

Wojciech Rogowski¹, Rafał Zysk², Maciej Krzakowski³

¹Magodent Sp. z o.o. w Warszawie

²Health Economics Consulting w Warszawie

³Centrum Onkologii — Instytut im. Marii Skłodowskiej-Curie w Warszawie

Programy lekowe w onkologii. Jak optymalnie wykorzystać ich możliwości?

Drug programs in oncology. How to optimally use their capabilities?

Adres do korespondencji:

Dr n. med. Wojciech Rogowski
 Magodent Sp. z o.o.
 ul. gen. Fiedorfa „Nila” 40
 04–125 Warszawa
 Tel.: +48 22 430 87 00
 e-mail: wojciech.rogowski@magodent.pl

STRESZCZENIE

Wstęp. Finansowanie wysokokosztowych metod leczenia jest możliwe głównie w ramach programów lekowych. Proces tworzenia programów lekowych uwzględnia potrzebę udostępnienia chorym nowoczesnych metod leczenia i jednocześnie możliwości finansowania z budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia. Dla lekarza, oprócz wiedzy medycznej, niezbędne są również zrozumienie ogólnych zasad działania programów lekowych, znajomość źródeł informacji, wiedza o ośrodkach prowadzących programy oraz świadomość możliwych do wykorzystania szans i zagrożeń, jakie mogą pojawić się na ścieżce chorego.

Materiał i metody. Przeprowadzono strategiczną analizę aktualnych onkologicznych programów lekowych w celu identyfikacji ich silnych i słabych stron oraz szans i zagrożeń. W analizie zachowano perspektywę lekarzy zajmujących się chorymi z podejrzeniem lub rozpoznaniem choroby nowotworowej.

Wyniki. Dostęp do nowoczesnych leków zbliża możliwości polskich lekarzy do światowych standardów oraz poszerza możliwości leczenia chorych w Polsce w zakresie niezwykle kosztownych metod. Kryteria kwalifikowania do programów wykluczają niestety część chorych, chociaż zastosowanie terapii byłoby uzasadnione na podstawie obecnego stanu wiedzy. Realizacja programów w niewłaściwych ośrodkach onkologicznych i jednoczesny brak kompleksowości postępowania oraz niedostateczna współpraca między ośrodkami mogą powodować wydłużenie czasu oczekiwania na rozpoczęcie leczenia. Dodatkowo obciążenie zadaniami sprawozdawczymi i obawy przed penalizacją za niespełnienie rygorystycznych wymogów grożą spadkiem motywacji do kontraktowania i realizacji programów oraz kwalifikowaniem chorych do innego — często suboptymalnego — leczenia.

Wnioski. Lekarze mogą ograniczać zagrożenia i wykorzystywać szanse w niektórych obszarach funkcjonowania programów lekowych. Działania te są kluczem do pełnego wykorzystania ich potencjału. Motywacja i wiedza na temat możliwości terapeutycznych, kryteriów kwalifikacji do programów, zasobów ośrodków je prowadzących dają możliwości optymalnego wykorzystania zalet programów lekowych mimo ich wad.

Słowa kluczowe: programy lekowe, finansowanie, koszty terapii, nowotwór

ABSTRACT

Introduction. Financing high-cost treatments is possible mainly within drug programs. The process of developing drug programs takes into account the need to provide patients with modern treatment methods and, at the same time, funding capability of the National Health Fund. For the doctor, in addition to medical knowledge, it is also necessary to understand the general principles of drug programs, have knowledge about sources of information and centers that run programs and be aware of possible opportunities and threats for the patient.

Material and methods. A strategic analysis of current oncology drug programs was carried out to identify their strengths, weaknesses, opportunities and threats. The analysis was performed from the perspective of doctors dealing with patients with suspected or diagnosed cancer.

Results. Thanks to access to modern medicines the capabilities of Polish doctors are similar to global standards and the patients in Poland can be offered the extremely expensive methods of treatment. Unfortunately, the eligibility criteria for drug programs exclude some patients, although the use of therapy would

be justified on the basis of the current state of knowledge. Implementation of programs in inadequate oncology centers and simultaneous lack of complexity of proceedings as well as insufficient cooperation between centers may result in delayed initiation of treatment. Additionally, the burden of reporting tasks and fear of penalization for failure to meet rigorous requirements may lead to a decrease in the motivation to contract and implement programs and to qualify patients for another — often suboptimal — treatment.

Conclusions. Doctors can limit the risks and use the opportunities in some areas of the functioning of drug programs. These activities are the key to making full use of their potential. Motivation and knowledge about therapeutic options, eligibility criteria for programs, resources of centers providing the programs enable optimal use of the advantages of drug programs despite their limitations.

Key words: drug programs, financing, cost of therapy, cancer

Copyright © 2018 Via Medica
ISSN 2450-1646

Wstęp

Programy lekowe są świadczeniem gwarantowanym stanowiącym — obok refundacji aptecznej i katalogu chemioterapii — istotną metodę finansowania leczenia przeciwnowotworowego. W ramach programów lekowych chorzy uzyskują bezpłatny dostęp do innowacyjnych i kosztownych terapii, które nie mają innych źródeł finansowania [1]. Programy lekowe szczegółowo opisują sposób podawania i dawkowanie leków oraz procedury monitorowania leczenia. Jednocześnie wprowadzenie kryteriów kwalifikowania do leczenia powoduje, że leczenie w programach może być stosowane u chorych o ściśle określonej charakterystyce klinicznej [1]. W związku z wykorzystywanym w procesie refundacyjnym kryterium efektywności kosztowej, metody leczenia wymagające wysokich nakładów finansowych przeznaczane są dla chorych, którzy powinni odnosić największe korzyści kliniczne z terapii, oraz chorych, u których zastosowanie innych opcji terapeutycznych jest zwykle mniej skuteczne. Programy lekowe stanowią kompromis między potrzebami chorych pod względem nowoczesnych metod leczenia a możliwościami płatnika. Jak każdy kompromis, rozwiązania te posiadają swoje zalety i wady, oferują jednym chorym szanse, dla innych mogą stanowić istotną barierę.

W czasach gdy każdy lekarz powinien posiadać podstawową wiedzę z zakresu onkologii, chcemy przedstawić zasady działania programów lekowych w onkologii szerokiemu gronu lekarzy i wskazać, w jaki sposób wykorzystać szanse stwarzane przez programy lekowe oraz ograniczyć zagrożenia i niebezpieczeństwa dla chorych i lekarzy związane z oferowaniem suboptymalnego leczenia.

Nieustanny rozwój

Liczby programów lekowych i chorych kwalifikowanych do leczenia rosną z każdym rokiem, co pozwala niwelować opóźnienia w dostępie do nowoczesnych terapii i sprostać wyzwaniom epidemiologicznym. Pro-

gramy lekowe stanowią najdynamiczniej rozwijający się segment rynku szpitalnego i aktualnie główny sposób finansowania dostępu do innowacyjnych metod leczenia przeciwnowotworowego w Polsce. Na refundację leków dostępnych w programach lekowych (w tym nieonkologicznych) i chemioterapii Narodowy Fundusz Zdrowia (NFZ) wydał w 2017 roku łącznie 3,64 mld zł, co stanowi wzrost nakładów o 3,1% w stosunku do roku 2016 [2]. Na leki stosowane w chorobach nowotworowych wydano 1,54 mld zł [3]. W Polsce w maju 2018 roku funkcjonowało 100 programów lekowych, z czego 32 onkologicznych i 68 nieonkologicznych [1]. Dla porównania w końcu 2013 roku wszystkich programów było 55 [4]. Razem z liczbą programów wzrasta liczba leczonych chorych. W 2016 roku ponad 101 tys. pacjentów (dane NFZ) zostało objętych leczeniem w ramach programów lekowych, w tym 21 tys. w programach onkologicznych, co oznacza wzrost o 40% wobec 2014 roku i o ponad 90% w porównaniu z 2011 rokiem (tzn. czas bezpośrednio przed nowelizacją ustawy refundacyjnej, która ówczesne programy terapeutyczne zmieniła w programy lekowe) [5]. Nowelizacja ustawy refundacyjnej przyspieszyła rozwój programów lekowych. Poprzednie przepisy nie określały podmiotów uprawnionych do wnioskowania, trybu składania wniosków oraz sposobu i terminu ich rozpatrywania. Na rycinie 1 podsumowano aktualny stan rozwoju onkologicznych programów lekowych.

Jak powstaje program lekowy?

Pierwszym krokiem do objęcia refundacją produktu leczniczego w ramach programu lekowego jest złożenie przez producenta wniosku do Ministerstwa Zdrowia [6]. Ustawowy czas rozpatrywania wniosku nie powinien przekroczyć 180 dni. Rzeczywisty czas procedowania wniosku jest jednak często dłuższy (np. ze względu na zawieszenia przez wnioskodawców postępowań) [4]. Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) dokonuje analizy weryfikacyjnej, a Rada Przejrzystości i Prezes AOTMiT przedstawiają stanowisko i rekomendację ministrowi zdrowia. Producent

negocjuje z komisją ekonomiczną Ministerstwa Zdrowia (MZ) cenę zbytu netto i instrumenty podziału ryzyka, a co najważniejsze z medycznego punktu widzenia, również treść programu lekowego. Ustawowo 60 dni to czas przewidziany na uzgodnienie treści programu lekowego pomiędzy wnioskodawcą a ministrem zdrowia, czyli krytycznego elementu opisującego medyczne aspekty realizacji każdego programu [6]. Według zapowiedzi przedstawicieli MZ kolejna nowelizacja ustawy refundacyjnej miałaby wprowadzić zmiany, w których o kształcie programu lekowego decydowałby minister wraz z zespołem ekspertów, a nie, jak obecnie, minister z producentami leków, których zgoda jest niezbędna między innymi na dodanie nowego produktu do istniejącego już programu lekowego [8]. Niemniej jednak opis programu lekowego determinuje zarówno liczbę chorych, którzy z niego skorzystają, jak i obciążenie budżetu płatnika. W przypadku pozytywnego rozpatrzenia wniosku leki objęte refundacją w ramach programu lekowego znajdą się w załączniku do obwieszczenia refundacyjnego publikowanego co 2 miesiące.

