

**Podsumowanie posiedzenia
Parlamentarnego Zespołu ds. profilaktyki nowotworowej - RAK STOP
pn. „Diagnostyka i leczenie raka dróg żółciowych”**

Data: 22 stycznia 2024 g. 11:00

Miejsce: Sejm Rzeczypospolitej Polskiej

Organizator: Katarzyna Piekarska, Przewodnicząca Zespołu

Uczestnicy m.in.:

- Katarzyna Piekarska, Przewodnicząca Parlamentarnego Zespołu ds. profilaktyki nowotworowej RAK STOP
- Prof. Jarosław Reguła, Konsultant krajowy w dziedzinie gastroenterologii
- Prof. Maciej Krzakowski, Konsultant krajowy w dziedzinie onkologii klinicznej
- Dr n. med. Leszek Kraj, onkolog kliniczny, Kliniki Onkologii Uniwersyteckiego Centrum Klinicznego WUM
- Dr Ewa Chmielowska, Ordynator Pododdziału Chemioterapii i Oddziału Chemioterapii Jednodniowej w Specjalistycznym Szpitalu Onkologicznym NU-MED w Tomaszowie Mazowieckim;
- Dr Andrzej Baniukiewicz, konsultant wojewódzki ds. gastroenterologii, Uniwersytet Medyczny w Białymstoku;
- Iga Rawicka, Prezes Fundacji EuropaColon Polska
- Marzena Bańdura, pacjentka chorująca na raka dróg żółciowych
- Krystyna Wechmann, Prezes Polskiej Koalicji Pacjentów Onkologicznych
- Marek Wleklik członek Izby Gospodarczej „Farmacja Polska”
- Konrad Korbiński, Wicedyrektor Departamentu Lecznictwa w MZ

Link do transmisji online:

https://www.sejm.gov.pl/Sejm10.nsf/transmisja.xsp?documentId=AE2FEE51C3DBF122C1258AF4004563B4&symbol=TRANSMISJA_ARCH&info=T

WPROWADZENIE DO TEMATU POSIEDZENIA, INFORMACJE NT. RAKA DRÓG ŻÓŁCIOWYCH

Rak dróg żółciowych to rzadki i zbyt późno diagnozowany nowotwór dotyczący rocznie około 1750 osób w Polsce. Powstaje w nabłonku dróg żółciowych i pęcherzyka żółciowego, rozwijając się zarówno wewnątrz-, jak i zewnątrzwątrobowo. Jego objawy są niespecyficzne, co prowadzi do późnego diagnozowania na zaawansowanych etapach choroby u większości pacjentów. Z powodu późnych diagnoz, operacja, będąca najskuteczniejszą metodą leczenia, często nie pozwala na całkowite usunięcie guza, co dotyka 8 na 10 pacjentów. Nawet po udanej operacji wysokie pozostają wskaźniki nawrotów, a jedynie około 5% pacjentów przeżywa dłużej niż pięć lat, co prowadzi do konieczności opieki paliatywnej dla większości chorych.

Przez ponad dekadę badania kliniczne dotyczące raka dróg żółciowych nie przynosiły zachęcających wyników, a standardem leczenia do 2022 roku była zwykła chemioterapia. Jednak przełom nastąpił z wprowadzeniem immunoterapii, która potroiła roczne przeżycie bez progresji choroby i podwoiła dwuletnie przeżycie, jednocześnie poprawiając jakość życia pacjentów.

Obecnie największą niespełnioną potrzebą medyczną jest wprowadzenie leczenia, które poprawi statystyki przeżycia. W Europie średni odsetek pięcioletnich przeżyć wynosi około 15%, ale w Polsce jest mniejszy niż 10%. Zarówno światowe jak i europejskie wytyczne zalecają immunoterapię w połączeniu z chemioterapią jako preferowaną opcję w I linii leczenia oraz leków celowanych molekularnie w kolejnych liniach leczenia, co wyznacza nowy standard leczenia chorych z zaawansowanym rakiem dróg żółciowych. Jednak żaden z tych standardów nie jest jeszcze dostępny

w Polsce, co jest bardzo rzadkim zjawiskiem patrząc jak ogromny postęp nastąpił w dostępie do leczenia w naszym kraju i jak szerokim spektrum terapii dysponują niektóre obszary terapeutyczne.

Pacjenci zmagający się z rakiem dróg żółciowych często doświadczają poczucia osamotnienia i lęku, wynikających z rzadkości tej choroby i braku dostępu do wiarygodnych informacji. W odpowiedzi na te wyzwania, Fundacja EuropaColon Polska zainicjowała kampanię "Uwaga na drogi żółciowe". Ta inicjatywa, wspierana stroną www.zoltedrogi.pl, ma na celu zaspokojenie potrzeb informacyjnych pacjentów.

