zależności od czynników ryzyka. – Używana przez nas skala oceny ryzyka SCORE jest takim postępowaniem – zauważył prof. Karol Kamiński z Kliniki Kardiologii Uniwersytetu Medycznego w Białymstoku. Ocena ryzyka genetycznego w kardiologii umożliwia diagnozę rzadkich chorób dziedziczonych monogenowo, np. genetycznie uwarunkowanej nadkrzepliwości, rodzinnej hipercholesterolemii, arytmii, zespołu długiego QT, kardiomiopatii, nadciśnienia płucnego. Określenie ryzyka wystąpienia choroby u dzieci pozwala na wczesne wdrożenie działań prewencyjnych, np. wszczęcie kardiowertera. – Liczymy, że rozwój genetyki zoptymalizuje postępowania w przypadku częstszych chorób, które dotyczą 60 proc. społeczeństwa. Są one jednak regulowane w bardziej skomplikowany sposób. Na szczęście, mamy coraz lepsze narzędzia **medycyny personalizowanej**: sekwencjonowanie genomu lub jego elementów, ocenę transkrypcji czy metabolitów – mówił prof. Kamiński. Pomocna jest też farmakogenomika, np. w przypadku leczenia statynami, gdzie zmienność jego efektów i działań niepożądanych jest olbrzymia. Wiadomo też, że nosiciele allelu kodującego Arg odnoszą większą korzyść z B-blokerów oraz że aż 30 proc. pacjentów może mieć oporność na kłopidogrel. Testy do badań przed podaniem tego leku zostały już zatwierdzone przez FDA. – Czy zatem genomika jest niespełnioną



Dr Mariusz Gujski, prof. Krzysztof Warzocha, dr Wojciech Matuszewicz, dr Andrzej Jacyna, dr Jarosław Pinkas, dr Adam Fronczak, prof. Maria Sasiadek, dr Stanimir Hasurdjiev, prof. Jacek Fijuth

obietnicą w przypadku chorób sercowo-naczyniowych? Nie do końca. Medycyna musi być bardzo konserwatywna, bo obowiązuje nas reguła *primum non nocere*. Czasem wynalezione metody badań i analizy wyprzedzają naszą wiedzę i nie możemy ich do końca wykorzystać. Jednak jesteśmy przekonani, że rozwój **medycyny personalizowanej** sprawi, że sentencja Voltaire'a: „Lekarze zapisują lekarstwa, o których niewiele wiedzą, na choroby, o których wiedzą jeszcze mniej, ludziom, o których nie wiedzą nic” – przestanie być prawdą.

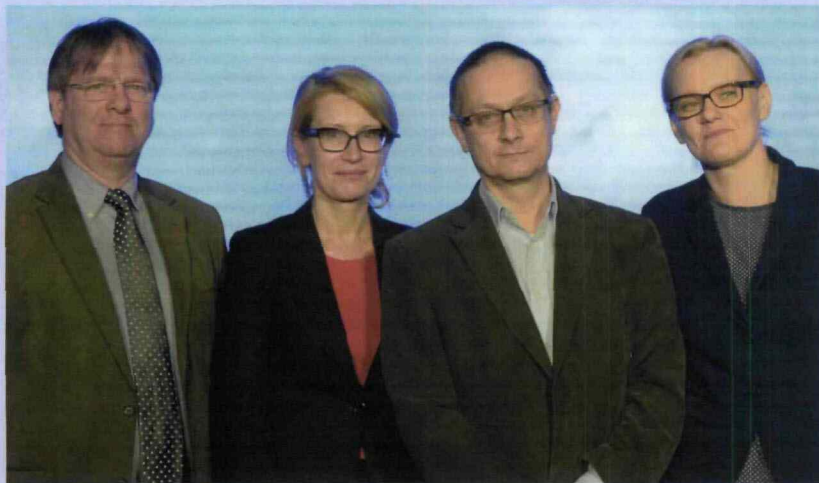
Dylematy etyczno-prawne

– **Medycyna personalizowana**, którą cechuje niespotykany dotąd potencjał terapeutyczny, niesie ze sobą własne wyzwania etyczne i prawne. Jest także sprawdzianem osobistym dla profesjonalistów medycznych, którzy muszą dysponować wrażliwością na specyficzne potrzeby poszczególnych pacjentów i umiejętnością wyjaśniania im zawłości nowej medycyny – podkreślił prof. Paweł Łuków z Zakładu

