

Dziennikarski Klub Promocji Zdrowia

Materiał prasowy

28 listopada 2024 r.

➤ Wyzwania systemowe i możliwości w leczeniu pacjentów z astmą ciężką i polipami nosa w ramach programów lekowych B.44. i B.156. ◀

Astma ciężka i polipy nosa to choroby o podłożu eozynofilowym, które obniżają jakość życia chorych, prowadząc nawet do niepełnosprawności. Można je skutecznie diagnozować i leczyć, jednak wciąż nie wszyscy pacjenci otrzymują taką szansę. W ramach programów lekowych zagwarantowane jest leczenie biologiczne, ale daleko jeszcze do ideału i pełnej dostępności. Na gwarancję skutecznego leczenia czekają m.in. pacjenci z chorobami rzadkimi o podłożu eozynofilowym.

To terapie biologiczne w chorobach eozynofilowych pozwalają chorym uniknąć leczenia sterydami systemowymi i związanych z tym powikłań. Leki biologiczne przywracają dobrą jakość życia, umożliwiając tym samym powrót do aktywności rodzinnej i zawodowej.

W kwietniu tego roku zwiększyła się liczba terapii biologicznych w programie lekowym B.156. „Leczenie chorych z zapaleniem nosa i zatok przynosowych z polipami nosa”, lecz mimo to wciąż istnieje wiele wyzwań związanych z wdrożeniem programu i wielu pacjentów czeka na możliwość skorzystania z leczenia. Nie brakuje również wyzwań w leczeniu pacjentów z astmą ciężką w ramach programu lekowego B.44. „Leczenie chorych z ciężką postacią astmy”. Po 10 latach doświadczeń z programem lekowym, wciąż istnieją systemowe i administracyjne bariery.

Co leży u podłoża tych chorób? W większości przypadków są to eozynofile.

Jak wyjaśnia dr Aleksandra Kucharczyk z Kliniki Chorób Wewnętrznych, Pneumonologii, Alergologii, Immunologii Klinicznej i Chorób Rzadkich Wojskowego Instytutu Medycznego Państwowego Instytutu Badawczego w Warszawie, eozynofile to komórki układu odpornościowego, które fizjologicznie odpowiadają m.in. za obronę przeciw pasożytniczą i przeciwnowotworową.

Jednak czasem, z niewiadomych przyczyn, liczba tych komórek znacząco się zwiększa. Eozynofile zaczynają się gromadzić i naciekać na rozmaite tkanki, co prowadzi do stanu zapalnego uszkadzającego różne narządy, m.in. płuca, serce czy nerki.

Eozynofile mogą odpowiadać za wiele różnych schorzeń. Dr Aleksandra Kucharczyk wskazuje m.in. na relatywnie często występujący przewlekły nieżyt nosa z polipami nosa czy astmę eozynofilową. Mogą być jednak także przyczyną występujących bardzo rzadko chorób, takich jak EGPA (eozynofilowa ziarniniakowatość z zapaleniem naczyń) lub HES (zespół hypereozynofilowy), których przebieg zazwyczaj jest bardzo ciężki.

– Na szczęście każdą z tych chorób można już skutecznie leczyć, ponieważ wiemy, że ich podstawową przyczyną jest zwiększone stężenie interleukiny-5 (IL-5). Cytokina ta odpowiada za zwiększoną produkcję, ale też opóźnioną śmierć eozynofilów. Zablokowanie tej ścieżki powoduje wyzdrowienie. Obecnie zarejestrowane są dwie terapie ukierunkowane na IL-5, jedna „wyłapuje” to białko i nie dopuszcza do jego działania. Drugi lek blokuje receptor dla interleukiny-5. Nie tylko nie dopuszcza do działania IL-5, ale też znakuje eozynofile w taki sposób, że daje sygnał innym komórkom układu odpornościowego do ich eliminowania – tłumaczy dr Aleksandra Kucharczyk.

Astma ciężka

W przypadku astmy ciężkiej, prof. Maciej Kupczyk z Kliniki Chorób Wewnętrznych, Astmy i Alergii, UM w Łodzi, prezydent kadencji 2021-2024 Polskiego Towarzystwa Alergologicznego, podkreśla olbrzymie doświadczenie leczenia mepolizumabem w ramach programu lekowego, zarówno jeżeli chodzi o bezpieczeństwo i skuteczność, jak i compliance pacjenta.

– W ośrodkach specjalistycznych prowadzących leczenie w programie lekowym mamy pod opieką ok. 4 tysiące pacjentów z astmą ciężką. To stanowi ok. 10 proc. epidemiologicznej grupy pacjentów z astmą ciężką, która kwalifikuje się do tego leczenia i która odniosłaby z niego korzyść – wylicza prof. Maciej Kupczyk.