Ponadto, Fundacja rozumiejąc specyficzne wyzwania stojące przed osobami cierpiącymi na ten rzadki nowotwór, skupia się na dostarczaniu aktualnych i rzetelnych informacji na temat czynników ryzyka, metod diagnostyki oraz dostępnych opcji leczenia. Co więcej, zwraca również uwagę na wsparcie pozafarmakologiczne, które jest kluczowe w zarządzaniu emocjonalnym i psychicznym aspektem choroby. Dzięki tym działaniom, pacjenci i ich bliscy mogą lepiej zrozumieć naturę raka dróg żółciowych i skuteczniej nawigować przez złożony proces diagnozowania i leczenia. Fundacja postawiła sobie za cel nie tylko edukację, ale także stworzenie społeczności wsparcia, dzięki której chorzy będą mogli łagodzić poczucie izolacji i niepewności, które często towarzyszy im w walce z chorobą.

WYSTĄPIENIA GOŚCI (wg kolejności występowania) ORAZ DYSKUSJA

Podczas ostatniego posiedzenia Parlamentarnego Zespołu ds. profilaktyki nowotworowej - RAK STOP, dyskutowano o wyzwaniach i potrzebach związanych z diagnostyką i leczeniem raka dróg żółciowych, choroby diagnozowanej rocznie u około 1750 Polaków. W spotkaniu udział wzięli eksperci, pacjenci oraz parlamentarzyści.

Katarzyna Piekarska, Przewodnicząca Parlamentarnego Zespołu ds. profilaktyki nowotworowej – RAK STOP otwierając posiedzenie podzieliła się refleksjami na temat otrzymanej notatki, która podsumowywała wiedzę na temat raka dróg żółciowych. Zaznaczyła, że była zaskoczona, odkrywając, jak poważne zagrożenie stanowi ten nowotwór i jak niewiele jest na jego temat powszechnej świadomości. Wyraziła zdziwienie, że mimo niebezpieczeństwa, rak dróg żółciowych pozostaje mało znany wśród społeczeństwa i rzadko pojawia się w publicznych dyskusjach na temat zdrowia. Podsumowując spotkanie wyraziła nadzieję, że sytuacja pacjentów z rakiem dróg żółciowych w kontekście dostępu do nowoczesnych terapii i diagnostyki niebawem się zmieni na ich korzyść. Zobowiązała się również do przekazania informacji Pani Minister i interwencji poselskiej.

Profesor Reguła, konsultant krajowy ds. gastroenterologii szczegółowo omówił charakterystykę RDŻ, wskazując na jego złożoną klasyfikację i różnorodność występowania w różnych częściach przewodu żółciowego. Zwrócił uwagę na klasyfikację nowotworów żółciowych i trudności diagnostyczne związane z ich wykrywaniem. Omówił także nowoczesne metody diagnostyczne, takie jak cholangioskopia, która jednak nie jest refundowana w Polsce, co stanowi znaczącą barierę w efektywnym diagnozowaniu i leczeniu.

Dr Leszek Kraj, przedstawił obecną sytuację leczenia RDŻ, zaznaczając, że tylko niewielka część pacjentów kwalifikuje się do chirurgicznego usunięcia nowotworu. Wspomniał o postępach w leczeniu, w tym o roli immunoterapii, która mimo swojego potencjału, pozostaje niedostępna dla polskich pacjentów z powodu braku refundacji. Wielokrotnie w swoim wystąpieniu podkreślał, że ilość programów lekowych w tym nowotworze wynosi zero, i że jest to najbardziej poszkodowana grupa pacjentów pod kątem dostępności do terapii lekowych. – *Jeszcze do niedawna dysponowaliśmy jednym rodzajem chemioterapii, nie istniała II linia leczenia, nie mieliśmy żadnych leków celowanych molekularnie, więc albo pacjent kwalifikował się do paliatywnej chemioterapii albo nie* - wyjaśniał dr Leszek Kraj. – *Teraz, w rekomendacjach Europejskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej mamy zalecenia dotyczące profilowania molekularnego oraz dołączenia immunoterapii do chemioterapii*

u wszystkich pacjentów w pierwszej linii leczenia. Takie połączenie znacząco poprawia rokowania chorych. W kolejnych liniach leczenia, jeśli dochodzi do progresji choroby wykorzystuje się wiedzę molekularną i na jej podstawie staramy się dobierać terapie molekularne, co udaje się u około 30% pacjentów.

