



PRZEŁOMOWE INNOWACJE FARMACEUTYCZNE

doświadczenia
rekomendacje
perspektywy

Opracowanie raportu:
Instytut Innowacyjna Gospodarka dla INFARMA

Autorzy:
Hubert Bukowski
dr n. med. Jakub Gierczyński, MBA
(rozdział Dotychczasowe przełomowe innowacje farmaceutyczne)

Redakcja:
Paulina Manduch
Lidia Sobańska

Redakcja merytoryczna:
Marta Winiarska, INFARMA
Anna Kacprzyk, INFARMA

**Raport zawiera fragmenty wywiadów zrealizowanych przez INFARMĘ
w ramach kampanii „Zdrowszy Świat”.**

Pełna wersja raportu dostępna jest na www.infarma.pl

Spis treści

Słowo wstępne	4
Recenzje	5
1. Innowacje w medycynie i ich znaczenie	8
1.1. Przełomowe innowacje farmaceutyczne	9
1.1.a. Wpływ innowacji farmaceutycznych na długość życia pacjentów	10
1.1.b. Wpływ innowacji farmaceutycznych na jakość życia pacjentów	13
1.1.c. Innowacje farmaceutyczne i ich znaczenie ekonomiczne	14
1.1.d. Znaczenie systemowe innowacji farmaceutycznych	15
1.1.e. Przełomy farmaceutyczne w odpowiedzi na najważniejsze wyzwania zdrowotne	15
2. Opracowanie leków innowacyjnych	16
2.1. Nowe technologie lekowe zarejestrowane w Europie i na świecie	16
3. Dotychczasowe przełomowe innowacje farmaceutyczne	18
3.1. Przełomowe leki w terapii nowotworów	18
3.2. Przełomowe leki w terapii chorób sercowo-naczyniowych	21
3.3. Przełomowe leki w terapii chorób zakaźnych	22
3.4. Przełomowe leki w terapii chorób rzadkich	24
3.5. Przełomowe leki w terapii chorób pulmonologicznych	24
3.6. Przełomowe leki w terapii chorób przewodu pokarmowego	25
3.7. Przełomowe leki w terapii chorób autoimmunologicznych	25
4. Nadchodzące innowacje farmaceutyczne	27
4.1. Terapie CAR-T nowotworów układu krwiotwórczego	27
4.2. Terapie genowe hemofilii typu B	28
4.3. Terapie komórkowe cukrzycy typu 1	29
4.4. Przeciwciała monoklonalne w leczeniu bakteryjnych zakażeń układu oddechowego	30
4.5. Leczenie choroby Alzheimera ukierunkowane na szlak β-amyloidu	31
5. Bariery szerokiego wdrożenia przełomowych innowacji farmaceutycznych	32
5.1. Zaległości implementacji w Polsce	32
5.2. Nieprzejrzysty proces szacowania efektu zdrowotnego	32
5.3. Długi i skomplikowany proces udostępnienia leku pacjentom oraz jego refundacji	33
5.4. Niedofinansowanie systemu ochrony zdrowia i brak narzędzi poprawy efektywności wydatków	34
	35
6. Podsumowanie	

Słowo wstępne

Bogna Cichowska-Duma

dyrektor generalny INFARMA

Szanowni Państwo,

w ciągu ostatnich kilku dziesięcioleci byliśmy świadkami ogromnego postępu w leczeniu chorób zarówno powszechnie występujących, jak i rzadkich. Sukcesy terapeutyczne obserwowane w latach 2000-2009 w dużej mierze zawdzięczamy rozwojowi farmakoterapii. Dane wskazują, że tym okresie to leki przyczyniły się w 73% do wzrostu średniej oczekiwanej długości życia.

Nasza wiedza na temat chorób z roku na rok jest coraz większa, coraz lepiej rozumiemy mechanizmy ich powstawania, a co za tym idzie – jesteśmy w stanie zapewnić pacjentom coraz skuteczniejsze i bezpieczniejsze leki. Dzięki doświadczeniu i zaangażowaniu wybitnych ekspertów sukcesywnie przesuwamy granice nauki.

W niedalekiej przyszłości pojawią się kolejne innowacyjne terapie pozwalające skuteczniej leczyć choroby, które dzisiaj są jeszcze nieuleczalne. Obecnie firmy farmaceutyczne prowadzą badania nad ponad 7000 cząsteczek, które dają nadzieję na lepsze i dłuższe życie chorym na całym świecie. Trwają zaawansowane prace nad przełomowymi terapiami, które będą stosowane między innymi w nowotworach, chorobach układu sercowo-naczyniowego, cukrzycy, chorobach immunologicznych, zakaźnych, psychicznych oraz neurologicznych.

Skuteczne i bezpieczne innowacyjne leki mogą spowolnić progresję choroby, zapobiec jej wystąpieniu lub doprowadzić do całkowitego wyleczenia. W ostatnich dekadach dzięki nowoczesnym terapiom wiele chorób śmiertelnych stało się przewlekłymi, a nieuleczalne udało się wyleczyć. Dziś u niemal 100% chorych na WZW C jest możliwe wykluczenie wirusa HCV, pacjenci z HIV nie umierają w ciągu kilku lat z powodu AIDS. Wielu chorych, którym dotychczas nowotwory odbierały życie w ciągu kilku miesięcy, teraz przez lata pracuje i pełni swoje role społeczne. Innowacyjne terapie pozwalają bowiem nie tylko na skuteczną walkę z chorobą, ale również na zachowanie dobrej jakości życia.

Nowe leki, zapewniając postęp w medycynie, przynoszą korzyści nie tylko pacjentom i ich najbliższym, ale również całemu systemowi opieki zdrowotnej. Dzięki efektywnej alokacji środków publicznych na skuteczne i bezpieczne leki możemy mówić o racjonalnej inwestycji w poprawę wskaźników zdrowotnych społeczeństwa.

W pierwszej połowie 2018 roku Kantar Millward Brown przeprowadził badanie opinii, które wykazało, że wiedza Polaków na temat innowacyjnych leków jest na bardzo niskim poziomie i nie odpowiada faktom. Zdarza się, że mylą je z terapiami eksperymentalnymi, nieprzebadanymi, o nieudowodnionej skuteczności i nieznanym bezpieczeństwie. Taka niewiedza może prowadzić do niewłaściwych wniosków dotyczących korzyści płynących z zastosowania skutecznych i bezpiecznych nowoczesnych opcji terapeutycznych.

Oddajemy w Państwa ręce raport, który w przystępny sposób pokazuje wartość, jaką niesie ze sobą nadchodząca fala innowacyjnych terapii. Mam nadzieję, że stanie się on inspiracją w dialogu na temat tego, jak powinien ewoluować system opieki zdrowotnej, aby zapewnić pacjentom dostęp do najlepszych opcji terapeutycznych. Optymalne rozwiązania w tym zakresie pozwoliłyby na skuteczne leczenie chorych, a jednocześnie na zmniejszenie kosztów pośrednich systemu opieki zdrowotnej związanych z niepotrzebnymi hospitalizacjami, powikłaniami chorób, a także niesprawnością, niesamodzielnnością i obniżoną produktywnością pacjentów.

Zapraszam do lektury.

Recenzje

Beata Ambroziewicz

prezes Polskiej Unii Organizacji Pacjentów

wiceprezes Polskiej Koalicji Pacjentów Onkologicznych

Ostatnie 2 dekady przyniosły ogromny postęp w medycynie, zmierzając w kierunku terapii spersonalizowanych, odpowiadających na potrzeby różnych grup pacjentów. **Słowo innowacje jest jednym z najczęściej wymienianych podczas dyskusji naukowych, akademickich debat i konferencji, jak również w środowisku organizacji pacjentów. Obok innowacji organizacyjnych, systemowych, technologicznych innowacje farmaceutyczne są jednym z kluczowych elementów wpływających na wzrost długości i poprawę jakości życia chorych na całym świecie.** W obliczu wyzwań związanych ze starzeniem się społeczeństwa, wielochorobowością czy zanieczyszczeniem środowiska naturalnego oraz wzrostem zachorowalności na choroby cywilizacyjne nieodzowne wydają się przemyślane inwestycje w skuteczne terapie i poprawę standardów leczenia chorych w celu zapobiegania przedwczesnej umieralności i niesamodzielności obywateli. Doświadczenia i badania pokazują, że wielu chorobom możemy zapobiec, zmieniając styl życia i codzienne nawyki, co jest przedmiotem edukacji i działań organizacji pacjentów. Z drugiej zaś strony, wiele schorzeń ma podłoże genetyczne, rozwija się niezależnie od tego, jak żyjemy, do tego jesteśmy narażeni na wiele czynników ryzyka czy to w miejscu pracy, czy zamieszkania, jak choćby przez kontakt z substancjami rakotwórczymi czy narażenie na smog. W zasadzie każdy z nas na jakimś etapie swojego życia będzie pacjentem, i to niejednokrotnie zmagając się z chorobą przewlekłą lub kilkoma schorzeniami naraz.

Na szczęście w wielu przypadkach postęp farmakoterapii zmienia oblicze chorób i – co za tym idzie – przyszłość pacjentów. Mówimy dziś bowiem o życiu z nowotworem czy chorobą serca, a nie wyroku. **Osoba chora to nie tylko pacjent, ale przede wszystkim pracownik, opiekun rodziny, osoba zaangażowana społecznie, konsument. Choroba nie powinna stygmatyzować, naznaczać i wykluczać z pełnienia ról społecznych, z bycia sobą i realizacji planów i zamierzeń.** Owszem, wiąże z różnymi utrudnieniami, absorbuje czas i finanse, ogranicza sprawność fizyczną i psychiczną – jednak dysponujemy obecnie wieloma narzędziami, które eliminują lub minimalizują wpływ tych czynników. **Kluczowym wyzwaniem jest zapewnienie równego, sprawiedliwego dostępu do nich, w tym innowacji terapeutycznych.**

Raport „Przełomowe innowacje farmaceutyczne” w kompleksowy sposób pokazał, jak choroby i powstające w odpowiedzi na nie innowacje farmakologiczne wpływają na różne aspekty nie tylko życia pojedynczego człowieka i jego bliskich, ale także całej gospodarki i społeczeństwa. Coraz więcej w dyskusji publicznej, w której znaczącą rolę odgrywają też organizacje pacjentów, mówi się o konieczności inwestycji w zdrowie. Przekładają się one bowiem na wzrost dochodów publicznych, rozwój gospodarki i ogólny dobrobyt kraju, w którym wszyscy żyjemy. **Najważniejszym kapitałem każdego państwa są bowiem ludzie i wartość dodana, jaką tworzą intelektualnie, społecznie, ekonomicznie. Należy podkreślić także fakt, że coraz mniejsza liczba osób w wieku produktywnym pracuje na rzecz pozostałych grup społeczeństwa, dlatego utrzymanie zdrowia, ograniczenie absenteizmu, niesprawności do pracy oraz przedwczesnych zgonów powinno być priorytetem państwa.** Potwierdzają to m.in. twarde dane i analizy zawarte w raporcie, które mogą być argumentem przy tworzeniu i realizacji zarówno polityki lekowej, zdrowotnej jak i społecznej.