Ocenia, że z jednej strony mamy refundację takiego leczenia, ale jest jeszcze wiele do zrobienia jeżeli chodzi o dostęp do skutecznych i bezpiecznych terapii. Umowy na realizację programu podpisało ok. 60 ośrodków, w tym kilkanaście wiodących ośrodków, obsługujących dużą liczbę pacjentów oraz kilkadziesiąt innych ośrodków, które zapewniają dostęp do leczenia na terenie całego kraju, jednak z różnych względów trudniej im realizować program.

Nie ukrywa, że prowadzenie programu lekowego jest bardzo obciążające dla ośrodka. Wiąże się z biurokracją, wymaga olbrzymiej wiedzy medycznej, zaangażowania personelu, a za tym powinno iść odpowiednie finansowanie, którego obecnie nie ma. Są też bariery utrudniające wydawanie leku pacjentowi do podania w domu.

Wyzwaniem, jak ocenia, pozostają też wąskie kryteria włączenia do programu, bo są to m.in. co najmniej dwa zaostrzenia w ciągu roku, potwierdzona astma ciężka, wysokie dawki sterydów wziewnych, zapotrzebowanie na sterydy systemowe, określony wysoki próg eozynofilii, upośledzenie jakości życia i parametrów spirometrycznych.

Dr Piotr Dąbrowiecki z Kliniki Chorób Wewnętrznych Infekcyjnych i Alergologii WIM, przewodniczący Polskiej Federacji Stowarzyszeń Chorych na Astmę, Alergie i POChP, wskazuje też na inne wyzwania związane z diagnozowaniem.

– W Polsce od pierwszych objawów astmy jak kaszel, świsty oddechowe, uczucie duszności, do rozpoznania mija ponad 7 lat. Średnia europejska to 3,5 roku. Powinniśmy to zmienić. Problem z rozpoznaniem jest spowodowany faktem, że „astma zmienną jest”. Objawy występują po kontakcie z uczulającym alergenem, po wysiłku fizycznym lub ekspozycji na zimne powietrze, ale akurat nie u doktora w gabinecie. To potrafi zmylić lekarza, ale bywa niezrozumiałe dla pacjenta: „To mam astmę czy nie?”. Objawy wybudzają chorego w nocy, a mijają wraz z rozpoczęciem dziennej aktywności (...) – wyjaśnia dr Piotr Dąbrowiecki.

Jak dodaje: „Jeśli pozwolimy choremu na wiele lat bez rozpoznania choroby, lecząc doraźnie tylko objawy kaszlu lub duszności, zwiększamy szanse na rozwój ciężkiej postaci choroby. Jeśli, zamiast leczenia przeciwzapalnego, zastosujemy leczenie objawowe w oparciu o leki rozszerzające oskrzela, choroba będzie postępować”.

Nadużywanie b-2 mimetyków krótko działających, tj. salbutamolu czy fenoterolu, prowadzi do nasilenia stanu zapalnego w oskrzelach.

– W Polsce objawy astmy ma ponad 4 mln osób, ale tylko ok. 2,2 mln osób jest świadomych choroby i jest aktywnie leczona. W tej milionowej populacji chorych grupa pacjentów z astmą ciężką stanowi jedynie 5-10 proc., co daje od 50 tys. do 100 tys. osób – mówi dr Piotr Dąbrowiecki.

Mimo że ta zaawansowana choroba występuje stosunkowo rzadko, to wiąże się z najpoważniejszymi powikłaniami i najgorszymi rokowaniami. Częste zaostrzenia, zmuszające chorych do stosowania doustnych sterydów, dostosowanie życia do choroby oraz liczne choroby towarzyszące znacznie utrudniają życie.

Życie pod dyktando choroby

Dodaje, że astma ciężka wiąże się z najpoważniejszymi powikłaniami i najgorszymi rokowaniami.

Jak wygląda jakość życia pacjentów z astmą ciężką i polipami nosa?
(https://pta.med.pl/wp-content/uploads/2023/02/2023-01-16_PTA_Raport_ONLINE.pdf)

– Ciężka postać astmy w znacznym stopniu ogranicza jakość życia chorych. To osoby, które żyją pod dyktando choroby. Nadużywanie leków ratunkowych i częste stosowanie doustnych sterydów wpływa niekorzystnie na stan zdrowia. Częste zaostrzenia, zmuszające chorego do nieplanowych konsultacji lekarskich, wizyt w SOR lub wzywania pogotowia ratunkowego wywołują permanentne napięcie i uczucie, że nie da się niczego w życiu zaplanować. Ciężka postać astmy wpływa również na psychikę. Objawy depresyjne lub nerwica występuje u od 30 do 50 proc. chorych. 100 proc. chorych uważa, że choroba nie pozwala na „normalne życie” – wskazuje dr Piotr Dąbrowiecki.