Iga Rawicka, Prezes Fundacji EuropaColon Polska, podkreśliła, jak osamotnieni są pacjenci dowiadujący się o diagnozie RDŻ, często z powodu braku wczesnych objawów i badań przesiewowych. Opowiedziała o działaniach Fundacji mających na celu zwiększenie dostępności informacji i wsparcia dla tych pacjentów, a także o kampanii „Uwaga na drogi żółciowe” mającej na celu podniesienie świadomości na temat tej choroby. – *Nie jest łatwo spojrzeć pacjentowi chorującemu na raka dróg żółciowych w oczy* - mówiła Iga Rawicka, prezes Fundacji EuropaColon Polska. – *Pacjenci zawsze liczą na pełny dostęp do wszystkich możliwości, które oferuje im nowoczesna medycyna. Mimo, że w Europie są zarejestrowane nowe leki, to w Polsce możemy im powiedzieć, że mamy dla nich chemioterapię i żadnego programu lekowego. O ile od kilku lat w wielu nowotworach pędzimy pendolino, to w raku dróg żółciowych nadal jedziemy dreżyną. W trakcie spotkania z ministrem Miłkowskim nie uzyskaliśmy jednoznacznej informacji dotyczącej refundacji immunoterapii w I linii, która w ogóle nie jest obecnie dostępna. Druga linia jest dostępna wyłącznie w ramach RDTL.*

Pacjentka, pani Marzena Bańdura poruszyła uczestników swoją osobistą historią walki z RDŻ, podkreślając ograniczenia obecnego systemu leczenia w Polsce, które pozostawiają pacjentów z bardzo nielicznymi opcjami terapeutycznymi. – *U mnie nie występowały czynniki ryzyka takie jak cukrzyca, nadciśnienie czy wirusowe choroby wątroby* - wspomina. – *Nawet teraz, w czasie wznowy, moje wyniki wątrobowe są w normie. Ciężko jest pogodzić się ze świadomością, że moi rodzice żyją, a ja wiem, że za kilka miesięcy będę musiała umrzeć. Każdego dnia patrzę w lustro i sprawdzam, czy już jestem żółta. Jeśli nie, to mogę przeżyć w miarę normalnie kolejny dzień. Opieranie się tylko na jednej możliwości leczenia jest naprawdę przerażające. Trudno zachować nadzieję.*

Dr Andrzej Baniukiewicz skupił się na endoskopowych metodach diagnostycznych, które mają kluczowe znaczenie w rozpoznawaniu raka dróg żółciowych. Opowiedział o endoskopii z kontrastem (ECPW), która pozwala na obserwację przewodu żółciowego przez „dziurkę od klucza”, jednak zauważył, że metoda ta ma swoje ograniczenia, gdyż pozwala jedynie na wykrycie zwężeń, bez możliwości dokładniejszej analizy przyczyny. Zwrócił uwagę na potrzebę wykonywania celowanej biopsji, w tym cholangioskopii, która jest nowocześniejszą metodą, umożliwiającą dokładniejsze badanie, obsługiwane przez jedną osobę i łatwe w wykonaniu. Podkreślił, że cholangioskopia jest najważniejszym narzędziem diagnostycznym, mimo iż wiąże się z pewnymi ryzykami, które są jednak niewielkie w porównaniu z korzyściami diagnostycznymi. Zaznaczył, że problemem jest brak refundacji tej metody w Polsce, mimo jej dużej dostępności i znaczenia dla skutecznej diagnostyki RDŻ.

Prof. Maciej Krzakowski, zwrócił uwagę na to, że rak dróg żółciowych jest często zapomnianym nowotworem, co negatywnie wpływa na dostępność i jakość diagnostyki oraz leczenia. Zauważył, że brakuje dokładnych danych dotyczących zaawansowania choroby u dużej części pacjentów, a połowa chorych jest w stanie uogólnienia. Podkreślił, że mniej niż 20% pacjentów operowanych otrzymuje dodatkowe leczenie chemioterapią. Apelował o stworzenie efektywnego rejestru chorych na RDŻ, co miałyby na celu poprawę zarządzania leczeniem i dostępnością terapii dla tej grupy pacjentów. Ekspert zwrócił również uwagę, że proces refundacji leków w Polsce jest wydłużony ze względu na kilka etapów, które muszą zostać spełnione po akceptacji programu lekowego. W procesie tworzenia programu uczestniczą lekarze, co zaznaczył jest pozytywnym aspektem. Jednakże, po zatwierdzeniu programu lekowego, konieczne jest również zawarcie kontraktów z ośrodkami, które będą z niego korzystać. Ta dodatkowa konieczność wydłuża czas, zanim pacjenci mogą rzeczywiście skorzystać z programu o co najmniej miesiąc.

