



Medexpress, 2021-12-06 09:17

## Pacjenci z twardziną układową i zajęciem płuc mogą być skutecznie leczeni



- Rada przejrzystość AOTMiT pozytywnie zaopiniowała refundację nintedanibu dla chorych ze śródmiąższową chorobą płuc w przebiegu twardziny układowej i nie zgłosiła żadnych uwag do projektu programu lekowego - powiedział dr Marcin Stajszczyk, przewodniczący Komisji ds. Polityki Lekowej Polskiego Towarzystwa Reumatologicznego. Jest to niezbędny element kompleksowej opieki nad tymi pacjentami - podkreślali wszyscy uczestnicy sesji pt. "Jak zapewnić kompleksową opiekę nad pacjentami ze śródmiąższową chorobą płuc w przebiegu chorób układowych, na przykładzie twardziny układowej", która odbyła się 25 listopada 2021 r. podczas Kongresu Ekonomia dla Zdrowia.

- Program jest gotowy. Pozostały tylko negocjacje cenowe i mam nadzieję, że w przyszłym roku będziemy się cieszyć z nowego leku do leczenia zmiany narządowej w płucach w twardzinie układowej - powiedział prof. Marek Brzosko, kierownik Kliniki Reumatologii, Chorób Wewnętrznych, Geriatrii Pomorskiego Uniwersytetu Medycznego w Szczecinie, przewodniczący Komisji ds. Polityki Zdrowotnej Polskiego Towarzystwa Reumatologicznego, w poprzedniej kadencji prezes PTR i konsultant krajowy w dziedzinie reumatologii.

- Obecnie chorzy przyjeżdżając na kwalifikację do domowego leczenia tlenem, pytają, czy mamy coś innego, bo się duszą, a my nie możemy podać im terapii, która mogłaby pomóc – dodała dr hab. Barbara Kuźnar-Kamińska z Kliniki Pulmonologii, Alergologii i Onkologii Pulmonologicznej Szpitala Klinicznego Przemienienia Pańskiego Uniwersytetu Medycznego im. Karola Marcinkowskiego w Poznaniu.

### **Zabiera twarz i oddech**

Twardzina układowa jest rzadką, nieuleczalną chorobą autoimmunologiczną, która atakuje tkankę łączną. Powoduje włóknienie skóry i narządów wewnętrznych, m.in.: płuc, serca, układu trawiennego czy nerek, prowadząc do ich niewydolności oraz zagrażających życiu powikłań. Choroba powoduje wystąpienie charakterystycznych zmian skórnych, szczególnie widocznych na twarzy, stąd też często mówi się, że „zabiera twarz”. U jednej na cztery osoby z rozpoznaną twardziną układową w ciągu trzech lat od postawienia diagnozy rozwija się śródmiąższowa choroba płuc, w przebiegu której dochodzi do ich uszkodzenia. Pacjent odczuwa duszność, występowanie szybszych i nasilonych oddechów, początkowo tylko przy wysiłku fizycznym, a w miarę postępu choroby także w stanie spoczynku. Pojawia się suchy, uporczywy i męczący kaszel. Włóknienie płuc jest jedną z głównych przyczyn śmierci chorych na twardzinę układową.

- Częstość występowania śródmiąższowej choroby płuc w przebiegu układowych chorób tkanki łącznej narasta, co jest najprawdopodobniej związane z dobrymi wynikami leczenia pozostałych objawów tych chorób. 10-letnia przeżywalność pacjentów z twardziną układową dotyczy 85% chorych i jest to jest olbrzymi postęp ostatnich 20 lat – poinformował prof. Marek Brzosko.

### **Zmęczenie i samotni**

Raport „Śródmiąższowa choroba płuc w przebiegu twardziny układowej (SSc-ILD). Perspektywa pacjenta”, który został opublikowany we wrześniu br. pokazuje, że zmęczenie najbardziej ogranicza codzienne funkcjonowanie chorych. 36 proc. badanych wskazało na zadyszkę w ruchu oraz duszność. Dla wielu pacjentów choroba stanowi też ograniczenie w kontaktach z przyjaciółmi i znajomymi. Co trzeci badany wskazał, że relacje te osłabiły się i że przez ciągłe zmęczenie nie ma siły utrzymywać kontaktów towarzyskich. Prawie po czwarty respondent czuje, że ze względu na chorobę nie jest już takim wsparciem dla swojej rodziny. 30 proc. chorujących rodziców przyznało, że przez zmęczenie, kaszel czy duszność nie mogą aktywnie spędzać czasu ze swoimi dziećmi, a 20% przez te objawy nie ma nawet siły pomagać dzieciom w edukacji, np. w odrabianiu lekcji. - Choroba upośledza codzienne aktywności pacjenta w wyniku duszności i kaszlu. A w dobie pandemii kaszel może być postrzegany jako objaw infekcji i wzbudzać strach otoczenia, co prowadzi do osamotnienia chorego – wskazała dr Barbara Kuźnar-Kamińska.