Rozpoczęcie obowiązywania nowego obwieszczenia refundacyjnego nie jest jednak równoznaczne z natychmiastowym udostępnieniem leku z programu. Kolejny etap stanowi ogłoszenie przez oddziały wojewódzkie NFZ postępowania w sprawie zawarcia umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w tym zakresie. Podmioty, które spełniają wymogi formalne i organizacyjne oraz chcą leczyć chorych w ramach programów lekowych, biorą udział w konkursie ofert poprzedzającym zawarcie umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej. Dopiero ogłoszenie wyników konkursu umożliwia rozpoczęcie kwalifikacji chorych. W przypadku leków przeciwnowotworowych między wejściem w życie obwieszczenia refundacyjnego a faktycznym udostępnieniem leku mija jeszcze zwykle kilka miesięcy. W niektórych przypadkach opóźnienie w dostępie do nowoczesnych terapii udaje się częściowo skompensować darowiznami przekazywanymi przez producentów leków, jednak rozliczenie kosztów ich podania i dodatkowej diagnostyki bywa najczęściej kwestionowane przez NFZ [8]. Najlepszym źródłem informacji na temat aktualnych umów zawartych na realizację poszczególnych programów lekowych jest elektroniczny wykaz umów prowadzony przez NFZ [9].

Jak zbudowany jest program lekowy?

W opublikowanym przez Ministerstwo Zdrowia załączniku do programu lekowego znajduje się opis zawierający:

- charakterystykę świadczeniobiorców z wyszczególnieniem kryteriów kwalifikacji i wyłączenia z leczenia danym lekiem oraz czasem trwania terapii;
- schemat dawkowania i sposób podawania leku(-ów);

— rodzaj i częstość wykonywania badań diagnostycznych wykonywanych podczas kwalifikacji do leczenia i w trakcie jego monitorowania (ryc. 1).

Decyzję o kwalifikacji chorego podejmuje lekarz pracujący w ośrodku prowadzącym dany program lekowy. Leczenie odbywa się według opisu programu i jest monitorowane w odpowiedni sposób. W niektórych przypadkach kwalifikacja chorych może być przeprowadzana przez zewnętrzne zespoły koordynacyjne na podstawie danych przekazywanych przez lekarza.

Oprócz wprowadzania danych do dokumentacji medycznej pacjenta wymagane jest uzupełnianie rejestru Systemu Monitorowania Programów Terapeutycznych (SMPT), dostępnego za pomocą aplikacji internetowej, udostępnionej przez oddziały wojewódzkie NFZ.

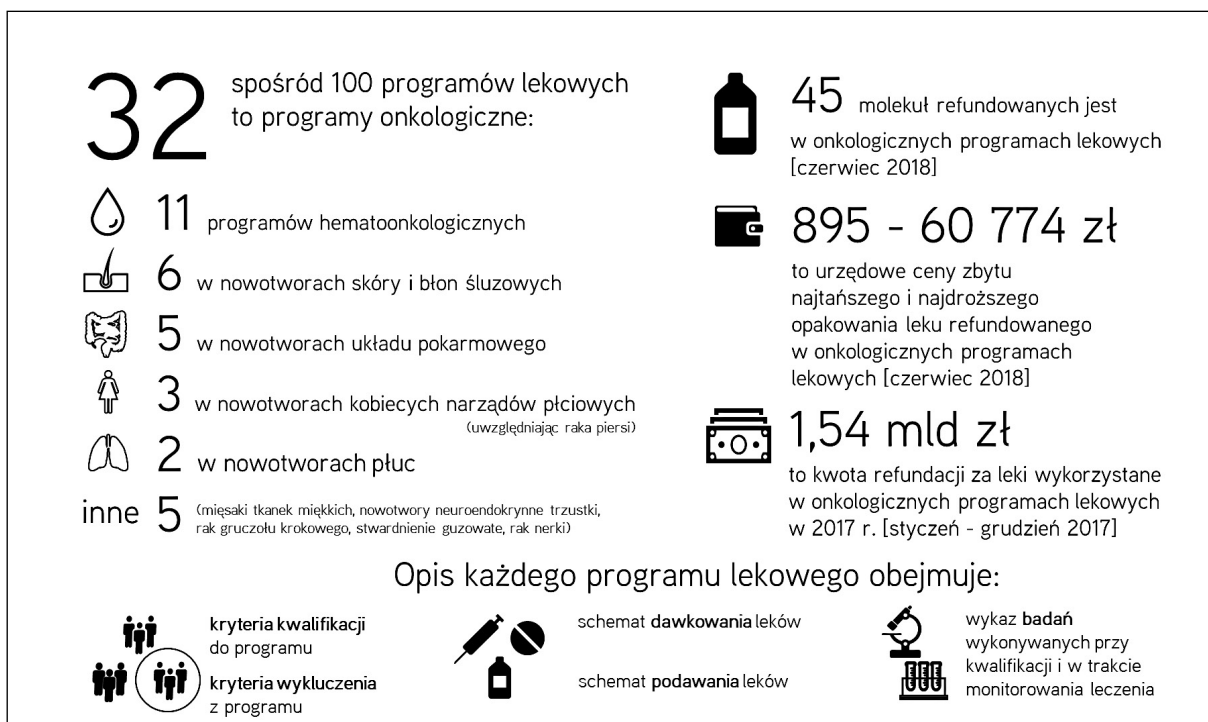
Analiza SWOT

Przeprowadzono analizę mocnych i słabych stron, szans i zagrożeń programów (SWOT, *strengths, weaknesses, opportunities i threats*) lekowych w celu pogłębienia dyskusji na temat sposobów efektywnego i równego udostępnienia chorym najnowocześniejszych metod leczenia przeciwnowotworowego i wyeliminowania utrudnień w optymalnym wykorzystaniu potencjału programów lekowych. Głównym celem analizy była identyfikacja kluczowych czynników, determinujących efektywne wykorzystanie potencjału terapeutycznego programów i umożliwienie dalszej dyskusji na temat podejmowania działań w tym obszarze (tab. 1). Analizowanych czynników nie ograniczono do rozwiązań systemowych, ale uwzględniono również takie, które pozostają w gestii indywidualnych działań lekarzy.

System opieki zdrowotnej będzie podlegał ciągłym zmianom rozłożonym w czasie. Jednak pacjenci potrzebujący pomocy i skoordynowania ich procesu diagnostyczno-leczniczego oczekują optymalnych rozwiązań już dziś. Systemowa analiza SWOT umożliwi lekarzom realizującym programy lekowe lepiej wykorzystać istniejące możliwości i ułatwi merytoryczną dyskusję środowiska onkologicznego z resortem zdrowia.

Mocne strony

Programy lekowe posiadają wiele mocnych stron, których brakowało wcześniejszym rozwiązaniom. Ich istnienie świadczy o tym, że są docenianym i dostrzeżonym przez MZ oraz NFZ źródłem zdrowotnych korzyści nowoczesnych metod farmakoterapii. Programy dają chorym możliwość leczenia przy użyciu innowacyjnych i kosztownych leków, które byłyby poza zasięgiem finansowym przeciętnego chorego. Wyrównuje to szanse dostępu do świadczeń między osobami o różnym poziomie zamożności. Co ważne, z perspektywy chorego udział



Rycina 1. Onkologiczne programy lekowe w Polsce w czerwcu 2018 roku

Tabela 1. Analiza SWOT onkologicznych programów lekowych

Mocne strony (Strengths)

- Docenienie przez MZ efektywności i korzyści ze stosowania niektórych innowacyjnych terapii
- Dostęp pacjentów do nowoczesnych i kosztownych form leczenia
- Zmniejszenie nierówności w dostępie do leczenia spowodowanych statusem ekonomicznym pacjenta
- Wydłużenie życia pacjentów i poprawa jego jakości
- Kompleksowa diagnostyka i opieka nad pacjentem
- Jednoznaczne zasady kwalifikacji do udzielania świadczeń

Szanse (Opportunities)

- Zwiększenie finansowania programów lekowych
- Uwzględnienie w procesie decyzyjnym kosztów społecznych z powodu nowotworów
- Poprawa dostępności świadczeń przez zwiększenie liczby ośrodków uczestniczących w programach i ich kompetencji
- Zwiększenie motywacji lekarzy do lepszego wykorzystania istniejących programów lekowych
- Rozwój opieki koordynowanej
- Wprowadzenie normatywnych wytycznych dotyczących postępowania diagnostyczno-terapeutycznego

Słabe strony (Weaknesses)

- Zbyt niski poziom finansowania programów lekowych
- Brak spójności z międzynarodowymi standardami terapii i wskazaniami rejestracyjnymi leków
- Wciąż ograniczony dostęp do wielu terapii
- Rygorystyczne kryteria kwalifikacji do programów
- Uzależnienie możliwości wprowadzenia zmian w programie od zgody producenta leku
- Ograniczona liczba świadczeniodawców prowadzących niektóre programy
- Problematiczne rozliczanie leków w ramach instrumentów dzielenia ryzyka
- Pracochłonność i czasochłonność procesu kwalifikacji pacjenta do programów i jego monitorowania

Zagrożenia (Threats)

- Niedoszacowanie potrzeb finansowania programów lekowych
- Fragmentacja, brak koordynacji i kompleksowości procesu diagnostyczno-terapeutycznego
- Nieprzestrzeganie zaleceń dotyczących postępowania diagnostyczno-leczniczego
- Zaniechanie kwalifikowania pacjentów do programów i leczenie suboptymalne
- Obniżona motywacja do kwalifikacji pacjentów z powodu biurokracji i obawy przed generowaniem zadłużenia ośrodka po przekroczeniu limitu określonego w umowie z NFZ
- Pogorszenie stanu zdrowia chorych i rokowania w oczekiwaniu na kwalifikację do leczenia
- Ryzyko wycofania się MZ z finansowania programu lekowego lub wprowadzenia zmian uniemożliwiających kontynuowanie rozpoczętego leczenia

w programie lekowym polega nie tylko na bezpłatnym udostępnieniu leku, ale również zapewnia możliwość prowadzenia odpowiedniej diagnostyki i opieki medycznej, trwających przez cały czas leczenia.