Liczę, że takie publikacje i wspólna dyskusja wszystkich zainteresowanych stron: pacjentów, środowiska medycznego, producentów leków, ekonomistów oraz decydentów, pozwoli na wypracowanie rozwiązań międzyresortowych, które poprawią nie tylko długość, ale i jakość życia Polaków.

Dr n. med. Krzysztof Chlebus

I Katedra i Klinika Kardiologii, Gdański Uniwersytet Medyczny

Pojęcie innowacyjności jest w ostatnich latach zdecydowanie nadużywane, w czego efekcie jego wartość została skutecznie zdevaluowana. W takiej sytuacji wskazanie istotnych zmian cywilizacyjnych, będących następstwem stworzenia i wprowadzenia w życie realnych innowacji, jest przedsięwzięciem tyleż trudnym, co wartościowym. Era postprawdy, w której przyszło nam żyć, sprawiła, że w powszechnej świadomości zatarło się znaczenie prawdziwych osiągnięć nauki i przemysłu, które tak istotnie zmieniły naszą rzeczywistość w ciągu ostatnich kilkudziesięciu lat. Dotyczy to również – co szczególnie bolesne – medycyny, czego egzemplifikacją są choćby ruchy antyszczepionkowe czy irracjonalny opór społeczny przed stosowaniem statyn.

Raport „Przełomowe innowacje farmaceutyczne – doświadczenia, rekomendacje, perspektywy” spełnia doskonale funkcję swoistego antidotum na opisane problemy. Prezentując w sugestywny sposób efekty zastosowania nowoczesnych terapii w onkologii, kardiologii, chorobach zakaźnych, a nawet w wybranych chorobach rzadkich, przypomina nam o prawdziwej rewolucji, jaka dokonała się – i wciąż trwa – w leczeniu najistotniejszych populacyjnie chorób. Co ważne, raport demonstrowa nie tylko epidemiologiczne parametry poprawy sytuacji (spadek śmiertelności), ale również ekonomiczne konsekwencje takiej zmiany. Siłę przekazu wzmacnia opis perspektyw rozwoju innowacyjnych terapii w tak ważnych społecznie schorzeniach, jak cukrzyca typu 2, hemofilia, choroba Alzheimera czy choroby nowotworowe układu krwiotwórczego.

Opisując pozytywne skutki wprowadzania innowacji farmaceutycznych, nie sposób pominąć roli przemysłu farmaceutycznego, będącego nie tylko producentem, ale również kreatorem innowacji. Autorzy raportu przypominają o skali nakładów finansowych przemysłu farmaceutycznego na badania i rozwój (najwyższe spośród innych branż) oraz o bardzo wysokim poziomie ryzyka związanego z inwestycjami w tę dziedzinę. To ważne w kontekście dyskusji na temat roli przemysłu farmaceutycznego w gospodarce oraz klimatu emocji społecznych wynikających z medialnych doniesień o nadmiernym merkantylizmie tej branży. Warto pamiętać, że skala nakładów oraz poziom ryzyka i długoterminowa (i niepewna) stopa zwrotu sprawiają, że mimo krytyki przemysłu farmaceutycznego żadne państwo nie zdołało stworzyć istotnej dla niego alternatywy. Ta część raportu jest ważnym elementem budowania świadomości społecznej co do realnych kosztów powstawania innowacji w zakresie nowych terapii farmakologicznych.

Rozwój przemysłu farmaceutycznego jako silnego elementu nowoczesnej gospodarki jest przedmiotem starań decydentów politycznych w wielu wysoko rozwiniętych państwach świata. Również w naszym kraju padają deklaracje o tworzeniu systemu zachęt prawnych i finansowych dla wspierania rozwoju firm inwestujących w Polsce. Realność tych obietnic zweryfikuje czas, ale już dziś warto zdiagnozować sytuację pod kątem istniejących utrudnień dla potencjalnych inwestorów. Autorzy raportu opisują podstawowe bariery wdrażania innowacji medycznych w naszym kraju, rekomendując jednocześnie konkretne działania naprawcze: od niedofinansowania systemu ochrony zdrowia i braku narzędzi poprawy efektywności wydatków, poprzez długi, skomplikowany i nieprzejrzysty proces decyzji refundacyjnych, aż po silosowość instytucji i trudności w ocenie efektu zdrowotnego. To ważny przyczynek do debaty na temat optymalizacji warunków do inwestowania w branżę farmaceutyczną w naszym kraju.

Prof. dr hab. Elżbieta Mączyńska

Szkoła Główna Handlowa w Warszawie, Polskie Towarzystwo Ekonomiczne

Raport dotyczy jednego z fundamentalnych problemów w skali nie tylko krajowej, ale i globalnej. Racjonalizacja decyzji w sferze ochrony zdrowia i optymalne wykorzystywanie innowacji medycznych stają się obecnie przedmiotem troski głównych aktorów życia społeczno-gospodarczego i politycznego, zwłaszcza kreatorów polityki ochrony zdrowia w niemal wszystkich krajach rozwiniętych. Polska na tym tle nie prezentuje się, niestety, najlepiej.

Autorzy raportu podkreślają, że zdrowie przesądza o jakości życia ludzi i jest fundamentalnym, obok dochodów, składnikiem dobrobytu społecznego. To twierdzenie można uznać za truizm, ale w Polsce wobec niesatysfakcjonującego poziomu opieki zdrowotnej wciąż trzeba je powtarzać i przypominać. Czynią to też autorzy raportu, wskazując na potencjał innowacji farmaceutycznych, ale zarazem identyfikując finansowe i biurokratyczne bariery ich wdrażania. Wskazują na błędy w polityce ochrony zdrowia, systemowe zaniedbania i zaniechania dotyczące tego sektora, w tym ograniczenia w dostępie pacjentów do innowacji medycznych, co skutkuje pogarszaniem się jakości życia, a w skrajnych przypadkach skutkować może zwiększoną umieralnością ludzi.

Analizy sektora ochrony zdrowia oraz rozmaite materiały eksperckie i statystyki, w tym przedstawiane w recenzowanym raporcie, wykazują, że Polskę charakteryzuje jeden z najniższych w Europie poziomów wydatków publicznych na ochronę zdrowia w stosunku do PKB (4,6% w 2017 roku), co staje się barierą wdrażania innowacji medycznych.

Autorzy raportu podkreślają, że brakuje przy tym narzędzi zwiększających efektywność środków finansowych na ochronę zdrowia. Polskę charakteryzują niestety z jednej strony relatywnie niskie nakłady na ochronę zdrowia w relacji do PKB, a z drugiej – wyraźne, różnorodne przejawy nieefektywnego gospodarowania tymi środkami ze znaczną dozą ich marnotrawstwa. Przejawów takich jest wiele – począwszy od marnowania czasu ekspertów medycznych na biurokratyczną mitręgę, poprzez stosowanie pseudooszczędnościowych, pozornie tańszych metod leczenia, niepotrzebne powtarzanie czy nawet multiplikowanie czynności medycznych, a kończąc na szkodliwym priorytecie samych procedur, zamiast nadania priorytetu dobru pacjenta.

Niezbędne jest traktowanie nakładów na ochronę zdrowia jako inwestycji stanowiących niezbędny czynnik wzrostu gospodarczego, w tym także utrzymania strategicznego potencjału wytwórczego kraju. Jest to istotne zwłaszcza w warunkach niekorzystnych przemian demograficznych, w tym zmniejszającej się liczby ludności i starzenia się społeczeństwa. Wskazuje to zarazem na rangę kompleksowego rachunku kosztów i efektów przełomowych innowacji medycznych.

Recenzowany raport może stanowić przekonującą argumentację i metodologiczne podłoże służące wdrażaniu takiego rachunku, a przede wszystkim racjonalizacji podejmowanych na różnych szczeblach decyzji dotyczących innowacji farmaceutycznych i ich wdrażania.

Raport ten może być potraktowany jako ważne ostrzeżenie dotyczące skali i następstw nieprawidłowości w polityce kształtowania nakładów na ochronę zdrowia oraz nieprawidłowości w kształtowaniu struktury tych nakładów, w tym przede wszystkim niedostatecznego udziału nakładów na innowacje farmaceutyczne. Powinien stanowić obowiązkową lekturę dla głównych kreatorów polityki w sferze ochrony zdrowia w Polsce.

