

Европейска Мрежа в подкрепа на пациентите с ГИСТ, сарком и дезмоидни тумори (SPAEN) - Трета Годишна Конференция, ноември, 2012.



Европейска Мрежа в подкрепа на пациентите с ГИСТ, сарком и дезмоидни тумори (SPAEN <http://www.sarcoma-patients.eu/>) е организация с нестопанска цел, ориентирана към съдействие и помощ на хората засегнати от тези редки тумори. Още през март на 2012г. SPAEN отпрати покана за членство към "Сдружение на пациентите с ГИСТ в България" , а през есента се получи и покана за нашето участие в 3-та годишна конференция през ноември 2012г.

Предмет на общи дискусии бяха нуждите и проблемите на хората с редки туморни заболявания:

А. Мултидисциплинарен подход при разпознаването на симптоматиката, диагностиката и лечението (хирургично, лекарствено и лъчелечение).

Изтъкнати бяха категорични факти в полза на пациентите, лекувани и проследявани от такива екипи - бързото и точно поставяне на диагноза, отличното познаване на стандартите за лечение, достъпът до иновативни медикаменти и навременната и адекватна помощ при справянето със страничните реакции от терапията водят до повишено качество на живот, значимо по-голяма преживяемост на пациентите и по-ниски разходи за тяхното лечение и проследяване.

В един такъв екип от лекари-специалисти трябва участват патолог, хирург, онколог и дори дерматолог. На този етап, такъв подход към лечението на ГИСТ в България няма.

Б. Достъп до иновативно лечение - програми за разширен достъп, „compassionate use“ и клинични изпитвания.

Това са начини, широко прилагани в редица държави на Европа за достъп на пациентите до иновативно лечение, извън обхвата на официално одобрените клинични практики. Когато става дума за редки туморни заболявания, по правило терапевтичните опции се изчерпват бързо и тези програми водят до значимо подобряване и удължаване качеството на живот на пациентите.

В рамките на ЕС програмите за разширен достъп до медикаменти и принципът на „compassionate use“ (1) са ясно и точно дефинирани - става въпрос за достъп до лекарствени продукти с доказан терапевтичен ефект при определено заболяване в рамките на клинични проучвания и за които производителите им са предприели законовите стъпки за получаване на разрешение за употреба (официално одобрение и регистрация) пред съответните регулаторни органи.

Обикновено, в тези програми медикаментите се предоставят от фармацевтичните компании на лекуващия екип за нуждите на определена група пациенти, а резултатите от лечението стават част от предмаркетинговото наблюдение на терапевтичния ефект върху болестта. Т.е. стойността на медикамента не утежнява здравния бюджет.

За ГИСТ, на този етап, такива медикаменти са мазитиниб и регорафениб, а в редица страни, на принципа на „лечение извън кратката характеристика на продукта“, пациентите имат достъп до лечение и с други неодобрен за лечение на ГИСТ медикаменти като нилотиниб (2), дазатиниб (3), сорафениб (4) и др.

Достъпът до лечение с неразрешени лекарствени продукти в България се урежда с Наредба 10 от ноември 2011 г. на МЗ (5,6) и в нея, споменатите по-горе възможности не се коментират.

1. *Guideline on compassionate use of medicinal products, pursuant to Article 83 of regulation (ec) no 726/2004:*

http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Regulatory_and_procedural_guideline/2009/10/WC500004075.pdf

2. Нилотиниб - кратка характеристика на продукта

http://www.ema.europa.eu/docs/bg_BG/document_library/EPAR_Product_Information/human/000798/WC500034394.pdf

3. Дазатиниб - кратка характеристика на продукта

http://www.ema.europa.eu/docs/bg_BG/document_library/EPAR_Product_Information/human/000709/WC500056998.pdf

4. Сорафениб - кратка характеристика на продукта

http://www.ema.europa.eu/docs/bg_BG/document_library/EPAR_Product_Information/human/000690/WC500027704.pdf

