

Szanowny Panie Ministrze

W imieniu rodziców dzieci cierpiących na chorobę Leśniowskiego-Crohna i wrzodziejące zapalenie jelita grubego, zwracamy się z gorącą prośbą o Pana pomoc i interwencję w sprawie pilnej poprawy dostępu do leczenia naszych dzieci adalimumabem (Humira) i infliximabem (Remsima, Inflectra) oraz wprowadzenia refundacji doustnego dojelitowego leczenia żywieniowego. Już po raz kolejny zgłaszamy się do Ministerstwa Zdrowia z wnioskiem o poprawę sytuacji - apelowaliśmy także do Pana poprzedników, ale niestety nie doczekaliśmy się żadnych skutecznych działań.

Najważniejsze kwestie dla chorych na nieswoiste zapalenia jelit dzieci to:

- 1. Obniżenie punktacji wskaźnika aktywności choroby Leśniowskiego-Crohna (PCDAI) kwalifikującej pacjentów pediatrycznych do programu lekowego.**
- 2. Stworzenie programu leczenia biologicznego dla drugiego leku biologicznego, a w szczególności dla dzieci po utracie odpowiedzi na infliximab.**
- 3. Wydłużenie w programie lekowym czasu leczenia poza arbitralnie przyjęty okres 1 roku.**
- 4. Ujednolicenie zasad refundacji w ramach programu lekowego leczenia wrzodziejącego zapalenia jelita grubego i choroby Leśniowskiego-Crohna pacjentów poniżej 18 roku życia.**
- 5. Wprowadzenie refundacji leczenia żywieniowego stosowego doustnie, a nie prowadzonego wyłącznie przez dostęp sztuczny (stomię odżywczą lub zgłębnik).**

Ad. 1

Leczenie biologiczne (infliximab, adalimumab) nieswoistych zapaleń jelit u dzieci nie powinno być traktowane jak „ostatnia deska ratunku” i prowadzone tylko przez 1 rok. Wprowadzone jak najwcześniej, najlepiej w ciągu pierwszych 2 lat trwania choroby, może wprowadzić chorobę w remisję, a stosowane przewlekłe utrzymać remisję przez długi czas. Tym samym może korzystnie zmienić przebieg choroby oraz zapobiegać rozwojowi powikłań w tym zwężen czy przetok oraz co jest w przypadku dzieci bardzo ważne zapobiegać zahamowaniu rozwoju i uniknięciu okaleczających operacji – resekcji jelit, stomii i kolektomii.

W Polsce ciągle mamy bardzo restrykcyjne kryteria kwalifikacji do programu lekowego: obowiązujące 51 pkt. w skali PCDAI (pediatryczny wskaźnik aktywności choroby Crohna) oznacza bardzo ciężki, a nawet krytyczny stan pacjenta. Żadne światowe rekomendacje nie wskazują na konieczność uwzględniania aktywności choroby wg wskaźnika terapii biologicznych do kwalifikacji do leczenia biologicznego uznając, że najbardziej istotna jest ocena lekarza. Wskaźnik ten nie uwzględnia np. czynników ryzyka złośliwego przebiegu choroby.

Aktualne dane naukowe wskazują, że za postać ciężką można uznać poziom powyżej 40 punktów, a większość badań wykazujących skuteczność terapii biologicznej u dzieci była przeprowadzana u pacjentów z postacią umiarkowaną tj. powyżej 30 punktów. Postać umiarkowana i ciężka, więc powyżej 30 punktów PCDAI, jest według standardów światowych wskazaniem do leczenia biologicznego u dzieci, natomiast w Polsce jedynie postać ciężka i to z zawyżonym wskaźnikiem PCDAI. Ponadto według aktualnych zaleceń, w przypadku znacznego zahamowania wzrostu lub występowania czynników ryzyka złośliwego przebiegu choroby Leśniowskiego-Crohna leczenie biologiczne może być rozważane, jako leczenie pierwszego wyboru. Te postulaty były już wielokrotnie zgłaszane i trudno jest zrozumieć, dlaczego nie zostały uwzględnione.

Oczekiwanie aż stan pacjenta bardzo się pogorszy jest nieetyczne, a poza tym zdecydowanie pogarsza rokowanie, zmniejsza skuteczność terapii oraz zwiększa koszty leczenia poprzez zwiększenie częstości hospitalizacji i wydłużenie czasu pobytu dzieci w szpitalu.