### **Leczenie się opłaca**

Wielu pacjentów biorących udział w badaniu przyznało, że choroba wiązała się z koniecznością rezygnacji z pracy zawodowej. Ponad 1/3 pobiera rentę w związku z chorobą, a w przypadku większości z nich (92%) twardzina była powodem przejścia na rentę. 14% pracuje w niepełnym wymiarze godzin lub nie pracuje w ogóle. Osoby stale niepracujące z powodu choroby z reguły mocno odczuwają pogorszenie swojej sytuacji finansowej (68%).

Pacjenci dość często przebywają również na zwolnieniach lekarskich. Z powodu twardziny układowej w 2021 r. odnotowano aż 21 tys. dni absencji chorobowych.

Magda Władysiuk, prezeska Stowarzyszenia CEESTAHC, wiceprezeska HTA Consulting, członek zarządu, Polskiego Towarzystwa Zapalnych Chorób Autoimmunologicznych podkreślała, że wczesne rozpoznanie, dobra diagnostyka i kompleksowe leczenie z punktu widzenia ekonomii jest kluczowe. Tymczasem raport wskazuje, że w przypadku prawie 50% chorych śródmiąższową chorobę płuc zdiagnozowano w tym samym

roku, co twardzinę układową.

- Sama diagnostyka jest prosta, jeśli pomyśli się o twardzinie, bo schematy postępowania są dobrze przygotowane. Problemem jest dostanie się do reumatologa. Tymczasem mamy już chorych, którzy z twardziną żyją już 20 lat. Jeśli jednak zdiagnozujemy chorego późno, efekty leczenia są gorsze, bo zmian śródmiąższowych w płucach nie potrafimy cofnąć – podkreślił prof. Brzosko.

### **Współpraca specjalistów**

Choroby o manifestacji wielonarządowej takie, jak twardzina układowa wymagają współpracy lekarzy różnych specjalności – w przypadku śródmiąższowej choroby płuc reumatologa oraz pulmonologa. Prof. Marek Brzosko przyznał, że w jego klinice konsultacje pulmonologa odbywają się na zasadach koleżeńskich. - To powinno nabrać cech formalnej konsultacji – postulował. Zdaniem dr Barbary Kuźnar-Kamińskiej, najlepiej byłoby, gdyby odbywało się to w postaci konsylium - Takie konsylia już są organizowane w idiopatycznym zwłóknieniu płuc: pulmonologa, radiologa, i histopatologa, jeśli była biopsja płuca – poinformowała.

Dr Marcin Stajszczyk, kierownik Oddziału Reumatologii i Chorób Autoimmunologicznych Śląskiego Centrum Reumatologii, Rehabilitacji i Zapobiegania Niepełnosprawności w Ustroniu, przewodniczący Komisji ds. Polityki Zdrowotnej i Programów Lekowych Polskiego Towarzystwa Reumatologicznego, zwrócił uwagę, że są już przykłady dobrej współpracy reumatologów ze specjalistami z innych dziedzin w przypadku chorób reumatycznych z manifestacjami pozastawowymi. Ma to miejsce chociażby w przypadku łuszczycowego zapalenia stawów i łuszczycy plackowatej, gdzie wzajemne konsultacje reumatologów i dermatologów są czasem koniecznością, a w programie lekowym pacjent może być leczony przez specjalistów w ośrodkach reumatologicznych i dermatologicznych w zależności od stopnia zajęcia stawów i skóry.