Dr Ewa Chmielowska, wskazała, że immunoterapia jest znana lekarzom od lat ponieważ jest stosowana np. w programie lekowym raka płuca. Ekspertka opisała sytuację pacjentki, która w 2022 r. zachorowała na raka dróg żółciowych i wówczas dzięki otwartemu dostępowi do terapii przyjmowała jeszcze do niedawna immunoterapię. Obecnie badania genetyczne wykazały mutację IDH1. Chociaż pacjentka kwalifikowała się teoretycznie do otrzymania leku celowanego w ramach procedury RDTL, zgoda na takie leczenie nie została uzyskana. Ekspertka zwróciła uwagę na frustrację wynikającą z „wąskich drzwi” - przypadkowego i niekonsekwentnego dostępu do terapii, co jest trudne do zaakceptowania zarówno przez lekarzy, jak i pacjentów. Swoją wypowiedź zakończyła sławami – „*Polowanie na okazje to nie jest coś, co w medycynie lubimy najbardziej*”.

Konrad Korbiński, wicedyrektor Departamentu Lecznictwa w Ministerstwie Zdrowia opisał procesy decyzyjne dotyczące wprowadzenia nowych terapii, w tym immunoterapii, podkreślając, że każda nowa metoda leczenia musi przejść przez skomplikowany proces oceny i negocjacji, zanim zostanie dopuszczona do refundacji. Wskazał, że wniosek dotyczący immunoterapii został złożony przez podmiot odpowiedzialny, jednak komisja ekonomiczna nie zakończyła procesu negocjacji, a rada przejrzystości wydała ocenę negatywną w kilku obszarach. Podkreślił również, że Ministerstwo jest świadome potrzeby szybkiego dostępu do nowych terapii dla pacjentów z RDŻ, jednak zaznaczył, że każdy lek nowej generacji musi być dokładnie zbadany pod kątem skuteczności, bezpieczeństwa i kosztów. Zwrócił uwagę na fakt, że procesy te nie są specjalnie wydłużane, lecz wynikają z uzasadnionych wątpliwości i potrzeby dokładnej analizy. Oprócz tego zaznaczył, że istnieje propozycja dedykowanego programu lekowego dla RDŻ, który mógłby być realizowany po zatwierdzeniu refundacji nowych terapii. To podejście miałoby na celu lepsze zorganizowanie dostępu do terapii, co jest kluczowe w przypadku chorób tak rzadkich jak RDŻ.

Marek Wleklík zwrócił uwagę, że ostatnie zmiany w procesie refundacji leków wprowadziły ograniczenie czasu decyzji do 1 roku, pod warunkiem braku zewnętrznych komplikacji. Jednakże, pomimo tych nowelizacji, istnieje nadal oddzielny problem związany z praktyczną dostępnością leków po ich zatwierdzeniu do refundacji. Proces wdrażania programów lekowych w praktyce okazuje się być długotrwały, często trwający kilka miesięcy. To sprawia, że pacjenci i lekarze napotykać trudności z szybkim dostępem do nowych, potencjalnie życie ratujących terapii. Istnieje zatem pilna potrzeba uporządkowania i przyspieszenia procedur, aby lepsze i szybsze leczenie stało się dostępne dla pacjentów wymagających nowoczesnych terapii.

Podsumowując, dyskusja uwypukliła liczne wyzwania związane z leczeniem RDŻ w Polsce, w tym znaczące opóźnienia w dostępie do najnowszych metod leczenia i diagnostyki. Skupiono się wokół potrzeby przyspieszenia procesu refundacji nowych leków i niezbędnych do jej włączenia nowoczesnych metod diagnostycznych. Został wyrażony apel o współpracę między lekarzami, decydentami i parlamentarzystami w celu stworzenia efektywnego systemu, który zapewni pacjentom dostęp do najlepszej możliwej opieki oraz podkreślono wagę stworzenia dobrego rejestru chorych na RDŻ.

Fundacja EuropaColon Polska wyraża ogromną nadzieję, że sytuacja pacjentów z rakiem dróg żółciowych poprawi się. Oczekujemy, że dalsze decyzje i działania ze strony odpowiednich organów rządowych, które będą miały kluczowe znaczenie dla przyszłości leczenia raka dróg żółciowych w Polsce.