Dzięki programom lekowym standardy leczenia w Polsce ulegają podwyższeniu, a dystans dzielący nas od standardów światowej medycyny skraca się. Zastosowanie najnowocześniejszych leków przyczynia się do wydłużenia życia chorych oraz do poprawy jego jakości.

Ustalone wymagania względem szpitali i jasne procedury obowiązujące przy kwalifikacji i monitorowaniu efektów leczenia mają podwójną zaletę — z jednej strony pozwalają na kontrolę budżetu płatnika, a z drugiej — mogą stanowić jasną informację dla lekarza, definiują zasady i drogę postępowania. Przejrzyste kryteria nie oznaczają jednak zgodności z aktualną wiedzą medyczną i niejednokrotnie stoją w sprzeczności z indywidualnym podejściem do każdego pacjenta i jego potrzeb.

Słabe strony

Jak wspomniano na wstępie, programy lekowe stanowią kompromis między potrzebami medycznymi chorych a koniecznością kontroli budżetu płatnika publicznego, a więc nie są optymalnym rozwiązaniem dla wszystkich chorych.

Nie istnieje idealny system ochrony zdrowia, jednak w Polsce chorzy są leczeni zwykle gorzej, niż zalecają standardy czołowych towarzystw naukowych, na przykład amerykańskiej *National Comprehensive Cancer Network* (NCCN) i europejskiego *European Society for Medical Oncology* (ESMO). Analiza wskaźników 5-letnich przeżyć chorych na nowotwory wskazuje, że Polska należy do krajów, których systemy ochrony zdrowia gorzej radzą sobie z chorymi niż większość krajów europejskich [10].

W latach 2011–2016 na świecie zarejestrowano 68 różnych cząsteczek w ponad 22 wskazaniach onkologicznych (z czego wiele zarejestrowano w więcej niż jednym wskazaniu). Najwięcej nowych leków zarejestrowano w terapii chłoniaków, białaczek, raka płuca, czerniaka i szpiczaka plazmocytozy [11]. Oceniono liczbę leków zarejestrowanych w Europie w latach 2011–2016 w wymienionych obszarach terapeutycznych, ile było dostępnych dla polskich pacjentów? — wynik przedstawiono na rycinie 2. Aż 7, czyli niemal wszystkie zarejestrowane leki, są aktualnie dostępne dla chorych na czerniaki w ramach trzech programów lekowych. Nowe rejestracje inhibitorów PD-1, BRAF, MEK i anty-CTLA4 w czerniakach spowodowały, że liczba leczonych chorych na świecie niemal się potroiła [11], co dotyczy również Polski. Zdecydowanie mniej, bo od 40% do 54% spośród wszystkich zarejestrowanych molekuł, dostępnych jest

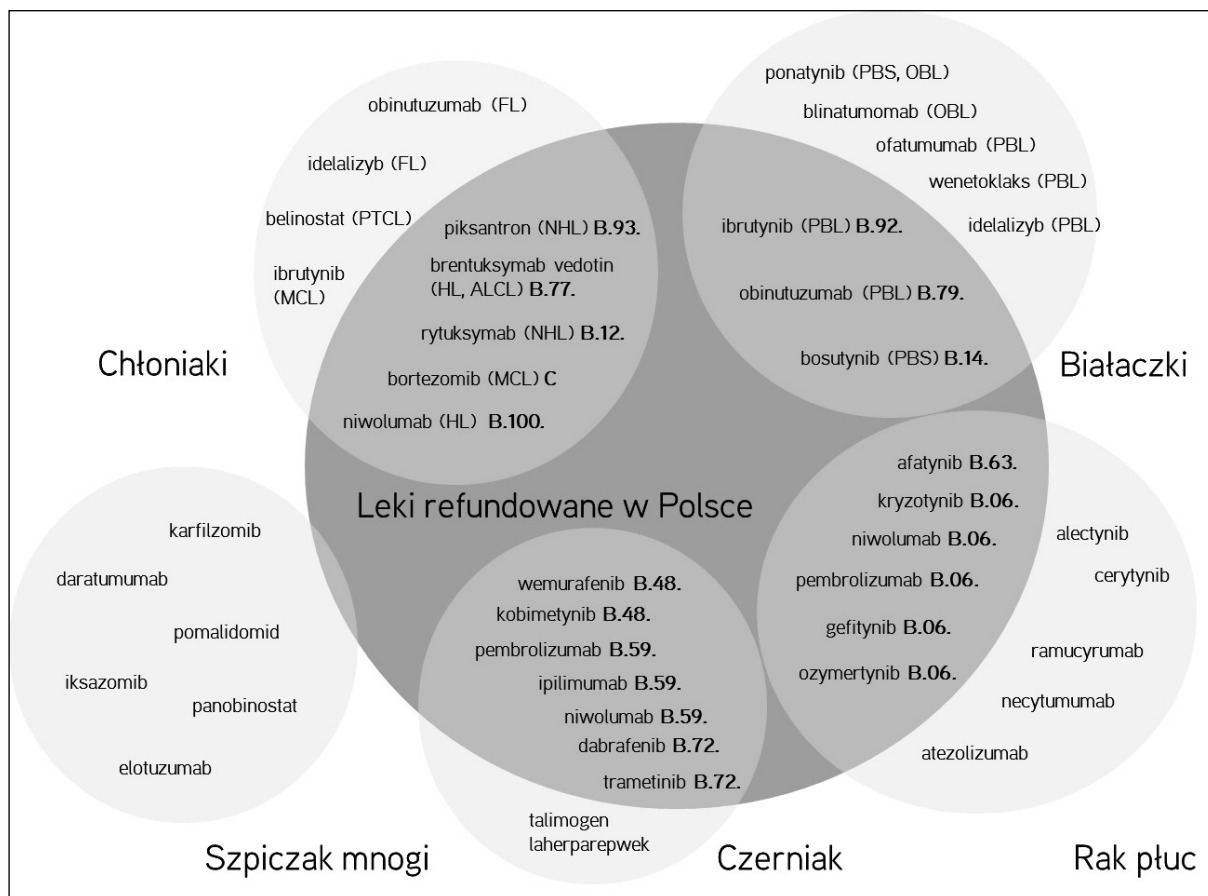
dla chorych z rozpoznaniem różnych typów chłoniaków i białaczek oraz niedrobnokomórkowego raka płuca (NDRP). Na opublikowanej w kwietniu 2018 roku liście leków refundowanych w programie lekowym B.06. (*Leżenie niedrobnokomórkowego raka płuca*) [12], znalazły się długo oczekiwane przez chorych i klinicystów leki z zamiennymi poprawiające całkowity czas przeżycia, takie jak niwolumab i pembrolizumab [13]. Mimo że rak płuca jest najczęściej rozpoznawanym nowotworem, to w 2015 roku wydatki na programy lekowe dla chorych na ten nowotwór stanowiły tylko 3% wszystkich nakładów NFZ na onkologiczne programy lekowe [14].

Wspomniane wyżej pozytywne decyzje refundacyjne nie zmieniają jednak ogólnego obrazu dostępności leków onkologicznych. Nie w każdym zakresie onkologii rozwój programów lekowych jest proporcjonalny do potrzeb i oczekiwań chorych i klinicystów. Dla porównania, żaden z zarejestrowanych w tej dekadzie leków stosowanych w szpiczaku plazmocytozy nie jest refundowany w Polsce (ryc. 2). Oznacza to, że polscy chorzy nie mogą w pełni stać się beneficjentami postępu, jaki dokonał się w ostatnich latach w terapii szpiczaka, polegającym na wprowadzeniu leków III generacji, w tym leków biologicznych. Obrazuje to różnicę w dostępie chorych do nowoczesnego leczenia przeciwnowotworowego w zależności od rodzaju nowotworu.

Fakt objęcia leku refundacją w ramach programu lekowego nie oznacza, że możliwe jest jego stosowanie zgodnie z aktualną wiedzą i praktyką kliniczną (np. zgodnie ze wspomnianymi wytycznymi dotyczącymi postępowania lub zgodnie z zapisami Charakterystyki Produktu Leczniczego). Wspomniane kryteria kwalifikowania i zakończenia leczenia są często bardziej restrykcyjne niż wskazania rejestracyjne poprzez wprowadzanie dodatkowych warunków klinicznych, które chory musi spełnić, aby mógł skorzystać z programu. Ograniczenia najczęściej powodują:

- uniemożliwienie zastosowania we wcześniejszych liniach leczenia lub
- wykluczenie możliwości zastosowania w kolejnych liniach leczenia w przypadku braku efektu w schemacie terapeutycznym, w jakim lek był podawany wcześniej.