1. Innowacje w medycynie i ich znaczenie

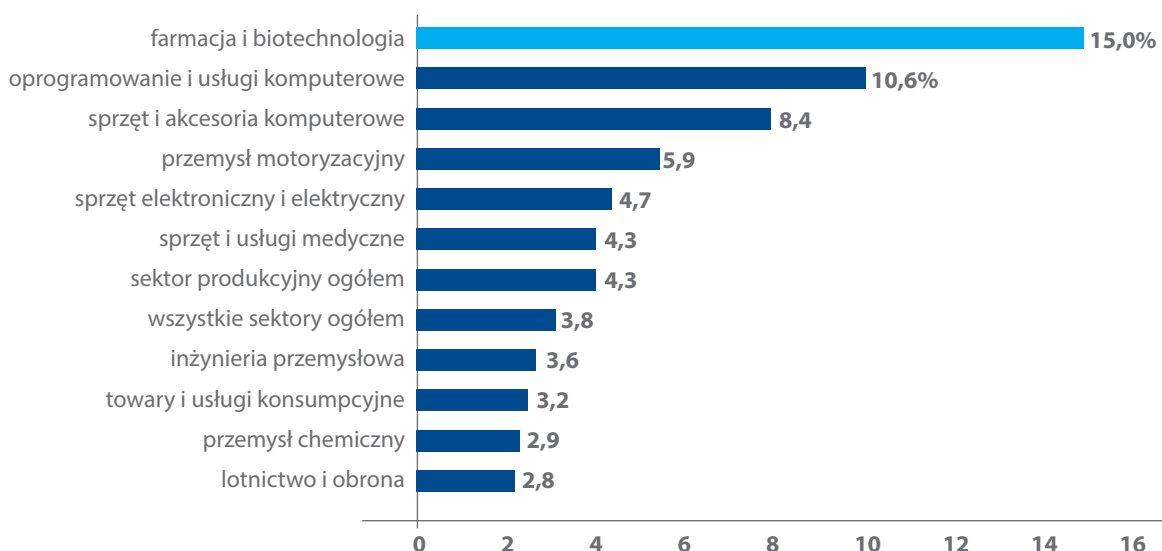
Odkrycia naukowe w dziedzinie medycyny na przestrzeni stuleci zmieniały życie pacjentów.

Rosnąca wiedza na temat ludzkiego ciała oraz mechanizmów chorób, będąca wynikiem bezustannych wysiłków badaczy, prowadzi do powstawania nowych terapii i metod diagnostycznych, których celem jest wydłużanie życia oraz podnoszenie jego jakości. Dzięki innowacyjnym produktom i usługom współczesna medycyna przynosi pacjentom korzyści, które wcześniej wydawały się nieosiągalne.

Międzynarodowa Organizacja Współpracy Gospodarczej i Rozwoju (OECD) definiuje innowację jako wdrożenie całkowicie nowego lub istotnie ulepszanego produktu (wyrobu bądź usługi). Innowacja może dotyczyć również marketingu, procesu, organizacji w zakresie praktyk biznesowych, organizacji miejsca pracy, formy pracy, a nawet relacji ze środowiskiem. Innowacje pojawiają się w każdym sektorze gospodarki¹.

Jednym z najbardziej innowacyjnych sektorów jest sektor farmaceutyczny i biotechnologiczny, który wyprzedza takie gałęzie przemysłu, jak IT, przemysł motoryzacyjny czy elektroniczny. Wysoką pozycję zajmuje również sektor sprzętu i usług medycznych.

Wykres 1. Ranking sektorów przemysłowych według ogólnej intensywności sektora R&D (R&D wyrażone jako procent sprzedaży netto – 2016 r.)



Źródło: *The Pharmaceutical Industry in Figures 2018*, https://efpia.eu/media/361960/efpia-pharmafigures2018_v07-hq.pdf

Światowa Organizacja Zdrowia wskazuje, że celem innowacji w zakresie zdrowia jest opracowanie i dostarczanie nowych lub ulepszonych polityk zdrowotnych, systemów, produktów, technologii oraz usług i metod ich świadczenia, które wpłyną na poprawę zdrowia ludzi².

Niewątpliwie w aspekcie ochrony zdrowia to innowacje produktowe są fundamentem rozwoju pozostałych typów innowacji (tj. procesowych, marketingowych, organizacyjnych) i mają kluczowe znaczenie dla systemu ochrony zdrowia. Źródłem innowacji produktowych jest między innymi przemysł farmaceutyczny.

1. Oslo Manual, OECD, 2005.

2. <https://www.who.int/topics/innovation/en/>.

1.1. Przełomowe innowacje farmaceutyczne

Przełomy w medycynie są związane między innymi z opracowaniem nowych leków. To one sprawiają, że choroby dotychczas nieuleczalne stają się uleczalne, a śmiertelne stają się chorobami przewlekłymi. Wykorzystanie innowacyjnych leków, w określonych jednostkach chorobowych, pozwala na uzyskanie niezaprzeczalnych korzyści zdrowotnych u poszczególnych chorych, a także w szerszym kontekście korzyści społeczno-gospodarczych.

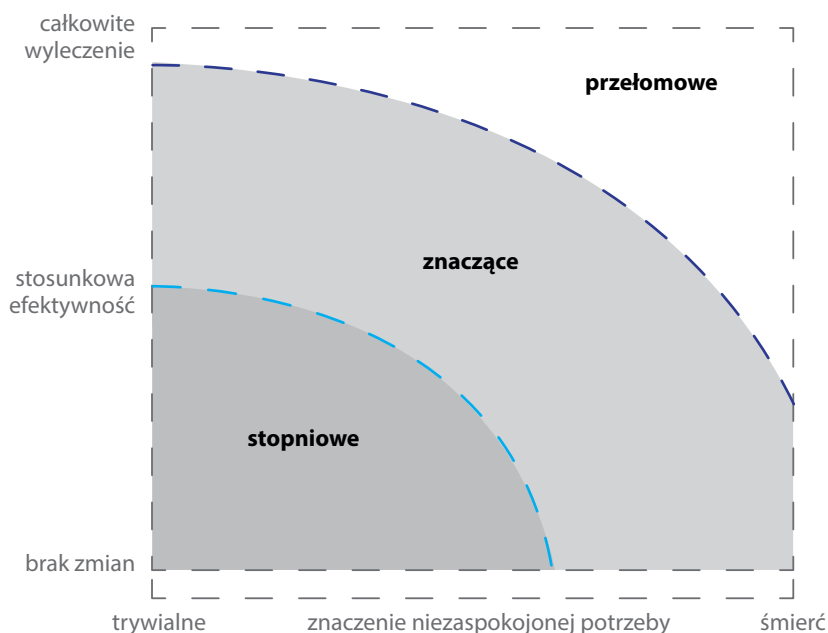
Innowacja przełomowa to taka, której głównym walorem jest nie tyle sam fakt nowości, ale właśnie jej znaczące, pozytywne skutki społeczne oraz ekonomiczne. Innowacje w medycynie wpływają na życie chorych, pozwalając szybciej wykrywać choroby i coraz skuteczniej je leczyć.

W przypadku innowacji farmaceutycznych istotny jest ich wpływ nie tylko na wyniki zdrowotne, ale również na jakość życia pacjentów, możliwość ich powrotu do pracy i pełnienia ról społecznych. Dodatkowo szerokie stosowanie skutecznych leków o wysokim profilu bezpieczeństwa pozwala na efektywne wykorzystanie środków publicznych w ochronie zdrowia.

Dany lek może zostać uznany za innowację farmaceutyczną, jeżeli w inny niż do tej pory sposób odpowiada na niespełnione lub nieodpowiednio zaspokojone potrzeby zdrowotne. Jego innowacyjność będzie zależać między innymi od skuteczności, bezpieczeństwa i wygody użytkowania w porównaniu z dotychczas dostępnymi technologiami.

W zależności od znaczenia danej innowacji farmaceutycznej dla niespełnionej potrzeby zdrowotnej, której dotyczy, oraz stopnia, w jakim poprawia ona wyniki zdrowotne związane z tą potrzebą, **innowację farmaceutyczną można uznać za: stopniową, znaczącą lub przełomową.**

Wykres 2. Rodzaje innowacji farmaceutycznych



Źródło: opracowanie własne na podstawie Morgan i współautorzy (2008)

O przełomie możemy mówić, jeżeli innowacyjny lek odpowiada na znaczącą niezaspokojoną potrzebę zdrowotną i zapewnia wysoką skuteczność w porównaniu z istniejącymi metodami leczenia.

1.1.a. Wpływ innowacji farmaceutycznych na długość życia pacjentów

Innowacje farmaceutyczne przyczyniają się do zmniejszenia wskaźników śmiertelności i wpływają na stopniowe wydłużanie życia ludzkiego. Średnia długość życia od połowy XIX w. wzrosła o 40 lat³.

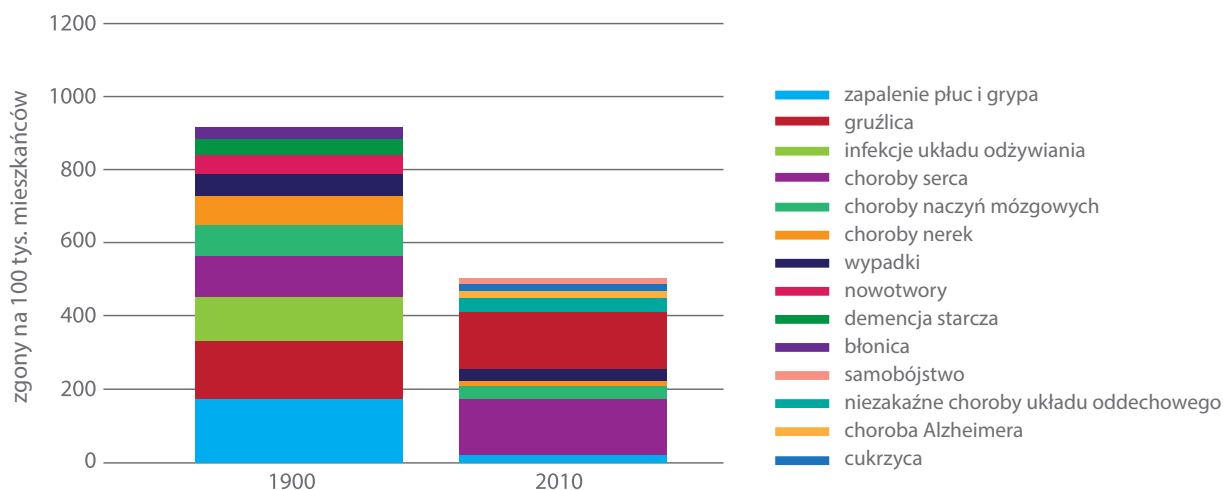
Na początku ubiegłego wieku wydłużenie życia było spowodowane przede wszystkim poprawą warunków mieszkalnych, zmianą diety i wzrostem poziomu higieny związanym z dostępem do czystej wody. Jednak obok stabilizacji warunków bytowych coraz istotniejszą rolę we wzroście średniej długości życia odgrywały terapie lekowe. W XX wieku do poprawy przeżywalności w największym stopniu przyczyniło się odkrycie i powszechne stosowanie antybiotyków oraz szczepionek.