5. Закон за лекарствените продукти в хуманната медицина <http://www.bda.bg/images/stories/documents/regulations/zakoni/ZLPHM.pdf>

6. Наредба №10 от 17 ноември 2011 г. за условията и реда за лечение с неразрешени за употреба в република България лекарствени продукти, както и за условията и реда за включване, промени, изключване и доставка на лекарствени продукти от списъка по чл. 266а, ал. 2 от закона за лекарствените продукти в хуманната медицина

<http://www.mh.government.bg/Articles.aspx?pageid=391&categoryid=5726>

В. Оценка на здравните технологии (1).



Dr. Karen Facey, Health Policy Consultant, UK

В момента Европейската комисия работи заедно със страните членки по съвместна инициатива в областта на оценката на здравни технологии, обхващащо периода от 2010 до 2012 г. Идеята на едно такова цялостно оценяване е то да не се базира единствено на това каква е цената напр. на дадено лекарство и какъв е терапевтичния му ефект, а да се обръща внимание и на редица други важни фактори като доколко след въвеждането и прилагането му ще бъдат спестени разходи за други здравни технологии, като брой и продължителност на хоспитализациите,

допълнително съпътстващо лечение, вид и продължителност на рехабилитация, размер на отпуск по болест и намалена трудоспособност поради инвалидност и др. Взимат се под внимание дори и такива фактори като как би се отразило едно тежко състояние на болния на семейството му, като напр. колко негови близки ще се наложи да ползват отпуск, за да го обгрижват и др. обстоятелства, които се отразяват не само на здравния бюджет, но и на икономиката като цяло.

В този смисъл, правилната цялостна оценка на здравните технологии, във време на икономическа криза, се явява и средство за спестяване на разходи.



Prof. Dr. Paolo Casali,
Istituto Tumori, Milan/Italy

Г. Клинични изпитвания при редките туморни заболявания.

При редките тумори никак не е лесно да се докаже ефективността на иновативен лекарствен продукт - малък брой пациенти, малък брой специалисти, липса и на интерес от страна на фармацевтичните компании, поради ограничаване пазар. Когато става дума за клинични изпитвания на медикаменти, нищо не е така важно, както броят на пациентите, при които се констатира положителна оценка от терапията. Точно там е и проблемът с редките тумори - няма достатъчен брой пациенти, които да бъдат включени в такива проучвания за да се изпълнят критериите на регулаторните органи, които одобряват новите лекарствени продукти. Все пак, трябва без съмнение да се докаже, че един нов медикамент ще доведе до по-дълга преживяемост и по-добро качество на живот при определена група пациенти и , че тези резултати не са плод на случайност - Р-стойност (величина, показваща вероятността за грешка в резултатите при статистически хипотези) (1). Когато говорим за медицина, изискванията за тази стойност са $P \leq 0.05$, което означава, че случайност в резултата може да има при по-малко от 1 на 20 случая. Такава Р-стойност е лесно да се постигне с много пациенти - 5000 и повече, но когато се работи с 1000 до 300, че и по-малко пациенти, достигането ѝ е много трудно.

Тези ограничения, налагат търсенето на нов модел на клиничните проучвания касаещи редки туморни заболявания. Едно от тях е приложението на Теоремата на Бейс (2) при оценяването на положителния ефект от определена терапия. За да не навлизам в детайли свързани с Теория на вероятностите, ще обобща, че става дума за коренно различен подход за оценяване на ползата от лечението, базиран на информация от малки групи пациенти, събирана и анализирана от специалистите, с цел да се дефинира индивидуален подход в лечението на редките злокачествени заболявания основан не толкова на вида тумор, колкото на неговия молекулярен подвид. За да е по-ясно, мога да дам пример с иматиниб и ГИСТ - повод за започване на клинични изпитвания е Пациент № 0. Трима лекари решават да приложат иматиниб при пациент с ГИСТ в много напреднала фаза. Положителният ефект върху този единствен пациент е толкова голям, че става причина за стартирането на проучванията и довежда до одобрението на медикамента за лечение на ГИСТ.