Bioetyki i Humanistycznych Podstaw Medycyny WUM. Dr Joanna Różyńska, adiunkt w Instytucie Filozofii Uniwersytetu Warszawskiego zwróciła uwagę, że na **medycynę personalizowaną** cieniem mogą kłaść się doświadczenia XX-wiecznej eugeniki i na te obawy trzeba odpowiedzieć. – Pacjenci chcą być pewni, że informacje o genach nie będą wykorzystane przeciwko nim i że nie

będą z tego powodu dyskryminowani – podkreślała. Jej zdaniem, trzeba znaleźć odpowiedź na pytanie, jak zabezpieczyć interes dawcy materiału genetycznego oraz jego rodziny. Wyzwaniem staje się też patentowanie ludzkiego genomu. Rozkwit **medycyny personalizowanej** warunkuje rozwój biobanków, a to rodzi wiele wyzwań regulacyjnych. Nie zawsze wiadomo, jaki będzie cel badań, do którego zostaną użyte gromadzone tam materiały. Tymczasem świadoma zgoda dawcy wymaga takiej wiedzy. W dodatku ma on prawo do jej wycofania na każdym etapie badania. – Trzeba zastanowić się, jak zasady świadomej zgody w biobankach można realizować. Niestety, w Polsce brakuje regulacji prawnych. W Ministerstwie Zdrowia czeka projekt ustawy o prowadzeniu badań biomedycznych na człowieku, który zawiera regulacje dotyczące biobanków – przypomniała dr Różyńska. Dr Anna Wójcicka z Zakładu Medycyny Genomowej WUM zwróciła też uwagę, że wiedza pacjentów na temat ich obciążeń genetycznych, choć potencjalnie ratuje

**Medycyna
personalizowana,
to także NOWE
WYZWANIA
etyczne i prawne.
Wymaga wrażli-
wości na potrzeby
pacjenta**



Dr Ferenc Oberfrank, Maria Libura, prof. Paweł Łuków, dr Joanna Różyńska

życie, może być ogromnym obciążeniem psychicznym. Dlatego nie każdy chce ją mieć. Nie zaleca się wykonywania testów u osób poniżej 18. roku życia. – Nie zmienia to faktu, że w zakresie badań genetycznych potrzebna jest edukacja. Przeprowadzone przez WUM badania w ramach projektu BASTION pokazały, że aż 40 proc. pacjentów wie, że na ten temat czerpie z Internetu, 13 proc. z prasy, a zaledwie 10 proc. od lekarzy. To oznacza, że wiele jest jeszcze do zrobienia – dodała.



Międzynarodowa publiczność z zaciekawieniem słucha wykładów

Wyzwania systemowe i finansowe

Zdaniem prof. Jacka Jassem, aby zapewnić polskim pacjentom szerszy dostęp do sukcesów **medycyny personalizowanej**, trzeba przede wszystkim poprawić diagnostykę. Prof. Renata Langfort, kierownik Zakładu Patomorfologii Instytutu Gruźlicy i Chorób Płuc w Warszawie tłumaczyła, że aby określenie statusu molekularnego nowotworu było prawidłowe, konieczne jest odpowiednie przygotowanie materiału. Istotne są czas i sposób jego utrwalenia. W przypadku dużych wycinków mamy na to 72 godziny, małymi trzeba się zająć w ciągu 6 do 24 godzin. Tymczasem w warunkach polskich materiał transportowany jest dwa razy w tygodniu. Tymczasem, jak podkreślał prof. Jassem, diagnostyka molekularna decyduje o użyciu drogiego leku. Do tej pory jej finansowanie państwo przerzucało na firmy farmaceutyczne. – To wymaga pilnego uregulowania – powiedział. Z kolei prof. Krzakowski dodał, że badania w kierunku biomarkerów finansowane są tylko u chorych, którzy finalnie trafiają do leczenia w ramach programu lekowego. W raku płuca trzeba przetestować około 100 osób, by znaleźć u 10 jeden czynnik predykcyjny. – Z zapłaceniem za badania tych 90 pozostałych są problemy – zauważył. Prof. Maria Sasiadek, konsultant krajowy w dziedzinie genetyki klinicznej, poinformowała, że w Polsce działa 40 poradni genetycznych i mniej więcej co



Dr Mariusz Gujski, dr Jacek Graliński, dr Konstanty Radziwiłł, James Greenhalgh

roku jedna znika. Genetyków klinicznych jest 80, a wycena ich świadczeń przez NFZ tak niska, że trudno się spodziewać, iż będzie ich więcej. Eksperci: lekarze, genetycy, biolodzy molekularni opracowali dokument, który zmierza do ustrukturyzowania opieki i diagnostyki genetycznej w Polsce. – Zostały przygotowane procedury, które chcielibyśmy, aby AOTM wycenił. Ważne jest też, aby w budżecie NFZ znalazły się na to pieniądze. W zeszłym roku pojawiło się rozporządzenie ministra zdrowia dotyczące standardów laboratoryjnej diagnostyki molekularnej w onkologii. Mam nadzieję, że zostaną również przygotowane standardy w poradnictwie genetycznym. Wszyscy czekamy też, aby Polska ratyfikowała konwencję bioetyczną Rady Europy – dokument, który będzie chronił naszych pacjentów, ale i nas, lekarzy – podkreślała. Dr Adam Fronczak, kierownik Zakładu Zdrowia Publicznego WUM zasugerował, aby diagnostykę genetyczną transponować do zdrowia publicznego.