Dziś, kiedy problemy związane z dostępem do higieny czy warunkami bytowymi zostały w dużej mierze rozwiązane, wpływ stosowania skutecznych i bezpiecznych leków na wydłużanie życia jest coraz ważniejszy. Wskazuje na to między innymi raport OECD, który na podstawie danych z 30 państw szacuje, że w latach 2000-2009 do wzrostu średniej oczekiwanej długości życia w 73% przyczyniły się innowacyjne leki⁴. Część z nich pozwala na osiągnięcie wręcz spektakularnych efektów w tym zakresie.

Innowacje farmaceutyczne to jedno z najpotężniejszych narzędzi pomagających ludziom żyć dłużej, zdrowiej i bardziej produktywnie. Raport OECD „Pharmaceutical Innovation and Access to Medicines”⁵ z 2018 roku wskazuje przykłady wielkich sukcesów, wymieniając terapie, takie jak: leki antyretrowirusowe, antynowotworowe czy przeciw WZW C. Dzięki tym lekom od lat 80. ubiegłego wieku obserwuje się znaczny spadek śmiertelności z powodu HIV (o ponad 80%), od lat 90. z powodu raka (o 20%), a w ostatnim czasie spektakularne zmniejszenie śmiertelności w przypadku wirusowego zapalenia wątroby typu C (90%). Terapie te, często z dużym opóźnieniem, stają się dostępne także w Polsce.

Na ogromną rolę innowacji farmaceutycznych w procesie zwiększania średniej długości życia wskazuje również analiza przyczyn zgonów na przestrzeni ostatnich 100 lat. Na przykładzie USA można zaobserwować zmiany zachodzące na całym świecie.

Wykres 3. Podstawowe 10 przyczyn zgonów w USA w 1900 i 2010 roku



Źródło: Jones D.S., Podolsky S.H., Greene J.A., *The Burden of Disease and the Changing Task of Medicine*, *New England Journal of Medicine* 2012.

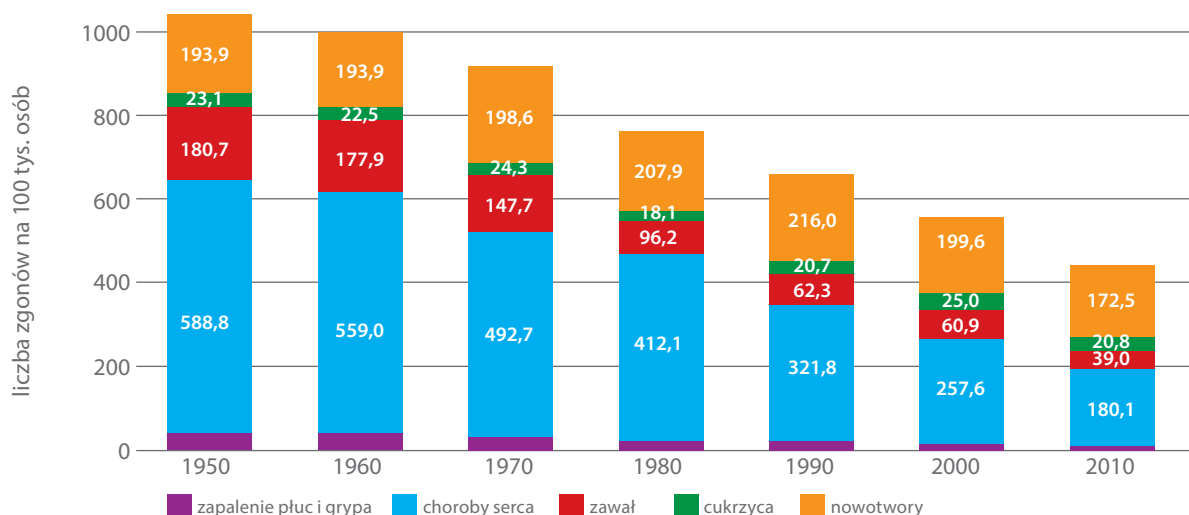
3. Innovation. WHO, 2018, dostępne: <http://www.who.int/topics/innovation/en/>.

4. Lichtenberg F.R., *Pharmaceutical innovation and longevity growth in 30 developing OECD and high-income countries, 2000-2009*. Working Paper 18235, National Bureau of Economic Research 2012.

5. *Pharmaceutical Innovation and Access to Medicines*, OECD, 2018, dostępne: <https://doi.org/10.1787/9789264307391-en>.

Na niezaprzeczalny wpływ innowacji medycznych na wydłużenie życia wskazuje również poniższy wykres. Wprowadzenie nowych leków znacząco wpłynęło na spadek śmiertelności w przypadku chorób zakaźnych, które od 1960 roku przestały być już tak powszechne. Podobnie jest w przypadku chorób cywilizacyjnych, jak cukrzyca, nowotwory czy choroby kardiologiczne, gdzie wprowadzanie innowacyjnych leków w latach 1950-1980 spowodowało, że śmiertelność spadła, a średnia długość życia wzrosła.

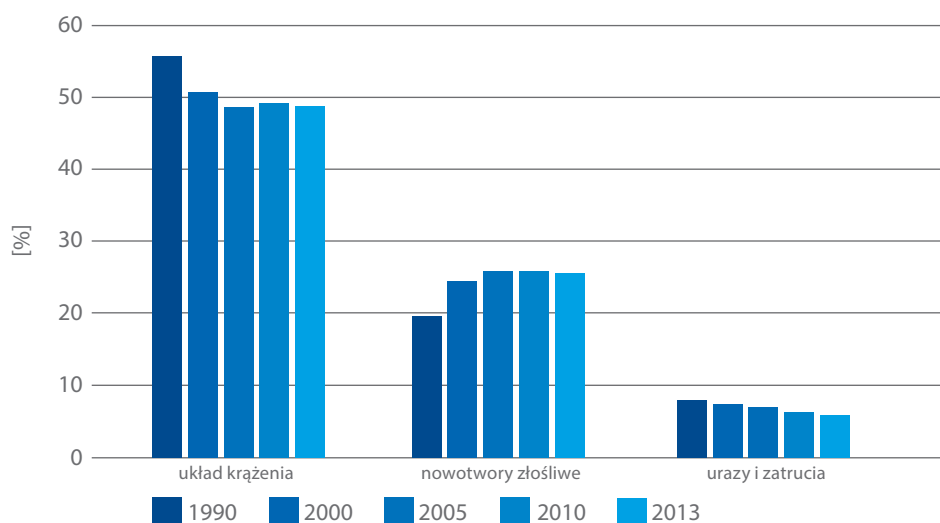
Wykres 4. Wpływ innowacyjnych leków na oczekiwaną długość życia



Źródło: Centers for Disease Control and Prevention and National Center for Health Statistics, National Vital Statistics System 2011, dostępne: <http://www.cdc.gov/nchs/nvss.htm>. Accessed 11/12/12

W przypadku Polski spadek śmiertelności najlepiej obrazuje analiza zgonów z powodu chorób kardiologicznych, których liczba znacząco zmniejsza się od 1990 roku. Przyczyną może być poprawa dostępności do kardiologii inwazyjnej, ale także rosnąca dostępność leków nowej generacji.

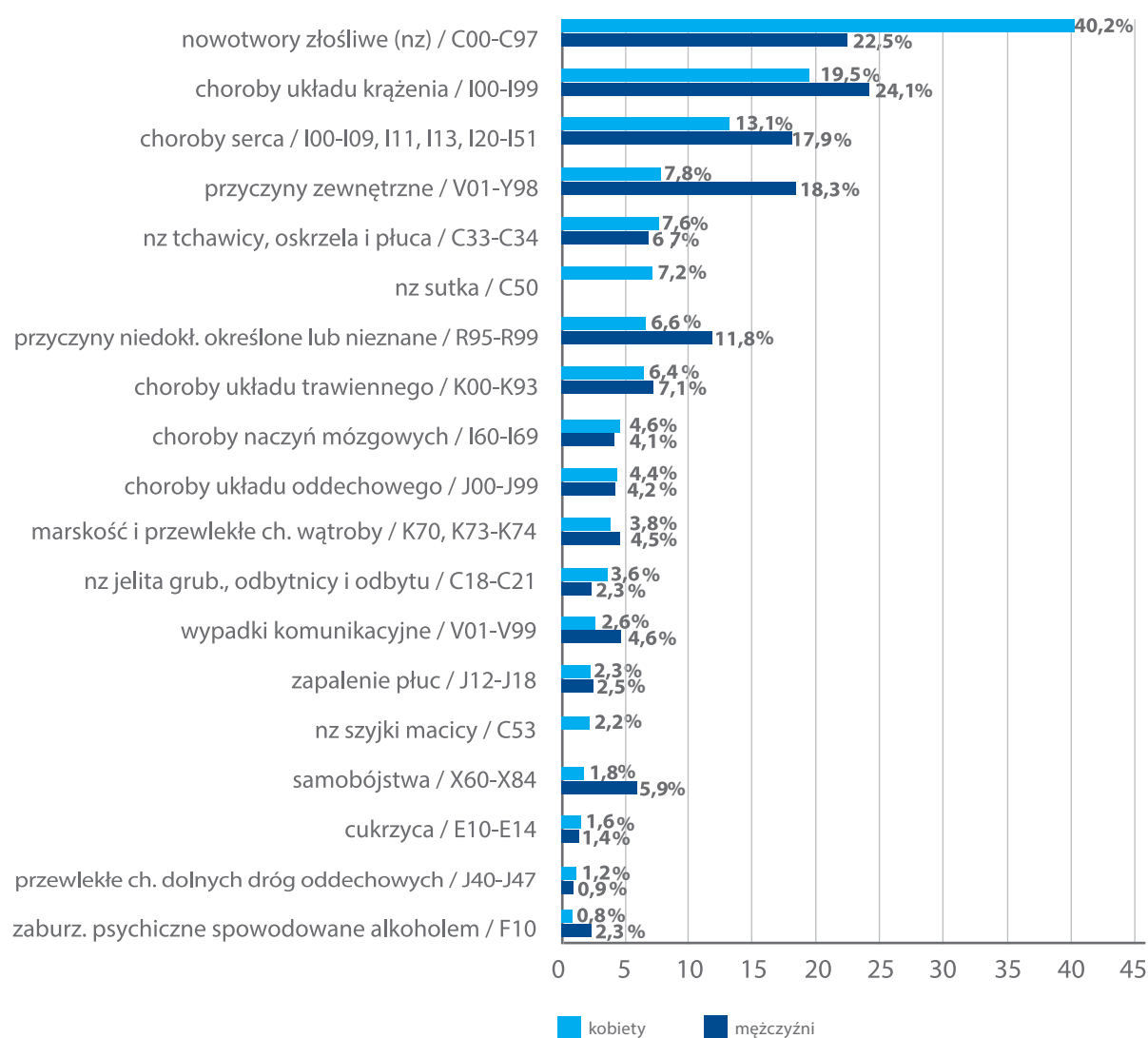
Wykres 5. Przyczyny zgonów w Polsce w latach 1990-2013