Chorzy na astmę czasami mają także przewlekłe zapalenie zatok z polipami nosa, a więc chorują nie tylko dolne, lecz także górne drogi oddechowe.

Polipy nosa

Polipy nosa – jak podaje dr Piotr Dąbrowiecki – występują u około 4 proc. populacji, ale istnieją grupy osób, u których ryzyko jest większe. Rozwijają się najczęściej u młodych dorosłych i osób w średnim wieku.

Są to chorzy z astmą oskrzelową, szczególnie tzw. aspirynową (u chorych występuje reakcja alergiczna na aspirynę lub inne leki z grupy niesteroidowych leków przeciwzapalnych).

Obecnie w leczeniu przewlekłego zapalenia zatok z polipami nosa stosuje się metody zachowawcze i operacyjne.

Prof. Wioletta Pietruszewska, kierownik I Katedry Otolaryngologii Uniwersytetu Medycznego w Łodzi wyjaśnia, że są to: irygacje solankowe, donosowe stosowanie glikokortykosteroidów, okresowe włączanie sterydów ogólnoustrojowych oraz endoskopowa operacja nosa i zatok przynosowych.

– Bardzo cenne uzupełnienie dotychczasowych metod w przypadku ich niepowodzenia stanowi nowa w tej chorobie terapia biologiczna – podkreśla. Chodzi o szybki odrost polipów mimo prawidłowego leczenia i stosowania się pacjenta do zaleceń – mówi ekspertka.

Dodaje, że: „Leczenie biologiczne to jedyne leczenie przyczyny choroby, czyli zahamowanie ścieżki sygnałowej dla kluczowych interleukin: 4, 5 i 13, które promują napływ eozynofili i innych komórek zapalnych do błony śluzowej nosa i zatok przynosowych powodując przewlekły proces zapalny”.

Od 1 kwietnia br. ruszył program lekowy, dedykowany chorym z ciężkimi postaciami zapalenia zatok, któremu towarzyszą polipy nosa o podłożu eozynofilowym. Od kwietnia br. zrefundowano jedną terapię biologiczną (dupilumab), a od października rozszerzono program o kolejny lek biologiczny (mepolizumab). Jednak proces podpisywania umów i uruchamiania programu powoduje, że faktyczny dostęp pacjentów do leczenia jest znacznie opóźniony.

Chory musi też spełniać szereg kryteriów, a jednym z nich jest nawrotowość polipów mimo wykonania m.in. dwóch zabiegów chirurgicznych z otwarciem co najmniej trzech zatok, w tym sitowia tylnego.

Według prof. Wioletty Pietruszewskiej można rozważyć, czy nie wystarczyłaby tu jedna endoskopowa operacja chirurgiczna z otwarciem wszystkich zatok, tzw. pełny ESS, aby nie narażać chorych na kolejne zabiegi i ryzyko powikłań.

Jakość życia

Skuteczne leczenie jest dla pacjentów z polipami nosa bardzo ważne, bo schorzenie to istotnie obniża ich jakość życia.

– Stale zatkany nos, cieknąca wydzielina, ból głowy, uczucie napięcia i rozpierania w okolicy zatok, utrata węchu i smaku, zaburzenia snu, bezdech senny... Skala objawów jest długa, ale jeśli dodatkowo nałożą się na to objawy oddechowe, mamy dramat. U tych chorych często są wykonywane zabiegi operacyjne mające przynieść poprawę drożności nosa, ale po kilku latach, po roku lub nawet krócej, znowu trzeba operować – wylicza dr Piotr Dąbrowiecki.

Jak dodaje, jego pacjent z astmą i polipami był operowany aż 7 razy. – Na szczęście teraz otrzymał leczenie biologiczne i od pół roku ma drożny nos a polipy nie odrastają. Tak może wyglądać życie, gdy zastosujemy nowoczesne leczenie oparte o evidence-based medicine, czyli medycynę opartą o dowody naukowe – zaznacza ekspert.

Przypomina, że: „współczesna nauka mówi, że jeśli masz astmę ciężką, bierzesz wysokie dawki leków wziewnych, a pomimo to masz zaostrzenia choroby, które zmuszają cię do wzięcia doustnych sterydów 2 razy w roku, powinieneś skorzystać z leczenia biologicznego. Jeśli masz przewlekłe zapalenie zatok z polipami i byłeś z tego powodu operowany dwa razy, a polipy ponownie odrósły, powinieneś otrzymać leczenie biologiczne”.

Obecnie w Polsce takie leczenie jest refundowane przez NFZ w ramach programu lekowego i chorzy z astmą ciężką oraz ci, którzy mają przewlekłe zapalenie zatok z polipami, mogą z takiej terapii skorzystać i zacząć żyć pełnią życia.