Prof. Jacek Fijuth, przewodniczący Polskiego Towarzystwa Onkologicznego, podkreślał, że konieczna jest poprawa dostępności do terapii ukierunkowanych molekularnie. Nowe leki zbyt późno trafiają do refundacji. – Ich dostępność w Polsce jest mniejsza niż w krajach Europy Zachodniej i również, co gorsza, niż w krajach naszego regionu. Są one drogie, ale lepsza kwalifikacja leczenia, czyli uniknięcie leczenia nieskutecznego, które zawsze jest najdroższym oraz stosowanie terapii u odpowiednich chorych obniża koszty leczenia – przekonywał prof. Jassem. – Zaproponowaliśmy więc stworzenie listy rankingowej leków najbardziej wartościowych – system punktowy, który pozwoli podejmować decyzje terapeutyczne – dodał.

Deklaracja

Podczas I Międzynarodowego Forum **Medycyny Personalizowanej** prof. J. Fijuth przekazał wiceministrowi J. Pin-

Poprawa dostępności **TERAPII** ukierunkowanych molekularnie jest konieczna. Nowe **LEKI POZWALAJĄ** na uniknięcie leczenia nieskutecznego, które zawsze jest najdroższe

kasowi Deklarację Polskiej Koalicji **Medycyny Personalizowanej**, której głównym celem jest stworzenie warunków sprzyjających rozwojowi tej medycyny w Polsce dzięki zmianom legislacyjnym i systemowym w tym obszarze. Zadaniem Koalicji jest także wsparcie edukacji w zakresie leczenia ukierunkowanego molekularnie z uwzględnieniem wszystkich interesariuszy systemu.

– To właściwa inicjatywa, właściwy moment i właściwa osoba – powiedział prof. Fijuth, wręczając dokument. Wiceminister J. Pinkas podkreślał ogromny potencjał **medycyny personalizowanej**, a zwłaszcza jej efektywność – zarówno terapeutyczną, jak i ekonomiczną. Jego zdaniem, dzięki zastosowaniu terapii ukierunkowanej molekularnie, „pieniądze nie będą marnowane, bo jeśli dobrze dopasujemy terapię, to będzie ona bardziej efektywna”. – Będziemy liderem we wdrażaniu zmian. Rozwiązemy problemy prawne, a **medycyna personalizowana** dotrze do naszych pacjentów – zadeklarował na zakończenie spotkania J. Pinkas.

PRIORYTETY POLSKIEJ KOALICJI **MEDYCYNY PERSONALIZOWANEJ:**

1. Poprawa dostępu, standardów jakości i zapewnienie finansowania diagnostyki molekularnej dla wszystkich pacjentów, którzy tego potrzebują.
2. Wprowadzenie zmian legislacyjnych uwzględniających specyfikę terapii personalizowanych w ocenie zasadności ich finansowania ze środków publicznych (charakterystyka danej jednostki chorobowej, próg efektywności kosztowej).
3. Wsparcie rozwiązań przyspieszających wdrożenie procesu terapeutycznego, jego lepszą koordynację i monitorowanie efektów.
4. Zapewnienie bezpieczeństwa zbierania, przechowywania i udostępniania danych genetycznych pacjentów.
5. Edukacja pracowników ochrony zdrowia oraz pacjentów na temat rozwiązań, jakie oferuje **medycyna personalizowana**.

Polska Koalicja **Medycyny Personalizowanej** przeanalizowała obszary, które mogą stanowić bariery dla wdrożenia tej nowoczesnej koncepcji medycyny. Wskazała też pięć priorytetowych działań, które trzeba niezwłocznie podjąć, aby te bariery wyeliminować. Mamy więc „mapę drogową” z wyraźnie określonymi etapami oraz deklarację wszystkich środowisk o chęci współpracy we wdrażaniu **medycyny personalizowanej** w Polsce. – Wdrożenie rozwiązań medycyny personalizowanej to szansa na wyższą jakość leczenia Polaków. Obecność na Forum kierownictwa Ministerstwa Zdrowia to znak, że resort dostrzega potrzebę implementacji takiego leczenia w naszym kraju. Liczę, że wnioski z dzisiejszej dyskusji pomogą w szybszym wprowadzeniu koniecznych zmian – podsumował dr Adam Fronczak, kierownik Zakładu Zdrowia Publicznego WUM. ■