Wielu chorych nie otrzymuje leczenia w stadium choroby lub w schemacie, w których można uzyskać najlepsze rezultaty. Zdarza się również, że zastosowanie jednego rodzaju leczenia wyklucza możliwość użycia innego leku. Przykładem jest sytuacja w programie leczenia chorych na NDRP [12], gdzie zastosowanie chemioterapii po niepowodzeniu leczenia pierwszej linii za pomocą inhibitora receptora naskórkowego czynnika wzrostu (EGFR, *epidermal growth factor receptor*) wyklucza możliwość wykorzystania ozymertynibu. Choć często optymalne sekwencje leczenia nie są znane, to decyzje o kolejności stosowania tych i innych leków



Rycina 2. Wykaz cząsteczek zarejestrowanych w latach 2011–2016 w Europie w 5 najbardziej rozwiniętych pod względem liczby nowych rejestracji obszarach terapeutycznych [10], które są refundowane w Polsce w czerwcu 2018 roku [1]. Dla cząsteczek refundowanych podano oznaczenie załącznika programu lekowego (B.XY), gdzie XY stanowi numer programu, lub C, jeśli lek jest dostępny w katalogu chemioterapii. W przypadku białaczek i chłoniaków w nawiasach podano wskazanie, w jakim cząsteczka została zarejestrowana; ALCL (*systemic anaplastic large cell lymphoma*) — chłoniak anaplastyczny dużych komórek FL (*follicular lymphoma*) — chłoniak grudkowy; HL (*Hodgkin's lymphoma*) — chłoniak Hodgkina; MCL (*mantle cell lymphoma*) — chłoniak z komórek płaszczki; NHL (*non-Hodgkin's lymphoma*) — chłoniaki niezłośliwe; OBL — ostra białaczka limfoblastyczna; PBL — przewlekła białaczka limfocytowa; PBS — przewlekła białaczka szpikowa; PTCL (*peripheral T-cell lymphoma*) — chłoniak z obwodowych komórek T

powinny być podejmowane po uwzględnieniu stopnia zaawansowania, zasięgu i tempa rozwoju nowotworu, obecności chorób współistniejących oraz preferencji pacjentów. Zdarza się również, że — mimo dostępności i zgodności z wytycznymi — leczenie pacjentów w ramach programu lekowego nie przebiega wystarczająco sprawnie. Za przykład może posłużyć stosowanie bewacyzumabu łącznie z chemioterapią, które nie było wykorzystywane z dostatecznym stopniem przez ośrodki prowadzące program lekowy. Aby zwiększyć odsetek chorych leczonych bewacyzumabem, zasady działania programu i wiedza niezbędna do jego realizacji stały się przedmiotem odrębnych opracowań [15]. Pokazuje to, że sama znajomość treści programu może nie być wystarczająca i czasem wymaga dodatkowej wiedzy i osobnego komentarza. Również wcześniejszy raport obejmujący wyniki kontroli Najwyższej Izby Kontroli

(NIK) w jednostkach prowadzących programy lekowe wskazywał, że kierownicy kontrolowanych placówek zwracali uwagę na restrykcyjnie zaostrzone kryteria kwalifikowania do programów, w tym nieuzasadnione medycznie, które ograniczały liczbę pacjentów kwalifikujących się do objęcia leczeniem w ramach niektórych programów [4]. Zapisy programów nie powinny być nadmiernie restrykcyjne, ale jednocześnie powinny zapewniać możliwość maksymalnego wykorzystania wartości leków przy zachowaniu bezpieczeństwa chorych.

Precyzyjne określenie wartości parametrów diagnostycznych i kryteriów klinicznych kwalifikujących do udziału w programie z jednej strony jest siłą programów zdrowotnych, dając jasne wytyczne dotyczące postępowania i interpretacji zapisów. Jednak z drugiej strony, w konfrontacji z praktyką kliniczną i potrzebą indywidualizacji leczenia, restrykcyjnie zdefiniowane

wartości stają się zmorą klinicystów. Wytyczne dotyczące praktyki klinicznej zwykle nie posługują się sztywnymi normami charakterystycznymi dla programów lekowych. Wytyczne, które są nieelastyczne, mogą wręcz zaszkodzić chorym, pozostawiając niewystarczające pole manewru klinicystom, aby dostosować opiekę do indywidualnych okoliczności [16]. Niestety, wzorce wyznaczane przez programy lekowe nie biorą pod uwagę zmienności, jaka występuje w rzeczywistej praktyce klinicznej, co skutkuje ograniczeniem zindywidualizowanej opieki nad chorymi ze specjalnymi potrzebami. Z drugiej strony warto wziąć pod uwagę, że badania rejestracyjne leków prowadzone są w homogennej populacji chorych, a kryteria kwalifikacji do nich wykluczają część pacjentów spotykanych w codziennej praktyce klinicznej, na przykład pacjentów z chorobami współistniejącymi. Zapisy programów są pochodną między innymi tego, w jaki sposób prowadzone były badania kliniczne.

Dodatkową barierę stanowi przepis ustawy o refundacji leków [6], zgodnie z którym do aktualizacji danego programu lekowego wymagana jest zgoda producentów leków finansowanych w tym programie. Regulacja ta jest częstą przyczyną opóźnień w aktualizacji programów, w szczególności w sytuacji, gdy nowe doniesienia naukowe są niekorzystne dla producenta lub gdy aktualizacja rodzi znaczące konsekwencje finansowe dla płatnika publicznego. Obecnie nie ma innych mechanizmów, które umożliwiłyby wprowadzanie szybkich zmian w programach lekowych. Opisana sytuacja sprawia, że rozwój programów lekowych i ich aktualizacja względem wiedzy medycznej staje się polem rynkowej rywalizacji firm. Przykładem jest program lekowy leczenia raka gruczołu krokowego, w przypadku którego dodanie nowej cząsteczki spotkało się ze sprzeciwem producenta leku, który już był częścią programu [17]. W innych przypadkach, spoza onkologii, brak zgody na dodanie leków do programów lekowych skutkuje tworzeniem równoległych programów, takich jak B.32. i B32b. (*Leczenie choroby Leśniowskiego-Crohna*) [18] lub B.15. i B.95. (*Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B*) [19]. Według aktualnej praktyki, mimo że są to osobne programy lekowe, nie są one osobno kontraktowane przez NFZ. Według rejestru umów programy te realizowane są w tych samych jednostkach i nie posiadają wyodrębnionego budżetu [9]. Planowana nowelizacja ustawy refundacyjnej ma zmienić sposób podejmowania decyzji o tworzeniu i aktualizacji programów lekowych, dając większe kompetencje ekspertom klinicznym [7].

Uwzględnienie zmiany zarejestrowanych wskazań lub jedynie rozszerzenie populacji docelowej o nową grupę wiekową, dla której produkt leczniczy został zarejestrowany, to zmiany, które zwykle wymagają przejścia przez cały proces tworzenia programu. W odróżnieniu od innych świadczeń gwarantowanych akty normatywne odnoszące się do programów lekowych

(załączniki z opisami programów lekowych) określają obowiązki świadczeniodawcy na poziomie schematu dawkowania, sposobu podania oraz procedur monitorowania terapii (ryc. 1). Stąd brak mechanizmów dopuszczających jakiegokolwiek odstępnie przez lekarza prowadzącego od opisu programu jest słabością programów i może w pewnych sytuacjach ograniczać korzyści wynikające ze stosowania leków zgodnie z aktualną wiedzą medyczną. Stwarza również zagrożenie dla bezpieczeństwa terapii.

Systematyczne i możliwe szybkie wprowadzanie do praktyki klinicznej leków o udowodnionej skuteczności i efektywności kosztowej, w szczególności tych, których wartość terapeutyczna znalazła uznanie poprzez ich uwzględnienie w standardach terapeutycznych tworzonych przez uznane gremia krajowe i zagraniczne, spełniłoby oczekiwania chorych i lekarzy. Niestety, czas w przypadku udostępniania nowych leków działa na niekorzyść pacjentów onkologicznych. Procedura obejmowania refundacją nowych leków jest czasochłonna. Jak wskazuje NIK w swoim raporcie, okres pomiędzy wydaniem rekomendacji Prezesa AOTMiT dla ocenianego leku onkologicznego a jego pojawieniem się na liście refundacyjnej w 2016 roku wynosił średnio 460 dni [22]. Dla 4 leków, które znalazły się w 6 programach lekowych w 2018 roku średni czas od przesłania zlecenia do AOTMiT do chwili rozpoczęcia obowiązywania obwieszczenia refundacyjnego wyniósł 387 dni (minimum 130 dni dla panitumumabu w leczeniu raka jelita grubego i maksimum 599 dni dla niwolumabu w leczeniu raka nerkowokomórkowego).

Warto zaznaczyć, że wiele procesów refundacyjnych kończy się negatywnymi decyzjami ministra zdrowia, co wymusza na wnioskodawcach ponowne rozpoczęcie procedury (rejestr decyzji negatywnych nie jest publikowany przez MZ). To dodatkowo opóźnia wprowadzenie nowoczesnych metod leczenia do praktyki klinicznej o kolejne lata. Jednocześnie co raz częściej, z przyczyn biznesowych (referowanie do cen wynegocjowanych w innych krajach i brak elastyczności producenta podczas negocjacji), wprowadzenie innowacyjnego, wysokokosztowego leku na rynek polski ma miejsce nieco później niż w krajach Europy Zachodniej.