Źródło: Zachorowalność i umieralność na choroby układu krążenia a sytuacja demograficzna Polski, 2015, Rządowa Rada Ludnościowa, red. prof. Z. Strzelecki oraz prof. J. Szymborski, dostępne http://bip.stat.gov.pl/organizacja-statystyki-publicznej/rzadowa-radaludnosciowa/publikacje-rzadowej-rady-ludnosciowej/https://stat.gov.pl/files/gfx/portalinformacyjny/pl/defaultaktualnosci/5468/22/1/1/statystyka_umieralnosci_w_wyniku_chuk.pdf.

W Polsce, podobnie jak w innych państwach, średnia długość życia rośnie. Jednak porównując dane WHO dla różnych państw, możemy zauważyć, że poziom, który osiągnęliśmy dzisiaj, kraje UE osiągnęły już wiele lat temu. Jak wskazuje w najnowszym raporcie NIZP-PZH, powołując się na zestawienia WHO, mężczyźni w Polsce żyją o ok. 4,5 roku krócej niż wynosi średnia długość życia mieszkańców UE. Długość życia Polaków w 2015 roku była równa unijnej średniej z 1999 roku, a więc pod tym względem jesteśmy 16 lat wstecz. W przypadku kobiet sytuacja wygląda zdecydowanie lepiej. Żyją niespełna 2 lata krócej niż wynosi unijna średnia dla tej płci. Długość życia Polek była więc taka jak unijna średnia 11 lat wcześniej⁶. Najświeższe zestawienie NIZP-PZH obrazujące udział najważniejszych przyczyn zgonów w utraconych potencjalnych latach życia w Polsce zostało zaprezentowane na wykresie poniżej.

Wykres 6. Udział najważniejszych przyczyn zgonów w utraconych potencjalnych latach życia mężczyzn i kobiet w 2016 roku



Źródło: raport PZH: „Sytuacja zdrowotna ludności Polski i jej uwarunkowania”, red. Wojtyniak B., Goryński P., dostępne: http://bazawiedzy.pzh.gov.pl/wp-content/uploads/2019/01/sytuacja_zdrowotna_2018.zip

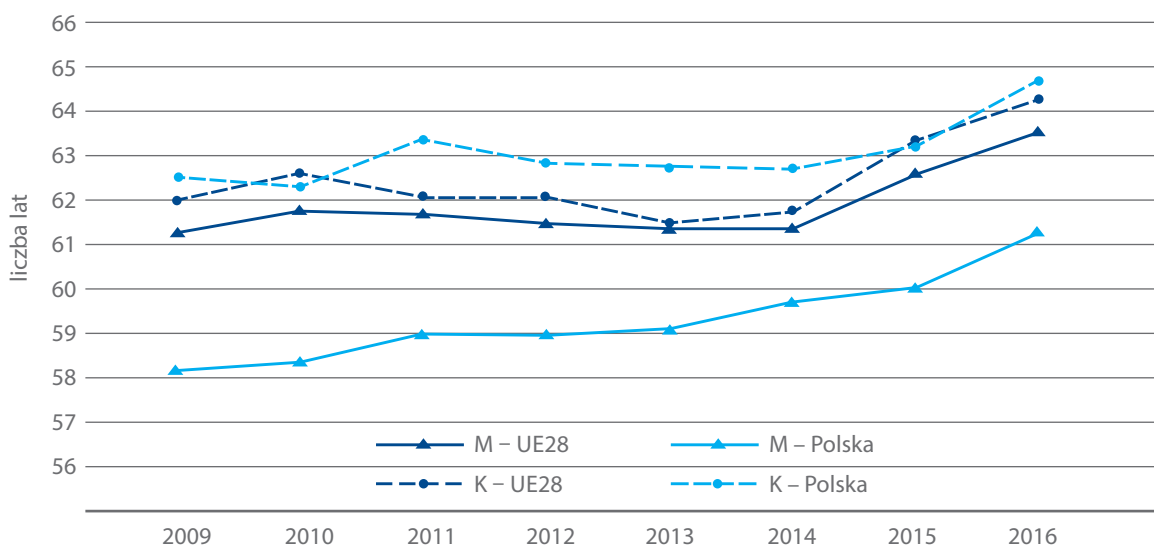
6. Raport „Sytuacja zdrowotna ludności Polski i jej uwarunkowania”, red. Wojtyniak B., Goryński P., NIZP-PZH, 2018.

1.1.b. Wpływ innowacji farmaceutycznych na jakość życia pacjentów

Leki innowacyjne dzięki lepszej skuteczności, wygodzie stosowania i ograniczeniu działań niepożądanych znacząco poprawiły komfort życia wielu pacjentów. Skuteczne leczenie nie polega bowiem jedynie na wydłużeniu życia, ale również na poprawie jego jakości w chorobie. Celem stosowania innowacji farmaceutycznych jest jak najszybsze wyleczenie pacjenta lub znacząca poprawa jego stanu zdrowia w możliwie najbezpieczniejszy sposób, z dbałością o jego stan ogólny i samopoczucie. Nawet w przypadkach gdy całkowite wyleczenie nie jest możliwe, nowoczesne leki pozwalają chorym na pełnienie ról społecznych oraz zawodowych (np. dzięki ograniczeniu liczby hospitalizacji, utrzymaniu sprawności). Dobrym przykładem są nowoczesne insuliny, które między innymi zmniejszają ryzyko utraty wzroku, amputacji kończyn i wystąpienia innych powikłań znacznie ograniczających sprawność chorych z cukrzycą, czy nowoczesne leki minimalizujące ryzyko zakrzepu, dzięki którym pacjenci po udarze wracają do poprzedniego stanu zdrowia lub znacząco zmniejsza się ich niepełnosprawność.

Publikacje statystyczne, na przykład Eurostatu, OECD, WHO czy Banku Światowego, podkreślają wagę parametrów związanych z jakością życia. Na podstawie zestawień, w których jest analizowana między innymi długość życia w zdrowiu i samodzielności, można wnioskować o znaczeniu jakości życia nie tylko dla poszczególnych pacjentów, ale również dla całego społeczeństwa.

Wykres 7. Przeciętna długość życia w zdrowiu [bez ograniczenia sprawności mężczyzn (M) i kobiet (K)], i średnia dla krajów UE w latach 2009-2016, dane: Eurostat]



Źródło: dane Eurostatu (2009-2016) – raport PZH „Sytuacja zdrowotna ludności Polski i jej uwarunkowania”, red. Wojtyniak B., Goryński P., dostępne: http://bazawiedzy.pzh.gov.pl/wp-content/uploads/2019/01/sytuacja_zdrowotna_2018.zip

Ze społecznego punktu widzenia istotne jest utrzymanie samodzielności. Niesamodzielność, definiowana jako niemożność samodzielnego wykonywania czynności dnia codziennego i konieczność korzystania z pomocy osób trzecich przy zaspokajaniu tych potrzeb, w dużym stopniu jest skorelowana z podeszłym wiekiem, ale może również dotyczyć osób młodych i wynikać ze złego stanu zdrowia. Ograniczenie aktywności zawodowej i społecznej osób niesamodzielnych, wymagających stałej opieki, wiąże się z koniecznością zapewnienia opieki socjalnej.

Stosowanie skutecznych i coraz bardziej bezpiecznych leków innowacyjnych ma na celu zarówno utrzymywanie jak najdłużej samodzielności pacjentów, a także zmniejszanie cierpienia związanego z chorobą, jak i podniesienie jakości życia mimo wielu dysfunkcji – na przykład osób z chorobami rzadkimi mającymi często podłoże genetyczne.

1.1.c. Innowacje farmaceutyczne i ich znaczenie ekonomiczne

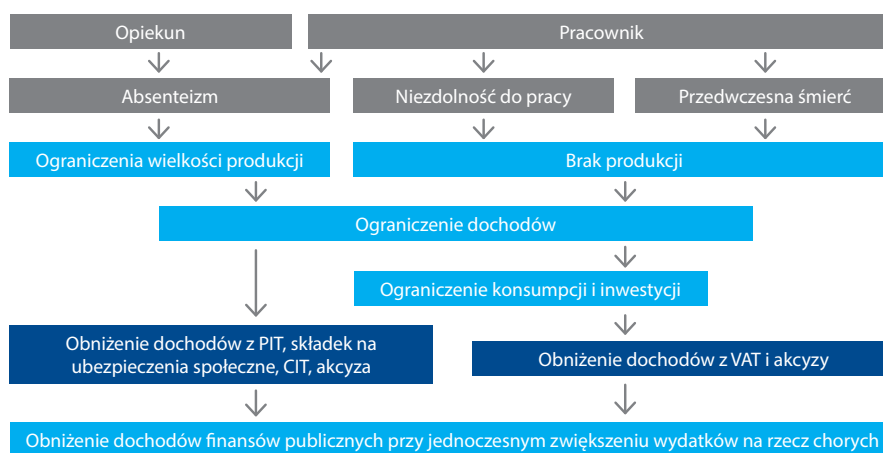
Wydłużenie życia i polepszenie jego jakości ma nie tylko ogromne znaczenie dla samych pacjentów i ich rodzin, ale wywiera również pozytywny wpływ na całe społeczeństwo i gospodarkę.