Takie były doświadczenia Agnieszki Kustos (39 lat), która chorowała od prawie 20 lat na PZZPzPN i choroby współistniejące: astmę, alergię na NLPZ, aspirynę oraz pyłki traw. Diagnoza PZZPzPN została postawiona w 2019 roku po kilkunastu latach poszukiwania choroby. Choroba ma podłoże eozynofilowe.

– Po rozpoczęciu leczenia biologicznego poczułam się tak, jakbym wygrała los na loterii. Polipy się cofnęły, zaczęłam mieć bardzo dobrą wydolność płuc, zaczęłam regularnie ćwiczyć, biegać na bieżni, jeździć na rowerze. To zasługa dr Grażyny Stryjewskej-Makuch, alergolog, która ma holistyczne podejście do mojego schorzenia – opowiada pani Agnieszka Kustos.

Niezaopiekowane rzadkie choroby eozynofilowe

Podwyższona liczba eozynofili może być też powodem rzadkich chorób wielonarządowych, takich jak eozynofilowa ziarniniakowatość z zapaleniem naczyń (EGPA) lub zespół hipereozynofilowy (HES).

To choroby o ciężkim przebiegu, bywają śmiertelne, jeżeli nie zastosuje się odpowiedniego leczenia. Eozynofile „odkładają się” i zaczynają niszczyć różne narządy, jak serce czy płuca.

Terapie biologiczne pozwalają chorym uniknąć leczenia sterydami systemowymi, zapobiegają rozwojowi choroby i powikłaniom, wydłużają i przywracają dobrą jakość życia, umożliwiają powrót do rodzinnej i zawodowej aktywności.

Część chorych otrzymuje leczenie biologiczne, ale z powodu chorób współistniejących, jak np. ciężka astma eozynofilowa, dla których są już refundowane terapie w ramach programów lekowych.

Skuteczne i bezpieczne terapie celowane

Jak mówi dr Aleksandra Kucharczyk, terapie biologiczne są skuteczne i dostępne już od kilku lat w leczeniu ciężkiej astmy eozynofilowej, a od niedawna jedna z terapii – w leczeniu polipów nosa.

Niezaopiekowana pod kątem tych nowoczesnych terapii pozostaje grupa pacjentów chorych na EGPA oraz HES.

– Na te terapie celowane bardzo czekamy, bo to właśnie ci pacjenci, ze względu na ciężki przebieg choroby i często bezpośrednie zagrożenie uszkodzenia ważnych dla życia narządów, są obecnie leczeni bardzo toksycznymi lekami, w tym glikokortykosteroidami podawanymi w bardzo dużych dawkach, często równocześnie z terapią immunosupresyjną – wskazuje dr Aleksandra Kucharczyk.

Tymczasem terapie biologiczne antyeozynofilowe – ze względu na celowane działanie na ścieżkę promującą eozynofile – są nie tylko skuteczne, ale jednocześnie bardzo bezpieczne i często pozwalają na odstawienie toksycznych leków przy remisji choroby.

Prof. Maciej Kupczyk mówi wręcz o „spektakularnej” skuteczności terapii biologicznej mepolizumabem w leczeniu eozynofilowej astmy ciężkiej.

– Przy dobrej kwalifikacji pacjentów mamy bardzo wysoki odsetek chorych, którzy dobrze lub bardzo dobrze odpowiadają na leczenie. Obserwujemy u nich spadek liczby zaostrzeń, spadek hospitalizacji i zapotrzebowania na sterydy systemowe, poprawę jakości życia i kontroli choroby. Można u nich zmniejszyć dawki dotychczas stosowanych leków i lepiej kontrolowana jest też często współistniejąca choroba, np. zapalenie zatok z polipami nosa – wylicza prof. Maciej Kupczyk.

Poprawić dostęp, czyli zmiany w systemie ochrony zdrowia

Możliwość zastosowania leczenia przyczynowego i przywrócenia normalnego życia tysiącom pacjentów z chorobami o podłożu eozynofilowym to korzyść zarówno dla chorych, jak i dla systemu ochrony zdrowia.

Potrzebne są więc zmiany, aby więcej osób mogło skorzystać z dedykowanego im leczenia.

– Dostęp do terapii biologicznych w ramach AOS wpisuje się w politykę odwracania piramidy świadczeń zdrowotnych i bez wątpienia wiązałby się z odciążeniem wysokospecjalistycznych ośrodków szpitalnych. Podstawowe narzędzia leżą tutaj w rękach płatnika. Odpowiednia modyfikacja finansowania opieki w programie lekowym może doprowadzić do promowania wydania leku do domu, co jest jednoznaczne z osiągnięciem optymalnego celu terapeutycznego, czyli dobrej kontroli choroby oraz przeniesienia ciężaru opieki do dobrze finansowanych, wyposażonych w niezbędny sprzęt i przeszkolony personel ośrodków AOS – uważa prof. Maciej Kupczyk.