W przypadku wydania przez ministra zdrowia pozytywnej decyzji, od rozpoczęcia obowiązywania nowego obwieszczenia refundacyjnego mijają jeszcze dodatkowe miesiące, zanim lek zacznie być dostępny dla chorych. Najpierw ośrodki, które spełniają wymagania NFZ, muszą zakontraktować program lekowy, a następnie przeprowadzić procedury administracyjnie związane z zakupem leków. W konsekwencji lek staje się dostępny w ośrodkach wyłonionych w konkursie po upływie kolejnych miesięcy. Największa liczba świadczeniodawców w obszarze onkologicznym zlokalizowana jest w miastach wojewódzkich. Przeciętnie programy lekowe są

prowadzone w około co czwartym ośrodku klinicznym udzielającym gwarantowanych świadczeń z zakresu chemioterapii w Polsce. Oznacza to, że dostępność do leczenia w pewnych miejscach w Polsce może być ograniczona. Liczba ośrodków prowadzących programy lekowe różni się między województwami i również między programami. Programy leczenia chorych na nowotwory o wyższej zapadalności i większej liczbie dostępnych opcji terapeutycznych prowadzone są w większej liczbie ośrodków niż programy leczenia nowotworów rzadszych i oferujące pojedyncze produkty lecznicze. Zgodnie z danymi NFZ [9] niemal co drugi ośrodek stosujący chemioterapię w Polsce również bierze udział w programie lekowym dla chorych na raka jelita grubego, w którym dostępne są aż 4 produkty lecznicze stosowane we wszystkich liniach leczenia [21]. Jednak jedynie co dziesiąty ośrodek [9] bierze udział w programie lekowym leczenia czerniaka skóry lub błon śluzowych [22]. W tym przypadku powodem małego zainteresowania programem jest jego niska opłacalność dla ośrodków klinicznych. Rozliczanie ceny leku na jeden miligram podany choremu może powodować straty finansowe, w sytuacji gdy pozostającej po podaniu substancji nie można wykorzystać lub rozliczyć z płatnikiem. Sytuacja taka ma miejsce w przypadku ipilimumabu pakowanego po 50 mg i 200 mg, podawanego w dawce 3 mg/kg mc., gdzie 1 mg kosztuje ponad 300 zł. Podawanie zalecanej dawki leku pacjentowi o wadze 80 kg (dawka 240 mg) wiąże się ze stratą rzędu kilkunastu tysięcy złotych na kuracji jednego chorego (łącznie 4 podania) [22]. W przypadku leczenia raka płuc z mutacją w genie *EGFR* [12] ośrodków prowadzących program lekowy jest dużo wobec niewielkiej ogólnej liczby chorych w nich leczonych.

W czasie przeprowadzania niniejszej analizy (czerwiec 2018) w województwie opolskim nie było ani jednego świadczeniodawcy, który prowadziłby program leczenia wysokozróżnicowanego nowotworu neuroendokrynnego trzustki i program leczenia chorych na zaawansowanego raka podstawnokomórkowego skóry wismodegibem [9]. Mimo że pacjenci mogą korzystać z tych świadczeń w sąsiednich województwach, to brak świadczeniodawcy w województwie zamieszkania może stanowić ograniczenie dostępności do świadczenia gwarantowanego.

Szanse

Szanse dla programów lekowych wiążą się między innymi ze wzrostem budżetu przeznaczanego na ich realizację. Z jednej strony wiadomo, że w Polsce efekty leczenia chorych na nowotwory są gorsze w porównaniu z innymi krajami Europy [10], a z drugiej — prognoza demograficzna i epidemiologiczna dla Polski jest nieubłagana — szacuje się, że w okresie 2016–2029 liczba nowych przypadków nowotworów złośliwych

wzrośnie o 18% [23]. Nadrobienie zaległości minionych lat i sprostanie wyzwaniom epidemiologicznym wymagać będzie wyższych środków na ochronę zdrowia w zakresie profilaktyki, leczenia szpitalnego, chirurgii, diagnostyki i chemioterapii. W lipcu 2018 roku Sejm Rzeczypospolitej Polskiej przyjął ustawę nowelizującą ustawę o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych oraz niektóre inne ustawy [24]. Regulacja przewiduje stopniowy wzrost środków finansowych przeznaczanych na zdrowie do poziomu nie niższego niż 6% produktu krajowego brutto w 2024 roku i kolejnych latach. O zwiększenie nakładów na służbę zdrowia walczyli między innymi lekarze rezydenci. Należy to umiejętnie wykorzystać i mądrze wydać dodatkowe pieniądze na zdrowie. Inwestycje w zastosowanie najefektywniejszych terapii w odpowiednich schematach i optymalnych sekwencjach leczenia spowodują wydłużenie życia chorych. Dostępność terapii powinna przestać być rozpatrywana w Polsce wyłącznie w kategorii wydatku z budżetu płatnika, ale również w kategorii inwestycji w kapitał ludzki, która w przyszłości przyniesie korzyści gospodarcze. Konsekwencje ekonomiczne dla budżetu państwa spowodowane chorobami nowotworowymi są 6 razy większe niż koszty leczenia. W latach 2010–2014 NFZ przeznaczył na leczenie chorych na raka piersi, raka szyjki macicy oraz raka jajnika 3,29 mld zł, podczas gdy łączne koszty pośrednie spowodowane tymi nowotworami wyniosły 20,82 mld zł. Na koszty pośrednie złożyły się: straty ponoszone z powodów przedwczesnych zgonów (6,5 mld zł), niezdolność do pracy (5,9 mld zł), mniejsza wydajność w pracy (3,4 mld zł) oraz absencja w pracy (ponad 2,9 mld zł) [25]. Wskazuje to na istotne znaczenie analizy kosztów pośrednich, które pozwalają w pełni zobrazować konsekwencje ekonomiczne choroby w społeczeństwie. Analizy tego typu powinny stanowić integralny element procesu kształtowania polityki zdrowotnej [26].

W planie finansowym NFZ na 2018 rok przewidziano 3,65 mld zł na wszystkie programy lekowe [27]. O ile nakłady na nie będą nadal wzrastały, pojawi się perspektywa zwiększenia liczby ośrodków realizujących je zgodnie z potrzebami i posiadanymi możliwościami (zatrudnienie specjalistów, umiejętności i wyposażenie) oraz dofinansowania ich działalności. Rozwój sieci ośrodków działających w sposób skoordynowany poza dużymi aglomeracjami oraz miastami wojewódzkimi jest szansą na zmniejszenie nierówności w dostępie do nowoczesnej opieki medycznej (oczywiście z uwzględnieniem epidemiologicznej charakterystyki nowotworów). Zwiększenie liczby programów i obszaru ich realizacji zmniejszyłoby dystans dzielący polskie standardy leczenia od światowych.

Szansą na optymalne wykorzystanie istniejących możliwości leczenia chorych na nowotwory jest koordynacja działań diagnostycznych i terapeutycznych.

Odpowiednie pokierowanie osoby z podejrzeniem choroby nowotworowej w kierunku dalszej diagnostyki jest krytycznym elementem, od którego rozpoczyna się dalsza droga chorego. Jak wspomniano już wcześniej, upływ czasu gra na niekorzyść chorych na nowotwory, co dotyczy oczekiwania na refundację oraz czasu między podejrzeniem nowotworu, diagnozą i rozpoczęciem leczenia. Opieka nad chorym i wyznaczanie jego drogi od podejrzenia nowotworu przez diagnozę do leczenia spoczywa w rękach lekarzy.

Zagrożenia

System opieki zdrowotnej nie jest obecnie w stanie efektywnie skoordynować opieki nad chorymi na nowotwory. Z jednej strony niewydolne jest otoczenie organizacyjno-administracyjne. Z drugiej strony w ośrodkach nieprowadzących programów lekowych brakuje motywacji, aby wykonywać badania diagnostyczne, które kwalifikują chorych do programu i kierować do innych ośrodków.

Opracowane modele diagnostyki i leczenia chorych na raka piersi i raka płuca wskazują, że liczba zdarzeń składających się na indywidualną ścieżkę jest różna, a każdy element składający się na nią wydłuża okres do rozpoczęcia leczenia i jednocześnie zaangażowanie zasobów ochrony zdrowia, a co za tym idzie — zwiększa również koszty. Liczne wizyty u lekarzy specjalistów powodują niekorzystne opóźnienia w postawieniu prawidłowej diagnozy i rozpoczęciu właściwego leczenia. Również czas oczekiwania na przeprowadzenie badań obrazowych oraz patomorfologicznych i molekularnych determinuje możliwości zastosowania terapii spersonalizowanych, które są dostępne w ramach programów lekowych po spełnieniu określonych kryteriów kwalifikacji. Ogranicza to możliwości zastosowania spersonalizowanych metod leczenia [28]. Kontrola realizacji programów lekowych przez NIK przeprowadzona w latach 2013–2014 [4] wykazała, że nie było kolejek oczekujących na leczenie i świadczenia udzielne były na bieżąco tym chorym, którzy spełnili wszystkie wymagane kryteria. Termin rozpoczęcia leczenia zależał jednak od spełnienia warunków potrzebnych do realizacji świadczenia [4]. W konsekwencji czas potrzebny na wstępną i pogłębianą diagnostykę oddalał chwilę rozpoczęcia leczenia.




Niestety, droga do leczenia w istniejących programach lekowych bywa nie tylko wydłużona, ale również obciążona licznymi zaniechaniami przy koordynacji drogi chorych. Według raportu NIK, dotyczącego oceny dostępności i efektów leczenia nowotworów [20], niewykonanie badań kwalifikujących do udzielenia świadczeń skutkowało niezastosowaniem terapii spersonalizowanych i użyciem metod standardowych lub odsyłaniem chorych do innych ośrodków. Chorzy byli pozbawiani możliwości zastosowania niektórych dostępnych proce-

dur terapeutycznych co, jak wynikało z danych przekazanych do NIK przez konsultanta krajowego w dziedzinie onkologii klinicznej, mogło negatywnie wpływać na skuteczność postępowania [20].