Mieliśmy nadzieję, że rejestracja biopodobnego infliximabu, wpłynie na lepszą dostępność terapii biologicznej, ale, mimo że koszt obniżył się o prawie 50% kryteria nie uległy złagodzeniu. Nadal jedynie bardzo wąska grupa dzieci może korzystać z leczenia biologicznego. Jest to sprzeczne z założeniami programu, które zakładają iż leczenie ma uzyskać kontrolę nad aktywnością choroby,

zmniejszać liczę powikłań oraz poprawiać jakość życia. Tego nie można osiągnąć, jeśli leczenie stosowane jest epizodycznie (nawet jeśli epizod trwa rok). Szczególnie dla dzieci terapia biologiczna jest doskonałą alternatywą dla obciążonej poważnymi skutkami ubocznymi sterydoterapii, która między innymi dodatkowo zaburza wzrost i dojrzewanie u dzieci, nie zapobiega powikłaniom choroby czy okaleczającego leczenia chirurgicznego (resekcje jelit, kolektomia).

Ad. 2

Lek biologiczny adalimumab (Humira) zarejestrowany został w Unii Europejskiej dla pediatrii już ponad 3 lata temu. Jednak w Polsce do dziś nie powstał program lekowy dla dzieci - ani do leczenia jako lek pierwszego wyboru, ani nawet jako lek drugiego wyboru po utracie odpowiedzi na infliximab. Dla dorosłych pacjentów program lekowy dla adalimumabu jako leku alternatywnego dla infliximabu istnieje (leczy nim się także pacjentów z rzs i łuszczycą), więc również to zaniechanie odbieramy jako przejaw dyskryminacji małych pacjentów.

W innych krajach europejskich, za wyjątkiem Polski, dzieci mogą przyjmować adalimumab w domu lub w poradni przyszpitalnej - zrobienie podskórnego zastrzyku trwa kilka sekund. W Polsce, aby dzieci mogły być leczone adalimumabem, muszą być przyjmowane na szpitalny oddział i muszą spędzić tam 3 dni (!). Jest to grupa dzieci z ciężką (a nawet bardzo ciężką) postacią, u których leczenie sterydami, azatiopryną, merkaptopuryną, metotreksatem nie było skuteczne i utraciły odpowiedź na infliximab lub miały jego działania uboczne.

Terapia biologiczna obniża poważnie odporność, więc bezzasadne przetrzymywanie dzieci w szpitalach jest rozwiązaniem nie tylko absurdalnym, ale także niebezpiecznym (naraża się je na szpitalne zakażenia) oraz zwyczajnie drogim (każdy dzień hospitalizacji w specjalistycznej placówce przecież sporo kosztuje i trzeba to doliczyć do ceny leku). Ponadto cała procedura pozostaje w rażącej sprzeczności z Europejską Kartą Praw Dziecka Pacjenta: Dzieci powinny być przyjmowane do szpitala tylko wtedy, kiedy leczenie nie może być prowadzone w domu, pod opieką poradni lub na oddziale dziennym.

Adalimumab musi być podawany co 2 tygodnie – przy tak częstych hospitalizacjach pobyty szpitalne dzieci można liczyć w setkach, rodzice muszą w efekcie zrezygnować z pracy, co dodatkowo pogarsza sytuację społeczno-ekonomiczną całej rodziny chorego dziecka. Dodatkowym problemem jest ograniczenie możliwości uczęszczania do szkoły, co powoduje, że dzieci nierzadko muszą korzystać z indywidualnego trybu nauczania w domu, co upośledza ich kompetencje społeczne oraz utrudnia integrację ze środowiskiem i rówieśnikami. A przecież nie powinno i nie musi tak być! Wprowadzenie programu lekowego dla adalimumabu jest prostym, zmniejszającym koszty rozwiązaniem.

Ad. 3

Dzieci cierpiące na chorobę Leśniowskiego-Crohna mogą być leczone infliximabem jedynie przez 12 miesięcy, bo takie arbitralne ograniczenia wprowadza istniejący program. Jest to choroba nieuleczalna i z uwagi na jej przewlekły charakter terapia powinna być prowadzona w sposób ciągły, szczególnie jeśli jest stosowana u dzieci z ciężką postacią choroby, u których wcześniejsze leczenie nie było skuteczne. Decyzja o długości leczenia powinna zależeć od stanu zdrowia pacjenta, a nie decyzji administracyjnej. Niestety w naszym kraju po 12 miesiącach leczenia dziecko jest wykluczane z terapii do czasu aż choroba ponownie bardzo poważnie się zaostry, czyli ponownie osiągnie powyżej 51 punktów PCDAI – jak ciężko patrzeć na postępującą rujnącję stanu zdrowia dziecka, jego coraz większe cierpienie i nie móc nic zaradzić wiedzą tylko bezsilni rodzice i lekarze.