Ograniczenie aktywności zawodowej i społecznej osób niesamodzielnych wymagających stałej opieki wiąże się zarówno z utratą produktu krajowego brutto (jednego z podstawowych mierników efektów pracy społeczeństwa danego kraju), jak i dodatkowym obciążeniem budżetu publicznego, na przykład w związku z koniecznością wypłaty rent czy wcześniejszych emerytur.

Obniżona zdolność chorych do wykonywania pracy wiąże się często z obniżeniem bądź utratą wynagrodzenia zarówno pacjentów, jak i członków ich rodzin, którzy się nimi opiekują. Choroba dotyka także pracodawców, którzy tracą wartościowych pracowników, borykają się ze spadkiem ich produktywności, co może mieć przełożenie na produkcję, sprzedaż i zyski. W efekcie stan zdrowia społeczeństwa ma wpływ na sektor finansów publicznych, do którego wpływa mniej podatków i składek, za to zwiększają się wydatki na świadczenia socjalne, a dodatkowo powstają wydatki związane z leczeniem.

Analiza kosztów chorób i ich wpływu na gospodarkę wymaga spojrzenia holistycznego obejmującego nie tylko bezpośrednie koszty związane między innymi z wydatkami na leki, poradami lekarskimi czy niezbędną rehabilitacją, ale także koszty pośrednie związane na przykład z absencją chorych, ich obniżoną wydajnością (presenteizm) czy kosztami rent i innych świadczeń.

Wykres 8. Skutki choroby dla gospodarki i ich wpływ na finanse publiczne



Źródło: Nojszewska E., Bodnar L., Łyszczarz B., Sznurkowski J. J., Śliwczyński A., Ocena strat ekonomicznych i kosztów leczenia nowotworów piersi, szyjki macicy i jajnika w Polsce, Instytut Innowacyjna Gospodarka, 2016

Ograniczenie skutków chorób ma niewątpliwie pozytywny wpływ na gospodarkę. Analizy wskazują, że jednonprocentowy wzrost przewidywanej długości życia populacji może mieć przełożenie na wzrost PKB nawet o 6% czy wzrost PKB per capita na poziomie 5% (inne źródła szacują, że wzrost długości życia populacji o jeden rok przekłada się na 4% wzrostu PKB)^{7,8}.

Nie tylko jednak oczekiwana długość życia ma wpływ na wyniki gospodarcze. Bezpośrednio rzutuje na nie także nieobecność na rynku pracy. Szacunkowa absencja na poziomie od 3% do 6% czasu pracy oznacza roczny koszt na poziomie ok. 2,5% PKB⁹.

Nowoczesne terapie poprzez coraz większą skuteczność, bezpieczeństwo oraz wygodę stosowania wpisują się znakomicie w możliwość ograniczenia negatywnego oddziaływania chorób na gospodarkę. Umożliwiają bowiem zmniejszenie skutków chorób, wpływają na redukcję absencji chorobowych, a także pozwalają na szybkie i długotrwałe przywrócenie pacjentów na rynek pracy. W ten sposób wpływają na wartość jednego z podstawowych czynników wzrostu gospodarczego, jakim jest kapitał ludzki.

7. Swift R., The relationship between health and GDP in OECD countries in the very long run, Health Economics 2011.

8. The WHO 2010 Global Report on Non-Communicable Diseases, World Health Organization 2011.

9. EUROFOUND, Absence from work report, European Foundation for the Improvement of Living and Working Conditions 2010.

1.1.d. Znaczenie systemowe innowacji farmaceutycznych

Wydłużenie życia i polepszenie jego jakości ma nie tylko ogromne znaczenie dla samych pacjentów i ich rodzin, ale wywiera również pozytywny wpływ na całe społeczeństwo i gospodarkę.

Innowacje farmaceutyczne podnoszą efektywność procesu terapeutycznego w przypadku bardzo wielu schorzeń. Efektywność ta może być postrzegana zarówno przez pryzmat efektów zdrowotnych, jak i obniżenia kosztów leczenia oraz szerzej – choroby. Stosowanie coraz bardziej skutecznych i bezpiecznych leków pozwala na przykład ograniczać liczbę kosztownych hospitalizacji dzięki leczeniu w warunkach ambulatoryjnych czy unikaniu zaostrzeń lub powikłań choroby.

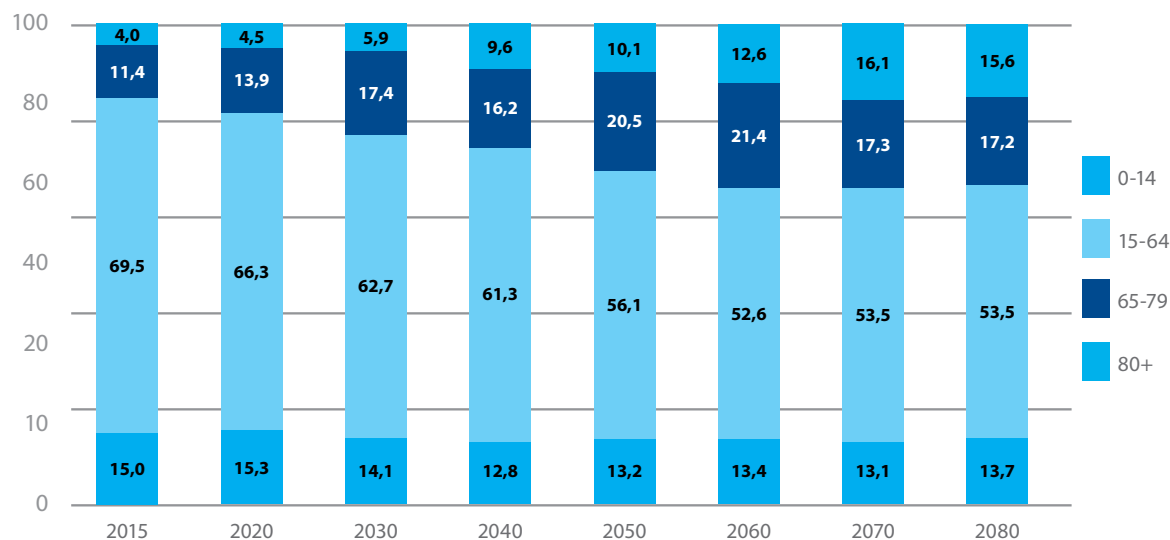
Pozytywne skutki szerokiego zastosowania leków innowacyjnych odczuwają wszyscy uczestnicy systemu ochrony zdrowia. Pacjentom rośnie komfort życia z chorobą i poprawiają się efekty leczenia. Osoby aktywne zawodowo, mając dostęp do najnowocześniejszych rozwiązań terapeutycznych, mogą dalej realizować się w pracy bez spadku lub z niewielkim spadkiem efektywności. Dla systemu ochrony zdrowia stosowanie innowacji oznacza między innymi zmniejszenie zapotrzebowania na drogie usługi zdrowotne, takie jak leczenie szpitalne czy leczenie powikłań¹⁰.

1.1.e. Przełomy farmaceutyczne w odpowiedzi na najważniejsze wyzwania zdrowotne

Rozwój innowacji farmaceutycznych będzie coraz bardziej zmierzał w stronę zminimalizowania problemów zdrowotnych związanych między innymi ze starzeniem się społeczeństwa i rozpowszechnieniem chorób cywilizacyjnych.

Starzejące się społeczeństwo będzie jednym z głównych wyzwań, przed jakimi stanie medycyna. W nadchodzących dekadach, także w Polsce, znacząco wzrośnie odsetek osób starszych. Według prognoz Eurostatu liczba ludności w naszym kraju w 2050 roku wyniesie nieco ponad 34 mln. W porównaniu do 2015 roku oznacza to zmniejszenie populacji o ok. 4 mln osób (ok. 9,6%) oraz zmianę struktury demograficznej ze znaczącym wzrostem osób w wieku poprodukcyjnym. Jest to przede wszystkim efekt niskiego przyrostu naturalnego.

Wykres 9. Prognoza odsetka populacji Polski według grup wiekowych



Źródło: Eurostat

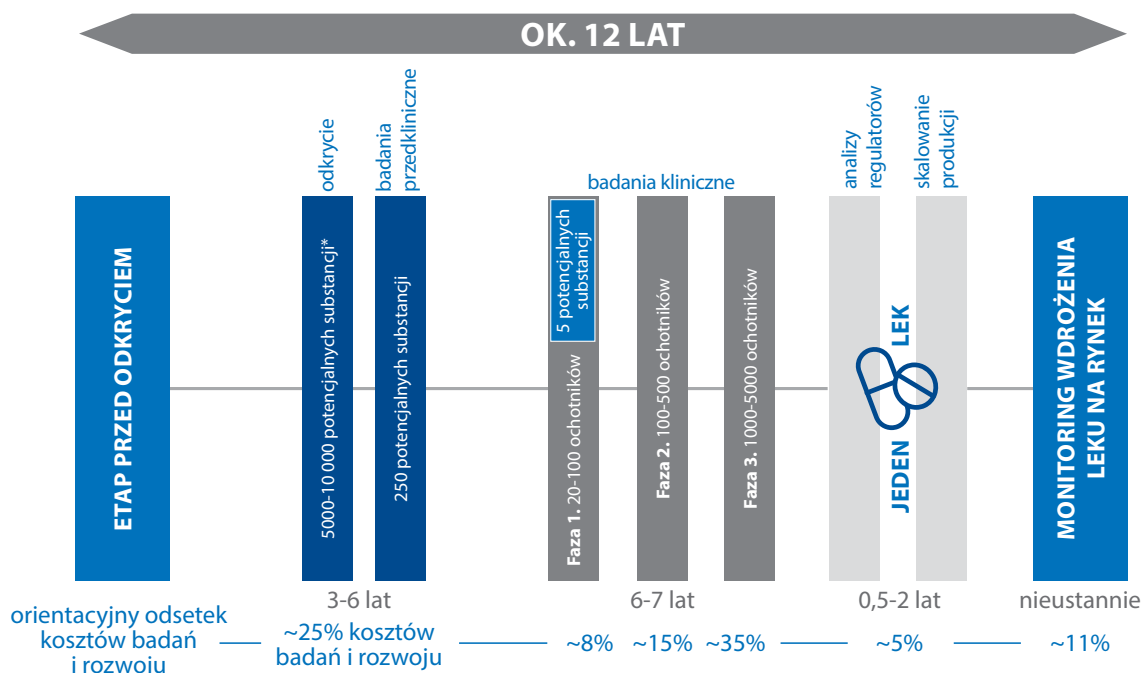
Innowacyjne leki będą stanowiły coraz ważniejsze narzędzie w utrzymaniu jakości życia, szczególnie w chorobach, które są związane z wiekiem. Z kolei w przypadku chorób cywilizacyjnych pozwolą osobom w wieku produkcyjnym na pozostanie na rynku pracy i zachowanie samodzielności.