Zdaniem specjalistów proces diagnostyczny w chorobach nowotworowych nie powinien trwać dłużej niż 4 tygodnie [29]. Proces ten często trwa jednak znacznie dłużej, jest nieskoordynowany i przerywany długimi okresami oczekiwania zarówno na wizytę u lekarza specjalisty, jak i na badania diagnostyczne oraz ich wynik. Bariere stanowi wykonanie badań wymagających specjalistycznej aparatury lub pracowni i kadry. Dotyczy to krytycznych dla diagnostyki immunohistochemicznej i molekularnej pracowni patomorfologii, których nie posiadała ponad połowa jednostek ambulatoryjnej opieki specjalistycznej i leczenia szpitalnego realizujących świadczenia w ramach pakietu onkologicznego [20]. W leczeniu szpitalnym w II kwartale 2016 roku 27,5% podmiotów realizujących pakiet onkologiczny zapewniało jednoczesny dostęp w ramach prowadzonej własnej działalności do badań laboratoryjnych, tomografii komputerowej, rezonansu magnetycznego oraz badań endoskopowych. Efektem tego była wędrowność chorych w celu skompletowania całej dokumentacji diagnostycznej, co znacznie opóźniało termin rozpoczęcia leczenia. Najwyższa Izba Kontroli w 2017 roku podkreśliła, że czas oczekiwania na tomografię komputerową i rezonans magnetyczny dla wszystkich chorych, w tym onkologicznych (bez karty diagnostyki i leczenia onkologicznego — DiLO) w ciągu 3 lat wydłużył się blisko 2-krotnie [20].

Miejsce zamieszkania chorego jest kolejnym czynnikiem mającym wpływ na szybkość wykonania badań obrazowych, co zależy od stanu sprawności, zasobów, możliwości i motywacji chorego, aby podróżować w celu uzyskania świadczeń zdrowotnych. W końcu 2016 roku chory bez karty DiLO skierowany w trybie pilnym przeciętnie oczekiwał na badanie tomografii komputerowej od 7 dni w województwie lubelskim do 49 dni w województwie pomorskim [20]. Wyniki kontroli NIK wskazały, że wprowadzenie pakietu onkologicznego nie doprowadziło do znaczącej poprawy w zakresie diagnostyki, kompleksowości i jakości udzielanych świadczeń. Z kolei badanie Fundacji Onkologicznej 2025, w którym uczestniczyło 356 chorych leczonych w ramach pakietu onkologicznego, wskazało, że na przełomie 2015/2016 roku łączny, realny czas oczekiwania od podejrzenia do rozpoczęcia leczenia onkologicznego wyniósł średnio 74 dni (tj. 3 dni mniej niż na przełomie 2014/2015). Zdiagnozowanie choroby zajmowało średnio 35 dni. Czas od diagnozy do rozpoczęcia leczenia (pogłębianą diagnostyką) — kolejne 37 dni. Dla chorych bez kart DiLO (n = 70) przeciętny czas oczekiwania na leczenie wyniósł średnio 85 dni [30].

Zbyt długie oczekiwanie na diagnostykę może pogorszyć rokowanie. W czasie oczekiwania na leczenie

	% pacjentów diagnozowanych w IV stadium zaawansowania [23]	% chorych przeżywiających 1 rok od diagnozy [23]	Czas przeżycia	Przeciętny czas od podejrzenia do rozpoczęcia leczenia w Polsce [30]
 Rak trzustki	68%	23%	3–6 miesiące [31]	
 Rak wątrobowokomórkowy	62%	32%	6–20 miesiące [32]	2,5 miesiąca
 Rak przełyku	59%	29%	Kilka miesięcy [31]	

Rycina 3. Czas przeżycia pacjentów z najpóźniej diagnozowanymi w Polsce nowotworami w zestawieniu z przeciętnym czasem oczekiwania od podejrzenia do rozpoczęcia leczenia choroby nowotworowej w Polsce na przełomie 2015/2016 roku

stan chorego może pogorszyć się na tyle, że w efekcie uniemożliwi mu skorzystanie z programu lekowego (np. ze względu na pogorszenie stanu sprawności będącego elementem kwalifikacji do programu). Dlatego zgodnie z zaleceniami Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej badania immunohistochemiczne i molekularne należy wykonywać u każdego chorego, u którego zdiagnozowano typ raka mogący zawierać zmianę molekularną stanowiącą podstawę leczenia celowanego [20]. Niestety, wytyczne te dotychczas nie mają charakteru normatywnego. Niewykonywanie tych badań, w sytuacji gdy na podstawie wyników można zastosować zindywidualizowaną terapię, jest marnowaniem szansy, jaką dają programy lekowe. Implementacja normatywnych zaleceń zasad diagnostyki i leczenia oraz ich systematyczna aktualizacja zgodna z postępem medycyny to droga do wprowadzenia jednolitych standardów jakościowych wobec wszystkich świadczeniobiorców.

Na rycinie 3 przedstawiono charakterystykę kliniczną i rokowanie dla trzech najpóźniej diagnozowanych nowotworów w Polsce (stadium IV) z przeciętnym czasem oczekiwania na rozpoczęcie leczenia. Oczekiwanie na leczenie wynoszące około 2,5 miesiąca, to w przypadku raka trzustki niemal tyle co minimalny czas przeżycia. Dla wymienionych nowotworów dysponujemy w Polsce różnymi sposobami leczenia, od chirurgicznych, przez leki z katalogu chemioterapii, po programy lekowe w przypadku raka trzustki i wątrobowokomórkowego [33, 34]. Niezależnie od sposobu leczenia, ze względu na późną diagnozę i wysoką agresywność tych chorób, w ich procesie diagnostyczno-terapeutycznym liczy się czas — opóźnienie kwalifikacji do leczenia zgodnego z wiedzą medyczną i możliwościami oferowanymi przez system opieki medycznej istotnie zmniejsza szanse na prze-

życie chorych. W przypadku raka trzustki wyzwaniem jest sprawne skoordynowanie procesu kwalifikowania do programu, który oferuje możliwość zastosowania leczenia znamienne przedłużającego czas przeżycia [33]. Podobne wyzwania stoją przed lekarzami kwalifikującymi pacjentów do systemowego leczenia raka wątrobowokomórkowego, dla których kluczowe znaczenie odgrywa dobry stan ogólny, odpowiednia wydolność wątroby oraz spełnienie określonych wymogów co do badań stanowiących podstawę diagnozy [34].

Kolejne zagrożenie dla efektywnej realizacji programów lekowych stanowi nadmierna biurokracja oraz widmo kar finansowych za błędy administracyjne grożących zarówno placówkom leczniczym, jak i lekarzom. Czynniki te mogą demotywować ośrodki do zakontraktowania tego zakresu świadczeń. Natomiast lekarzy stawiają niekiedy przed wyborem między czasochłonnym i kosztocłonnym procesem kwalifikacji chorego do programu a zastosowaniem leczenia być może suboptymalnego, ale znacznie mniej czasochłonnego i nieobciążonego groźbą kary. Jednak pacjentowi udział w programie lekowym przysługuje na mocy ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych [35]. Mając to na względzie, lekarz już przy wstępnej diagnozie powinien rozważyć leczenie w odpowiednim programie lekowym. W przypadku decyzji o niekierowaniu chorego do dalszej diagnostyki i leczenia w programie lekarz powinien udokumentować przyczyny tej decyzji, z taką samą starannością, jak robi to lekarz kwalifikujący pacjenta w ośrodku prowadzącym program. Zaniechanie w tym zakresie jest nie tylko zagrożeniem dla wykorzystania potencjału programów lekowych, ale również naraża na potencjalne roszczenia związane z ograniczeniem dostępu do leczenia i możli-

wym narażeniem chorego na utratę zdrowia. Programy lekowe mają charakter świadczeń ratujących zdrowie i życie. Stąd wszelkie zaniechania w zakresie kierowania i kwalifikacji pacjentów do przysługującego im leczenia mogą być traktowane jako przejaw dyskryminacji chorych i narażenie ich na pogorszenie stanu zdrowia oraz stanowić podstawę do nakładania kar i roszczeń prawnych.

Wdrażanie kolejnych programów lekowych jest słuszną, zasługującą na pełne poparcie inicjatywą. Niemniej ryzyko zmiany decyzji dotyczących zasad funkcjonowania poszczególnych programów lekowych może w niektórych przypadkach budzić niepokój wśród lekarzy i chorych. Zmieniające się dynamicznie listy refundacyjne wprowadzają różnego rodzaju zmiany — pojawiają się nowe programy, do istniejących dodawane są nowe leki, leki z programów przechodzą do katalogu chemioterapii. Zdarzało się również, że zmieniały się kryteria kwalifikowania do leczenia danym lekiem w taki sposób, że przestawał on być dostępny dla części chorych uprzednio leczonych. Przykładem może być wemurafenib, który w 2015 roku stał się dostępny tylko dla chorych rozpoczynających leczenie z powodu czerniaka, jednocześnie wykluczając tych stosujących lek w drugiej linii leczenia [36]. Możliwe jest także usunięcie leku z listy leków refundowanych, gdyż każda decyzja refundacyjna obowiązuje przez określony czas.

Wnioski

Jednym z największych wyzwań stojących przed systemem ochrony zdrowia w Polsce jest zapewnienie równości dostępu do świadczeń medycznych pacjentom w całym kraju. Istnieje znacząca dysproporcja między tym, co gwarantuje koszyk świadczeń chorym na nowotwory, a zasobami systemu, który ma go realizować. Skutkuje to wydłużonym czasem oczekiwania chorych na świadczenia zdrowotne udzielane w sposób wieloetapowy, co negatywnie wpływa na stan chorego. Niepokój chorych i ich rodzin, będących pod wpływem silnego stresu, przy braku koordynacji ich ścieżki diagnostyczno-terapeutycznej, skutkuje działaniem na własną rękę i poszukiwaniem niepublicznej placówki, która szybciej wykona potrzebne badania lub umożliwi dostęp do konsultacji specjalistycznej. W placówkach realizujących pakiet onkologiczny odpowiedzialność za terminowość konsultacji osób posiadających karty DiLO i decyzja o szybszym przyjęciu przerzucana bywa na lekarzy. Zdarza się również, że ośrodki nie honorują kart DiLO [37]. Ogólna niewydolność publicznego systemu ochrony zdrowia, dostrzegana przez lekarzy, może prowadzić do spadku ich motywacji i kolejnych zaniechań. Biurokracja również nie sprzyja leczeniu w ramach programów. Czynniki te przyczyniają się do ograniczenia potencjału programów lekowych.