1. P-value <http://en.wikipedia.org/wiki/P-value>

2. Теорема на Бейс:

http://bg.wikipedia.org/wiki/%D0%A2%D0%B5%D0%BE%D1%80%D0%B5%D0%BC%D0%B0_%D0%BD%D0%B0_%D0%91%D0%B5%D0%B9%D1%81

3. Can the Reverend Bayes help deliver proven therapies for patients with rare cancers?

http://www.cancerworld.org/Articles/Issues_48/Cutting_Edge/Can_the_Reverend_Bayes_help_deliver_proven_therapies_for_patients_with_rare_cancers%3F.html

Д. Навременното справяне с нежеланите странични ефекти от лечението с инхибитори на тирозин киназа (ИТК).

Повече хора понасят леко терапията с иматиниб, но когато става дума за други медикаменти, които са насочени към потискането на по-голям брой протеини в организма, нещата не са така лесни за овладяване, а оставени без навременен контрол, могат да станат и причина за преждевременно прекратяване на терапията. Това би могло да се случи при лечение със сунитиниб, а при някои пациенти понякога и иматиниб създава проблеми. Докато повишеното кръвно налягане или понижената функция на щитовидната жлеза биха могли да се контролират с медикаменти,

предписвани и при други причини за тези състояния, то кожните реакции са специфични за този вид терапии и биха могли успешно да се контролират само и единствено от лекар - дерматолог, специализирал точно в тази сфера. Кожните проблеми наблюдавани при лечение с ИТК, макар и да изглеждат като други подобни състояния, на практика се причиняват от определени процеси в организма, протичащи само под въздействието на тези медикаменти. Лекар, който не е наясно с тези особености, не би могъл да приложи адекватно лечение и това може да бъде причина за влошаване качеството на живот на пациентите.

Тук отново се спомена и ползата от мултидисциплинарния подход при лечение на хората с редки заболявания, като се наблегна и на факта, че всяко навременно и правилно решение за хода на болестта (в случая страничните ефекти от лекарствата), спестява средства на здравния бюджет на страната.



Dr. Marc Anliker,
St. Gallen/Switzerland

Е. Българското участие.

Един от фокусите на конференцията беше нивото на здравеопазване в източна Европа. В тази връзка, нашата организация беше поканена да излезе със собствена презентация. Смяя да определя представянето ни като успешно, защото предизвика всеобщото одобрение, както по отношение на детайлното разбиране на болестта и информацията която бяхме успели да съберем и систематизираме за пациентите с ГИСТ в България, така и по отношение на активностите ни за краткия период, в който съществуваме .

Презентацията изнесе Стефан Мандов, член на УС на Сдружението и участник и в други конференции на международно ниво.

След нашето представяне, представителите на други



Нашата презентация

пациентски организации изявиха желание да споделим опит и обменим информация.

По начало, подобни събития са ценни и с възможностите за създаване на контакти, както със специалисти, така и с други сродни организации.

В заключение, мога да определя участието ни на Третата Годишна Конференция на Европейска Мрежа на пациентите със сарком, ГИСТ и дезмоидни тумори като наистина полезно. По време на разговорите с представителите на пациентските организации от Македония и Румъния се зароди и идея за едно Балканско обединение, което, надявам се, няма да остане просто разговор в коридорите, а ще прерасне в градивен проект. На семинара, организиран от нашата организация и предвиден за декември, ще ви разкажа и за новостите в лечението на ГИСТ, представени от проф. д-р Паоло Казали и проф. д-р Пьотр Рутковски.



Стефан Мандов

Юлиана Попова

Председател на „Сдружение на пациентите с ГИСТ в България“