10. Lichtenberg F.R., The benefits of pharmaceutical innovation: health, longevity, and savings, Montreal Economic Institute 2016, dostępne: https://www.iedm.org/files/cahier0216_en.pdf.

2. Opracowanie leków innowacyjnych

Wprowadzenie nowych technologii lekowych na rynek wymaga przeprowadzenia uprzednio zaawansowanych prac badawczo-rozwojowych. Proces tworzenia nowych leków jest czasochłonny i kosztochłonny. Szacuje się, że wprowadzenie nowego produktu leczniczego na rynek trwa średnio 12 lat i kosztuje blisko 4 mln PLN¹¹. Czasochłonność i kosztochłonność wynikają głównie z wysokiego ryzyka niepowodzenia. Blisko 98% prototypów leków ostatecznie nie zostaje wprowadzonych do obrotu. Wyłącznie leki o udowodnionych korzyściach klinicznych i profilu bezpieczeństwa mogą trafić do pacjentów.

Wykres 10. Proces opracowania i udostępnienia pacjentom nowego leku



*8000 potencjalnych substancji według Europejskiej Akademii Pacjentów, dostępne: <https://www.eupati.eu/pl/opracowywanie-leku/tworzenie-lekow-etap-1-okres-poprzedzajacy-odkrycie-leku/>

Źródło: Petrova E. *Innovation in the Pharmaceutical Industry: The Process of Drug Discovery and Development*, [w:] Ding M., Eliashberg J., Stremersch S., (eds) *Innovation and Marketing in the Pharmaceutical Industry*, International Series in Quantitative Marketing, vol 20. Springer, New York 2014

W Europie za doradztwo w procesie opracowywania produktów leczniczych i za dostęp do nich jest odpowiedzialna Europejska Agencja Leków (EMA), która ocenia skuteczność i bezpieczeństwo nowych terapii, wspiera badania naukowe oraz innowacje w sektorze farmaceutycznym. Jako regulator rynku EMA dba, by na europejskim rynku znalazły się tylko najbardziej bezpieczne i skuteczne klinicznie produkty lecznicze.

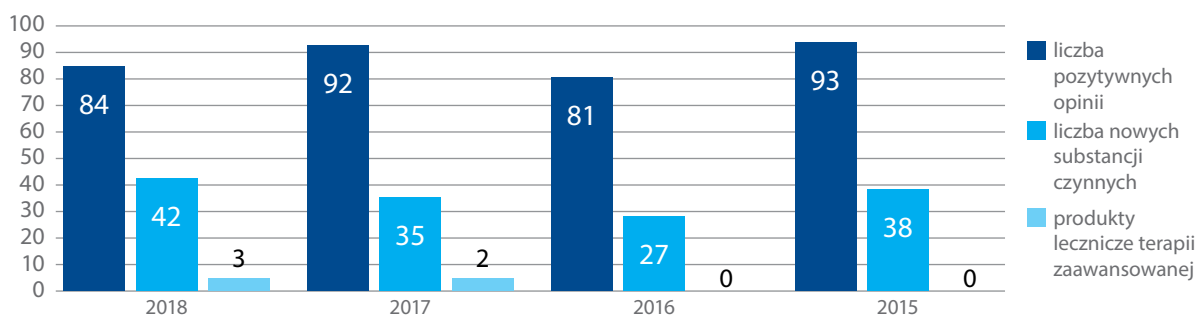
2.1. Nowe technologie lekowe zarejestrowane w Europie i na świecie

Każdego roku są rejestrowane nowe innowacyjne leki, które zmieniają standardy leczenia i przynoszą nieosiągalne wcześniej efekty zdrowotne.

Rocznie Europejska Agencja Leków wydaje średnio 87 pozytywnych opinii dotyczących wprowadzenia produktów leczniczych do obrotu, a także dopuszcza średnio w skali roku 35 nowych substancji czynnych w różnych obszarach terapeutycznych. W latach 2015-2018 najwięcej pozytywnych opinii Agencja wydała w 2015 roku (93 opinie), natomiast najwięcej nowych substancji czynnych dopuściła w 2018 roku (42 nowe substancje czynne).

11. <https://www.infarma.pl/innowacje/jak-powstaja-leki/>.

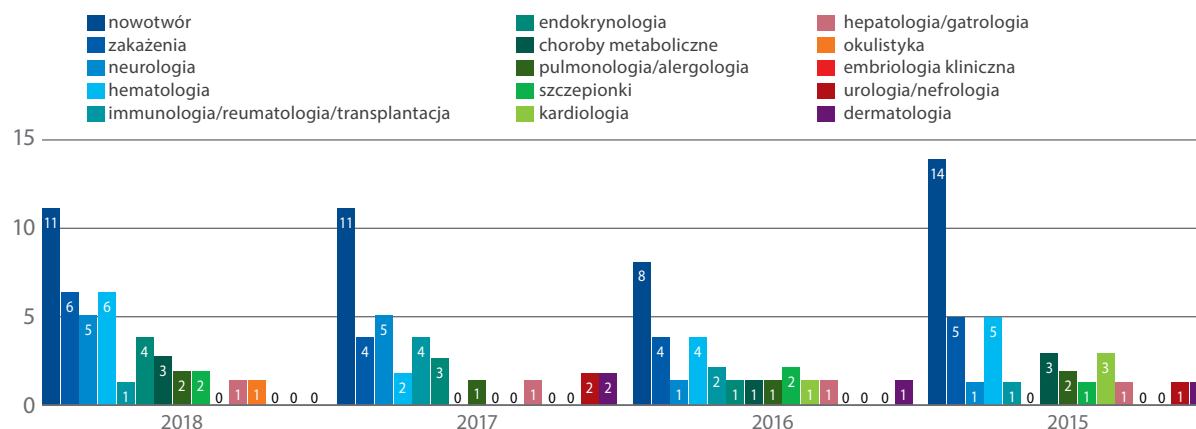
Wykres 11. Liczba pozytywnych opinii, nowych substancji czynnych i leków zaawansowanej terapii w Europie w latach 2015-2018



Źródło: opracowanie własne na podstawie raportów EMA, <https://www.ema.europa.eu/en/about-us/what-we-do/authorisation-medicines/medicine-evaluation-figures>

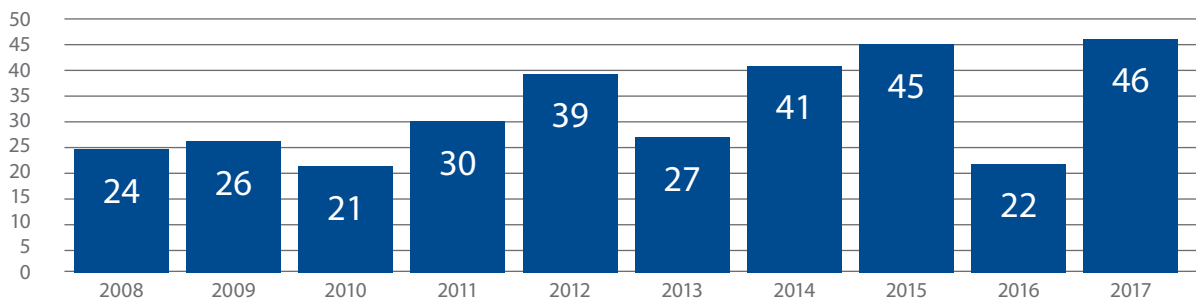
W ostatnich latach najwięcej nowych leków zostało dopuszczonych w onkologii, neurologii, chorobach zakaźnych oraz hematologii.

Wykres 12. Nowe substancje czynne w Europie według dziedzin terapeutycznych w latach 2015-2018



Z kolei Amerykańska Agencja ds. Żywności i Leków (FDA) – odpowiednik EMA w USA – w latach 2008-2017 zarejestrowała 321 nowych technologii lekowych, z czego 46 w 2017 roku¹².

Wykres 13: Liczba zarejestrowanych nowych technologii lekowych przez Amerykańską Agencję ds. Żywności i Leków (FDA) w latach 2008-2017



Źródło: opracowanie własne na podstawie statystyki FDA

Mimo że koszty wprowadzenia nowego leku są bardzo wysokie, branża farmaceutyczna stale inwestuje w proces tworzenia kolejnych innowacyjnych terapii, przeznaczając na ten cel prawie 1/5 swoich dochodów. Branża farmaceutyczna jest odpowiedzialna za 19% prywatnych wydatków na badania i rozwój ogółem na świecie¹³.

12. Annual Report 2017, The European Medicines Agency's contribution to science, medicines and health in 2017. European Medicines Agency (EMA), dostępne: http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Annual_report/2018/04/WC500248201.pdf

13. Petrova E., Innovation in the Pharmaceutical Industry: The Process of Drug Discovery and Development, [w:] Ding M., Eliashberg J., Stremersch S., (eds) Innovation and Marketing in the Pharmaceutical Industry, International Series in Quantitative Marketing, vol. 20. Springer, New York 2014, NY.