Rzeczywistość będzie się zmieniać w kolejnych latach w zależności od priorytetów ustalanych przez rząd i resort zdrowia, jednak trudno wskazać dziś jej docelowy kształt, gdy wszystko podlega ciągłej ewolucji.

Obecne opracowanie pokazuje zalety i istotne ograniczenia istniejących programów lekowych, na które lekarz ma niewielki wpływ. Należy dążyć do optymalnego wykorzystania programów i eliminowania istniejących zagrożeń w dostępie chorych do innowacyjnych metod leczenia.

Pierwszym krokiem na drodze wskazanej optymalizacji powinna być systematycznie aktualizowana wiedza na temat możliwości terapeutycznych oferowanych przez programy lekowe oraz jasne, niepozostawiające wątpliwości, kryteria włączenia i wykluczenia chorych. Wiele kryteriów klinicznych (np. stopień sprawności, wydolność narządowa oraz rodzaje wcześniej zastosowanych metod leczenia) pozwala na wstępną identyfikację kandydatów do udziału w programach lekowych. Wynik wstępnej kwalifikacji do programu lekowego należy każdorazowo dokumentować. Jednak, jak wykazały kontrole NIK, zdarzały się sytuacje, że nawet chorym, kwalifikującym się do leczenia, świadczenia nie były udzielane [4, 20]. Niedostępność odpowiedniego leczenia lub zastosowanie leczenia suboptymalnego mogą doprowadzić do zagrożenia zdrowia lub życia chorych. Programy lekowe mają charakter świadczeń ratujących zdrowie i życie. Stąd należy dołożyć wszelkich starań w zakresie kierowania i kwalifikowania chorych do przysługującego im leczenia. W przeciwnym razie zaniechania świadczeniodawców w tym zakresie mogą być traktowane jako przejaw dyskryminacji chorych i narażenia ich na pogorszenie stanu zdrowia i być podstawą do nałożenia kar i roszczeń prawnych.

Kolejna grupa czynników determinujących efektywność programów lekowych odnosi się do diagnostyki immunohistochemicznej i molekularnej, istotnej w tych programach z wykorzystaniem leków ukierunkowanych. Choć zalecenia wskazują, że tego typu diagnostykę należy przeprowadzić u każdego chorego, u którego planuje się celowane leczenie systemowe, to nie miały one charakteru normatywnego [20]. W najbliższej przyszłości sytuacja ta może się zmienić za sprawą wprowadzenia ustawowego obowiązku ogłaszania przez ministra zdrowia wytycznych dotyczących diagnostyki i leczenia onkologicznego w zakresie świadczeń finansowanych ze środków publicznych. Wytyczne będą opracowywane przez towarzystwa naukowe zraszające specjalistów w danych obszarach medycyny [35]. Skierowano już do konsultacji społecznych projekt zaleceń dotyczących diagnostyki i leczenia chorych na raka piersi [38] wskazujący na konieczność wykonania odpowiednich testów diagnostycznych u każdego chorego, u którego planowane jest leczenie systemowe. To droga, aby zalecenia stały się powszechnie obowiązującymi normami.

Równolegle planowane są zmiany zasad finansowania diagnostyki w podmiotach realizujących onkologiczne programy lekowe, uwzględniające postulaty onkologów klinicznych. Wspomniane zmiany będą korzystne dla chorych i zwiększą szanse na zakwalifikowanie do leczenia innowacyjnymi lekami [39].

Następnym warunkiem optymalnego wykorzystania onkologicznych programów lekowych jest znajomość zasobów systemu opieki zdrowotnej w otoczeniu chorych, które można wykorzystać w procesie diagnostyczno-terapeutycznym. Informator o umowach NFZ stanowi obecnie najlepsze źródło wiedzy o ośrodkach prowadzących poszczególne programy lekowe [9]. Szczegółowe informacje o efektywności działania i skuteczności udzielanych świadczeń zdrowotnych poprzez poszczególne ośrodki są bardzo ograniczone. W konsekwencji wybór ośrodka, który poprowadzi leczenie, w dużej mierze zależy też od preferencji chorego, jego chęci i możliwości podróży do bardziej odległych miejsc. Innymi czynnikami wpływającymi na wybór ośrodka są czas oczekiwania na realizację świadczenia, opinia na temat kadry medycznej i kompleksowość świadczeń udzielanych w ośrodku. W zależności od wymagań programu zalecane dla chorego może okazać się wysoka kompleksowość świadczeń w wyspecjalizowanym centrum onkologii lub szybszy dostęp do świadczeń w mniejszych placówkach [37]. Wysoką jakość kompleksowej opieki nad chorym na nowotwór i krótszy czas oczekiwania mogą oferować ośrodki znajdujące się w sąsiadujących województwach, co pośrednio wpływa na migrację chorych. Zależnie od województwa od 5% do 15% chorych leczy się w innym województwie, niż mieszka [23].

Znajomość lokalnej specyfiki zasobów i organizacji ochrony zdrowia pozwala na dodatkowe wsparcie pacjenta w walce z chorobą. Istotne jest, aby pokierować chorego, który wstępnie może kwalifikować się do udziału w programie, do placówki, która prowadzi określony program lekowy. Pacjenci, będąc pod wpływem stresu i przy braku koordynacji ich ścieżki diagnostyczno-terapeutycznej, często na własną rękę starają się znaleźć placówkę, która szybciej wykona potrzebne badania lub umożliwi dostęp do konsultacji specjalistycznej. Wyniki badania przeprowadzonego przed wprowadzeniem pakietu onkologicznego w latach 2014–2015 wykazały, że 22% pacjentów onkologicznych decydowało się na skorzystanie z prywatnych konsultacji i badań diagnostycznych [30]. To skutek między innymi nieodpowiedniej koordynacji ścieżki pacjenta. Istota właściwej koordynacji jest także pokierowanie chorym, aby trafił do właściwych specjalistów i ośrodków mających doświadczenie i zaplecze do stosowania innowacyjnych terapii.

Wiedza medyczna, znajomość metod leczenia oferowanych w programach lekowych oraz świadomość ich ograniczeń w zestawieniu ze znajomością otoczenia

systemowego mają kluczowy wpływ na usprawnienie procesu kwalifikacji wstępnie dobranych przez lekarzy chorych. Odpowiednia koordynacja procesu diagnostyczno-terapeutycznego, prowadzonego często w różnych ośrodkach, stanowi niezbędny warunek optymalnego wykorzystania środków przeznaczanych na programy lekowe i uzyskania poprawy wyników leczenia. Programy lekowe nie zaspokajają wszystkich potrzeb zdrowotnych w dziedzinie onkologii. Mimo to, poważnym błędem byłoby zrezygnowanie z szans, jakie dają wielu chorym. Dlatego tak ważne jest zaangażowanie wszystkich lekarzy w identyfikację potencjalnych kandydatów i kierowanie ich do odpowiednich ośrodków prowadzących programy. Dzięki temu możliwe będzie pełniejsze korzystanie z osiągnięć programów w Polsce.

Piśmiennictwo

1. Serwis polskiego rządu. Ministerstwo Zdrowia. Leki i wyroby medyczne. Refundacja. Programy lekowe. <https://www.gov.pl/zdrowie/programy-lekowe> (Dostęp 14.06.2018).
2. Wydatki NFZ na leki w 2017 roku. Programy lekowe i chemioterapia. [Internet] Kraków, 29 maj 2018. www.getmedi.pl/news/139/wydatki-nfz-na-leki-w-2017-roku-programy-lekowe-i-chemioterapia (Dostęp: 14.06.2018).
3. Aktualności Centrali NFZ. Komunikat Departamentu Gospodarki Lekami. [Internet] Warszawa, 23 marzec 2018. <http://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/komunikat-dgl,7124.html> (Dostęp 18.06.2018).
4. Najwyższa Izba Kontroli. Informacja o wynikach kontroli: Programy terapeutyczne i lekowe finansowane ze środków publicznych. Nr ewid.: 151/2014/P/13/132/KZD. [Internet] Warszawa, 18 listopad 2014. <https://www.nik.gov.pl/plik/id,7701,vp,9656.pdf>.
5. Jakubczak P. Programy lekowe i chemioterapia w latach 2013–2017. Rynek Zdrowia [Internet] 16 maj 2018. <http://www.rynekzdrowia.pl/Rynek-Zdrowia/Programy-lekowe-i-chemioterapia-w-latach-2013-2017,184029.html> (Dostęp 14.06.2018).
6. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. (Dz. U. z 2011 r. Nr 122, poz. 696 ze zm.). <http://prawo.sejm.gov.pl/isap.nsf/DocDetails.xsp?id=WDU20111220696>.
7. Planujemy prowadzenie zmiany, aby program lekowy zależał od ministra zdrowia. Rynek Aptek [Internet] 1 marzec 2018. www.rynekapteki.pl/polityka-lekowa/planujemy-prowadzenie-zmiany-aby-program-lekowy-zalezal-od-ministra-zdrowia,24776.html (Dostęp 14.06.2018).
8. Narodowy Fundusz Zdrowia, Centrala w Warszawie. Departament Świadczeń Opieki Zdrowotnej. Pismo znak: DSOZ.0123.6.2018.KAZ. [Internet] Warszawa, 26.02.2018. https://www.alivia.org.pl/app/uploads/2018/03/nfz_odpowiedz_26.02.2018.pdf (Dostęp 14.06.2018).
9. Narodowy Fundusz Zdrowia. Informator o Umowach [Baza Danych w Internecie]. <https://aplikacje.nfz.gov.pl/umowy/>.
10. Najwyższa Izba Kontroli. Informacja o wynikach kontroli: Przygotowanie i wdrożenie pakietu onkologicznego. Nr ewid.: 43/2017/P/16/057/KZD. [Internet] Warszawa, 01 czerwiec 2018. <https://www.nik.gov.pl/plik/id,14278,vp,16729.pdf>.
11. IQVIA Institute of Human Science. Global Oncology Trends 2017. [Internet] Maj 2017. <https://www.iqvia.com/en/institute/reports/global-oncology-trends-2017-advances-complexity-and-cost> (Dostęp 14.06.2018).
12. Ministerstwo Zdrowia. Załącznik do programu lekowego B.06. Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca. [Internet] Warszawa. https://www.gov.pl/documents/292343/436711/B6_%28nowy_od_052018%29.docx/d0239592-dbb0-f2c4-528b-2d48749fb7cd (Dostęp 18.06.2018).
13. Polska Koalicja Pacjentów Onkologicznych. RAPORT 2017 Poprawa profilaktyki, diagnostyki i leczenia nowotworów płuca. Rekomendacje zmian. [Internet] Warszawa, sierpień 2017. <https://www.pkpopo.pl/aktualnosci/2017/410>.
14. Dylewska M, Mikulowska M, Nowak S, Falkiewicz B, Gryglewicz J, Zawadzki R. Rak płuca w Polsce — perspektywa społeczna i medyczna 2016. [Internet] Warszawa, listopad 2016. <https://www.pexps.pl/files/upload/files/Rak-pluca-w-Polsce.pdf>.