Nie rozumiemy, dlaczego to po prostu lekarz prowadzący nasze dzieci nie może decydować o zainicjowaniu leczenia, jego modyfikacji w trakcie prowadzenia oraz optymalnym terminie jej zakończenia – w zależności od stanu zdrowia. Nie możemy zaakceptować konieczności oczekiwania na znaczne pogorszenie stanu zdrowia dziecka, a tym samym postęp choroby, co niweczy to, co wcześniejszym leczeniem osiągnięto.

Ad. 4

Nieswoiste zapalenia jelit to grupa chorób, do której zaliczana jest nie tylko choroba Leśniowskiego-Crohna, ale także wrzodziejące zapalenie jelita grubego. Choć może to się wydawać niewiarygodne, ale dzieci cierpiące na tę chorobę zostały zupełnie pominięte przez system refundacyjny. W Polsce nie proponuje im się nawet 3 indukcyjnych dawek infliximabu ratujących przed kolektomią. Z takiej możliwości korzystają pacjenci dorośli z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego. I znowu trudno oprzeć się wrażeniu, że chore dzieci w Polsce są dyskryminowane w dostępie do standardowego leczenia.

Ad. 5

Bardzo często w przebiegu nieswoistych zapaleń jelit dochodzi do niedożywienia z powodu przewlekłego stanu zapalnego, dolegliwości (ból brzucha, biegunki) czy zmniejszonego przyjmowania pożywienia. Wtedy u dzieci muszą być stosowane odpowiednie, łatwo przyswajalne preparaty zawierające wszystkie potrzebne składniki pokarmowe (składniki mineralne, mikro- i makroelementy oraz witaminy) w ramach doustnego leczenia żywieniowego.

Według Polskiego Towarzystwa Żywienia Dojelitowego, Pozajelitowego i Metabolizmu doustne żywienie dojelitowe traktowane jest jako forma leczenia, a nie jako pożywienie w potocznym tego słowa znaczeniu. Ponadto w chorobie Leśniowskiego-Crohna wyłączone dojelitowe leczenie żywieniowe przez okres około 6-8 tyg. a następnie leczenie podtrzymujące remisję (które pokrywa ok. 50% zapotrzebowania) jest równie skuteczne jak sterydoterapia, przy jednoczesnym braku działań niepożądanych. Może być stosowane zarówno przez dostęp sztuczny (zgłębnik, stomia odżywcza) lub doustnie. Niestety, doustna forma terapii żywieniowej nie podlega refundacji ani w leczeniu indukującym remisję, ani w leczeniu zaburzeń stanu odżywienia. Nie możemy zrozumieć, dlaczego terapia dojelitowa prowadzona przez zgłębnik czy odżywczą stomię jest refundowana, a te same preparaty stosowane drogą doustną są pełnopłatne. Badania wykazały że nie ma różnic w skuteczności w zależności od sposobu podania preparatów żywieniowych.

Pragniemy zaznaczyć, że żywienie dojelitowe przez zgłębnik lub stomię odżywczą wiąże się z inwazyjnymi zabiegami oraz znacznie ogranicza funkcjonowanie codzienne dzieci oraz jest trudne do zaakceptowania przez dzieci. Natomiast doustna droga podawania preparatów żywieniowych nie wiąże się z takimi problemami, poza tym jest tańsza o koszt procedur związanych z założeniem zgłębnika czy stomii i ich pielęgnacją oraz stosowaniem pomp żywieniowych. U dzieci, u których można stosować doustne leczenie żywieniowe powinno ono być refundowane na takiej samej zasadzie jak u tych, u których konieczne jest stosowanie dostępu sztucznego.

Panie Ministrze, zdajemy sobie sprawę, że to właśnie w Pana Ministerstwie zapadają decyzje najważniejsze dla naszych ciężko chorych dzieci. Dlatego prosimy, by pochylił się Pan nad ich losem, wnikliwie rozpatrzył przedstawione powyżej problemy i podjął skuteczne działania, które zdecydowanie poprawią dramatyczną sytuację naszych przewlekle chorych dzieci. Jesteśmy pełni wiary i nadziei, że wreszcie będzie lepiej.

Z poważaniem,

Rodzice dzieci cierpiących na nieswoiste zapalenia jelita