- Podobna współpraca byłaby właściwa w przypadku chorych z twardziną układową i zajęciem płuc w jej przebiegu. W zależności od stopnia nasilenia zmian w płucach i zajęcia pozostałych narządów oraz wymaganego jednocześnie leczenia immunosupresyjnego lub cytotoksycznego pacjent może być leczony preferencyjnie przez ośrodki reumatologiczne lub także pulmonologiczne. Należy pamiętać, że twardzina układowa jest chorobą reumatologiczną, wieloukładową, a zmiany w płucach są najczęściej tylko jednym z jej objawów. W takich przypadkach lekarzem koordynującym leczenie pozostaje reumatolog. Obecnie stosujemy u tych chorych dostępne terapie, jak cyklofosfamid czy mykofenolan mofetilu, pozwalające u części z nich na stabilizację choroby. Jako reumatolodzy mamy także dostęp do leków biologicznych, które wykazują skuteczność w odniesieniu do zmian w płucach w przebiegu twardziny, jak tocilizumab czy rituksymab, ale nie są refundowane w tym wskazaniu – zwrócił uwagę dr Marcin Stajszczyk.

### **Program lekowy dla twardziny układowej z zajęciem płuc**

Lekiem, który mógłby pomóc chorym z śródmiąższową chorobą płuc w przebiegu twardziny układowej jest nintedanib - refundowany u pacjentów z idiopatycznym zwłóknieniem płuc.

- Do programu lekowego dla twardziny układowej z zajęciem płuc powinni być kwalifikowani wszyscy pacjenci, których rokowanie jest złe i ryzyko skrócenia całkowitego przeżycia duże. Są to chorzy, u których zmiany śródmiąższowe płuc zajmują ponad 20% objętości mięszu płucnego w badaniu HRTC lub chorzy, u których zmiany zajmują powyżej 10% objętości, ale wartość FVC jest poniżej 70% wartości należnej. Powinniśmy mieć także możliwość kwalifikacji chorych, którzy mają FVC powyżej 70%, ale zmiany zajmują powyżej 10% objętości mięszu płucnego, jeśli terapie mykofenolanem mofetylu czy cyklofosfamidem okażą się nieskuteczne i zanotujemy w ciągu 6 miesięcy progresję w badaniu spirometrycznym. W takim przypadku też mamy do czynienia z grupą chorych, która źle rokuje – rekomendował dr Marcin Stajszczyk. Jego zdaniem, program lekowy powinien dawać Zespołowi Koordynacyjnemu, który koordynuje leczenie chorób reumatycznych w programach lekowych, możliwości kwalifikacji i utrzymania pacjenta w programie

w szczególnych przypadkach nawet, jeśli pacjent nie osiąga założonych wskaźników, ale odnosi korzyść kliniczną z terapii.

- Z satysfakcją przyjmujemy, że program lekowy dla nintedanibu w twardzinie układowej z zajęciem płuc stworzony zgodnie z naszymi rekomendacjami został pozytywnie zaopiniowany przez Radę Przejrzystości AOTMiT oraz, że Rada nie zgłosiła do niego uwag. Program zakłada możliwość leczenia pacjentów z chorobą śródmiąższową płuc, zarówno w ośrodkach reumatologicznych, jak i pulmonologicznych. W opisie wskazuje się na zasadność współpracy lekarzy obu specjalności. Taka współpraca pomoże wybrać ośrodek nadzorujący leczenie pacjenta nintedanibem - najczęściej z uwagi na współistniejące inne objawy twardziny i stosowane leki oraz stopień zajęcia płuc - reumatologiczny, ale w wielu przypadkach przy nasilonych klinicznie objawach oddechowych oraz zaawansowanych zmianach w miąższu płucnym, które dominują w obrazie choroby u danego pacjenta - pulmonologiczny - podkreślił dr Marcin Stajszyk.

Dr Barbara Kuźnar-Kamińska zwróciła uwagę, że skuteczność terapii nintedanibem potwierdzona została w badaniu klinicznym SENCIS®. Wyniki badania wykazały, że spowalnia on tempo pogarszania się czynności płuc o 44% (41 ml/rok) w stosunku do placebo, na podstawie wartości FVC mierzonych w okresie 52 tygodni.

- Od 2018 r. leczymy tym lekiem chorych na idiopatyczne zwłóknienie płuc, mamy już duże doświadczenie kliniczne w terapii tym lekiem - podkreśliła dr Barbara Kuźnar-Kamińska.

Eksperti zgodzili się, że dostępność pacjentów z twardziną układową i towarzyszącą jej chorobą śródmiąższową płuc do terapii antyfibrotycznej w Polsce może odmienić rokowanie w tej grupie pacjentów i wydłużyć ich czas przeżycia, poprawiając jednocześnie jakość życia.