15. Blecharz P, Mądry R, Jasiówka M. Treatment of advanced ovarian cancer with bevacizumab in Poland — a chance to improve survival still missed. *Oncol Clin Pract* 2016; 12(5): 167–78 DOI:10.5603/OCP; 2016: 0009, doi: [10.5603/OCP.2016.0009](https://doi.org/10.5603/OCP.2016.0009).
16. Woolf SH, Grol R, Hutchinson A, et al. Clinical guidelines: potential benefits, limitations, and harms of clinical guidelines. *BMJ*. 1999; 318(7182): 527–530, indexed in Pubmed: 10024268.
17. UroConti. Stowarzyszenie Osób z NTM. Informacja Prasowa: Odebrać firmom możliwość blokowania programów lekowych. Marzec 2018. http://www.uroconti.pl/userfiles/file/Informacja_prasowa_Odebrac_firmom_mozliwosc_blokowania_programow_lekowych.pdf.
18. Ministerstwo Zdrowia. Załączniki do programu lekowego B.32. i B32a. Leczenie choroby Leśniowskiego-Crohna. [Internet] Warszawa. <https://www.gov.pl/documents/292343/436711/b.32.-nowy-od-09.2017-b.32.a-nowy-pd-01.2018.doc/0d4ca5ff-958c-046f-7df3-ca3cf466d1ab> (Dostęp 18.06.2018).
19. Ministerstwo Zdrowia. Załączniki do programu lekowego B.15. i B.95. (Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B). [Internet] Warszawa. https://www.gov.pl/documents/292343/436711/b.15.-nowy-od-07.2014_b.94.-nowy-od-01.2018.docx/14c216dc-dfbd-f278-a9cb-6869d8d251d8 (Dostęp 18.06.2018).
20. Najwyższa Izba Kontroli. Informacja o wynikach kontroli. Dostępność i efekty leczenia nowotworów. Nr ewid.: 175/2017/megainfo/KZD. [Internet] Warszawa, 30 styczeń 2018. https://www.nik.gov.pl/pliki/id.16371_vp.18897.pdf.
21. Ministerstwo Zdrowia. Załącznik B.4. Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego [Internet] Warszawa. https://www.gov.pl/documents/292343/436711/B4_%28nowy_od_052018%29.doc/84606c03-b647-8d16-4e41-dff58ebae923 (Dostęp 18.06.2018).
22. Ministerstwo Zdrowia. Załącznik B.59. Leczenie czerniaka skóry lub błon śluzowych. [Internet] Warszawa. <https://www.gov.pl/documents/292343/436711/b.59.-nowy-od-01.2017.docx/f166c12d-5899-6104-2c49-0047535518f9> (Dostęp 18.06.2018).
23. Ministerstwo Zdrowia. Mapa potrzeb zdrowotnych w zakresie onkologii dla Polski. [Internet] Warszawa, 2015. <http://www.mpz.gov.pl/mapy-potrzeb-zdrowotnych/> (Dostęp 19.06.2018).
24. Sejm Rzeczypospolitej Polskiej. Rządowy projekt ustawy o zmianie ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych oraz niektórych innych ustaw. [Internet] Warszawa, 28 czerwca 2018. <http://www.sejm.gov.pl/sejm8.nsf/PrzebiegProc.xsp?nr=2678> (Dostęp 11.07.2018).
25. Bodnar L, Łyszczarz B, Nojszewska E, Sznurkowski JJ, Śliwczyński A. Ocena strat ekonomicznych i kosztów leczenia nowotworów piersi, szyjki macicy i jajnika w Polsce. Instytut innowacyjna Gospodarka. [Internet] Warszawa 2016. http://ingos.pl/public/userfiles/pdf/Ocena_strat_ekonomicznych_i_kosztow_%20leczenia_nowotworow_piersi_szyjki_macicy_i_jajnika_w_Polsce.pdf.
26. Nojszewska E. Poprawa dostępu do innowacyjnych terapii jako czynnik wzrostu inwestycji w Polsce. Instytut innowacyjna Gospodarka. [Internet] Warszawa 2018. http://ingos.pl/public/userfiles/pdf/Raport_iig_poprawa_dostepu_do_innowacyjnych_terapii_jako_czynnik_wzrostu_inwestycji_w_polsce.pdf.
27. Załącznik do zarządzenia Nr 51/2018/DEF Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia [Internet] Warszawa, 15 czerwca 2018. http://www.nfz.gov.pl/gfx/nfz/userfiles/_public/bip/finanse_nfz/2018/2018_051_def_-zalachnik.xlsx.
28. Okoń-Horodyńska E, Sierotowicz T, Sznyk A. Optymalizacja w modelowaniu procesu diagnostyki i leczenia raka jajnika oraz raka płuca: Model diagnostyki leczenia raka jajnika oraz raka płuca. Instytut innowacyjna Gospodarka. [Internet] Warszawa, 2017. http://ingos.pl/public/userfiles/pdf/Optymalizacja_w_modelowaniu_procesu_diagnostyki_i_leczenia_raka_jajnika_oraz_raka_pluca.pdf.
29. Rada projektu strategii walki z rakiem w Polsce 2015–2024. Strategia Walki z Rakiem w Polsce na lata 2015–2024. [Internet] Warszawa, Kwiecień 2017. http://walkazrakiem.pl/sites/default/files/slajd/pliki_do_pobrania/strategia_wersja_2017.pdf.
30. Fundacja Onkologia 2025. Jak długo pacjenci w Polsce czekają na diagnozę i leczenie onkologiczne? II edycja badania — co zmieniło wejście w życie pakietu onkologicznego? [Internet] Sierpień, 2016. <http://onkologia2025.pl/userfiles/321321321/onkologia/%C5%9Aacie-%C5%BCka%20podsumowanie%20Sierpie%C5%84%202016.pdf>.
31. Szczekliki A, Gajewski P Interni Szczekliki Kraków. ; 2015.
32. A new prognostic system for hepatocellular carcinoma: a retrospective study of 435 patients: the Cancer of the Liver Italian Program (CLIP) investigators. *Hepatology*. 1998; 28(3): 751–755, doi: [10.1002/hep.510280322](https://doi.org/10.1002/hep.510280322), indexed in Pubmed: 9731568.
33. Ministerstwo Zdrowia. Załącznik B.85. Leczenie pacjentów z przerzutowym gruczolakorakiem trzustki. [Internet] Warszawa. <https://www.gov.pl/documents/292343/436711/b.85.-nowy-od-03.2017.docx/d6e79bfc-ed3d-584e-8ad5-6f015ef344b4> (Dostęp 21.06.2018).
34. Ministerstwo Zdrowia. Załącznik B.5. Leczenie raka wątrobowokomórkowego (ICD-10 C 22.0) [Internet] Warszawa. <https://www.gov.pl/documents/292343/436711/B.5.-nowy-od-09.2015.doc/4b7d-dc0c-518a-edd5-fa37-1295881ac830> (Dostęp 21.06.2018).
35. Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych. (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz. 1027 ze zm.). <http://prawo.sejm.gov.pl/isap.nsf/download.xsp/WDU20042102135/U/D20042135Lj.pdf>.
36. Stępniać J, Kozak K, Świtaj T, et al. Wyniki leczenia wemurafenibem chorych na zaawansowanego czerniaka w ramach programu lekowego w Polsce. *Nowotwory. Journal of Oncology*. 2016; 66(2): 118–126, doi: [10.5603/njo.2016.0021](https://doi.org/10.5603/njo.2016.0021).
37. Fundacja Watch Health Care. Onkobaronometr WHC: Raport na temat zmian w dostępności do gwarantowanych świadczeń zdrowotnych stosowanych w walce z nowotworami w Polsce. nr 11/3/10/2017. [Internet] Kraków, październik 2017. <http://www.korektorzdrowia.pl/onkobaronometr/raport/>.
38. Jassem J, Krzakowski M. Projekt załącznika do obwieszczenia Ministra Zdrowia. Polskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej: Rak Piersi. [Internet] Warszawa, 21 czerwca 2018. https://www.gov.pl/documents/292343/436711/Obwieszczenie_Zalecenia_Rak_piersi_20180621.docx/cc4e883d-5178-b5e6-2995-aab1bf3732b9.
39. Narodowy Fundusz Zdrowia. Projekt Zarządzenia Prezesa NFZ. Leczenie szpitalne — programy lekowe. XX/2018/DGL. [Internet] Warszawa, 22 czerwca 2018. <http://www.nfz.gov.pl/zarządzenia-prezesa/projekty-zarządzen/projekt-zarządzenia-leczenie-szpitalne-programy-lekowe,6552.html>.