3. Dotychczasowe przełomowe innowacje farmaceutyczne

Za właściwy początek rozwoju przemysłu farmaceutycznego można przyjąć pierwszą połowę XIX wieku, ale przełomowe innowacyjne leki pojawiały się już znacznie wcześniej. Laboratoria apteczne, zakłady, a później wytwórnie i przedsiębiorstwa farmaceutyczne stopniowo wprowadzały na rynek nowe substancje.

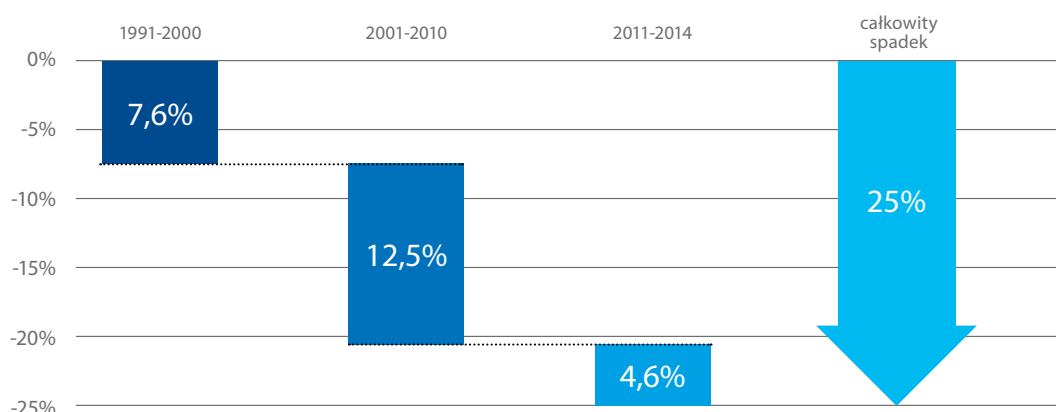
Wśród historycznych innowacji farmaceutycznych należy wymienić przede wszystkim wynalezienie przez angielskiego lekarza Edwarda Jennera w 1796 roku **szczepionki przeciw ospie prawdziwej**, która w ciągu 20 lat dotarła do milionów ludzi na świecie. Przełomową innowacją w historii farmacji było także **odkrycie penicyliny w 1928 roku** przez szkockiego lekarza **Alexandra Fleminga**, co przyczyniło się do skutecznej walki z chorobami zakaźnymi. Postęp nauk medycznych pozwolił również na **znalezienie odpowiedzi na pytanie o etiologię gruźlicy**, a ostatecznie na **wytworzenie w 1890 roku przez niemieckiego lekarza i bakteriologa Roberta Kocha prototypu szczepionki** przeciw tej śmiertelnej wówczas chorobie. Szczepionkę o wyższej skuteczności opracowano niecałe czterdzieści lat później we Francji. Przełomem było także **stworzenie przez amerykańskiego naukowca Johna Endersa pierwszej szczepionki przeciw odrze w 1964 roku**.

W ostatnich latach dokonał się ogromny postęp w medycynie. Obecnie to właśnie farmacja stanowi jedną z najprężniej rozwijanych i najbardziej innowacyjnych branż. Nowe leki nie tylko zrewolucjonizowały terapię wielu chorób, a przez to znacząco zmniejszyły śmiertelność na całym świecie, ale też pozytywnie wpłynęły na jakość życia i produktywność pacjentów. Choroby wcześniej uważane za śmiertelne są coraz częściej uleczalne. Nawet jeżeli nie udaje się ich w pełni wyleczyć, stają się chorobami przewlekłymi, z którymi pacjenci mogą żyć przez wiele lat.

3.1. Przełomowe leki w terapii nowotworów

W ostatnich latach obserwuje się bardzo duży postęp w stosowaniu innowacyjnych leków w terapii chorób onkologicznych. W USA w ciągu 25 lat (1991-2014) nowe leki przeciwnowotworowe przyczyniły się do spadku śmiertelności z powodu tych chorób o 25%¹⁴.

Wykres 14. Procentowy spadek śmiertelności z powodu chorób nowotworowych w USA w latach 1991-2014



Źródło: opracowanie własne na podstawie *Biopharmaceuticals In Perspective*, 2017

Nowe technologie lekowe otwierają kolejne możliwości dla chorych na ponad 200 nowotworów złośliwych, w tym tych najgorzej rokujących, takich jak czerniak, rak piersi, rak szyjki macicy, rak płuca, rak jelita grubego i odbytnicy, rak nerki oraz nowotwory krwi¹⁵.

14. American Cancer Society (ACS). Cancer facts & figures: 2017, dostępne: <https://www.cancer.org/content/dam/cancer-org/research/cancer-facts-and-statistics/annual-cancer-facts-and-figures/2017/cancer-facts-and-figures-2017.pdf>.

15. A Decade of Innovation in Cancer 2006-2016, dostępne: <http://phrma.org/sites/default/files/pdf/decade-of-innovation-cancer.pdf>.

Jedną z przełomowych innowacji w leczeniu nowotworów są **leki ukierunkowane molekularnie**, czyli tak zwane terapie celowane. Wykonanie badań genetycznych u pacjentów onkologicznych pozwala na zidentyfikowanie mutacji powiązanej z wystąpieniem choroby. Dzięki temu jest możliwe określenie mechanizmu powstawania nowotworu u konkretnego pacjenta. Na podstawie tych danych można dobrać najbardziej odpowiedni lek, który będzie skierowany na zaburzenia molekularne w organizmie pacjenta będące skutkiem nagromadzenia się konkretnej mutacji. Aktualna wiedza na temat mechanizmów molekularnych w organizmie człowieka pozwala określić skuteczność danego leku przy konkretnej wadzie DNA, przy danym typie nowotworu¹⁶. Wprowadzenie do terapii leków ukierunkowanych molekularnie zwiększa długość życia chorych, w przypadku których rokowanie wcześniej było szczególnie niekorzystne. Szacuje się, że roczne przeżycie chorych, u których zastosowano terapię celowaną, wynosi 85%.

Przykładem sukcesu terapeutycznego może być wprowadzenie leczenia celowanego do standardów leczenia **nowotworów piersi**¹⁷. Pierwsza terapia celowana w raku piersi przyczyniła się w efekcie do zyskania 156 tys. lat życia w wyniku zwiększenia liczby kobiet wyleczonych w USA w latach 1999-2013¹⁸.

Elżbieta Kozik, prezes Stowarzyszenia Polskie Amazonki Ruch Społeczny

Kiedy usłyszałam diagnozę (rak piersi), odebrałam ją jako wyrok, bo w tym czasie kobiety nie miały wiedzy o chorobie i szansach na przeżycie, a sama wiedza ograniczała się do stwierdzenia, że jest to choroba śmiertelna. W tamtym czasie raka piersi diagnozowano u ok. 10 tys. kobiet rocznie, z czego ponad połowa umierała. Obecnie każdego roku pojawia się nowa terapia, nowy lek i ta śmiertelność z roku na rok maleje. Dziś diagnozuje się raka piersi u ponad 18 tys. kobiet rocznie, z tego umiera ok. 5,6 tys. – te liczby pokazują, jak ogromny postęp dokonał się w leczeniu raka piersi w Polsce.

Duży przełom dokonał się także w zakresie leczenia **niedrobnokomórkowego raka płuca**. Stosowane w tym przypadku terapie celowane w sposób selektywny wpływają na białka sygnałowe komórek nowotworowych i powodują upośledzenie ich funkcji życiowych. Zadaniem terapii celowanej w przypadku niedrobnokomórkowego raka płuca jest także blokowanie receptorów komórkowych, które aktywują i dzielą komórki nowotworowe. Personalizowana terapia wywołuje zdecydowanie mniej skutków ubocznych niż tradycyjne formy leczenia raka płuca, a jednocześnie według badań mediana czasu życia chorych w wyniku terapii celowanej zostaje wydłużona do 12 miesięcy¹⁹.

Kolejną znaczącą innowacją są immunoterapie, które polegają na sztucznej modulacji układu odpornościowego, czyli pobudzaniu lub odbudowie naturalnej odporności organizmu wobec komórek nowotworowych. Przykładem nowotworu, w przypadku którego z powodzeniem stosuje się ten rodzaj innowacyjnego leczenia, jest **czerniak**²⁰.

Dr Mariola Kosowicz, kierownik Poradni Psychoonkologii Centrum Onkologii

Pamiętam historię młodego chłopaka chorego na czerniaka. Zdiagnozowano u niego chorobę w momencie, kiedy lekarz mógł mu zaoferować udział w badaniu klinicznym i nowe leczenie – terapię celowaną. I pacjent nie tylko żyje, ale przygotowuje się do powrotu do pracy, zaczyna planować przyszłość – choć nadal nie dowierza swojemu szczęściu i temu, że dobrze rokuje. Jego wdzięczność za to, że otrzymał nowoczesny lek, jest niewyobrażalna. Wzruszyłam się, gdy ostatnio opowiadał mi, jak złe miał prognozy i jak się one diametralnie zmieniły. Wdzięczna jest jego żona, dla której choroba męża to oczywista, straszna tragedia. Jeszcze niedawno tej nadziei mieliśmy znacznie mniej. A teraz jest nadzieja! Na naszych oczach dzieją się wielkie przełomy. I to jest wspaniałe!

16. <https://www.alivia.org.pl/wiedza-o-raku/dlaczego-terapia-celowana-to-przyszlosc-w-leczeniu-nowotworow/>.

17. Targeted Therapy for Breast Cancer, ACS, dostępne: <https://www.cancer.org/cancer/breast-cancer/treatment/targeted-therapy-for-breast-cancer.html>.

18. Danese M.D. et al., Estimated Life-Years Saved in Women with HER2-Positive Metastatic Breast Cancer Receiving First-Line Trastuzumab and Pertuzumab in the United States, Value in Health, September 2015, Vol. 18, Issue 6, 876-883, dostępne: <https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S1098301515019841>.

19. Molekularne terapie celowane w niedrobnokomórkowym raku płuca, dostępne: https://journals.viamedica.pl/forum_medycyny_rodzinnej/article/viewFile/10178/8678.

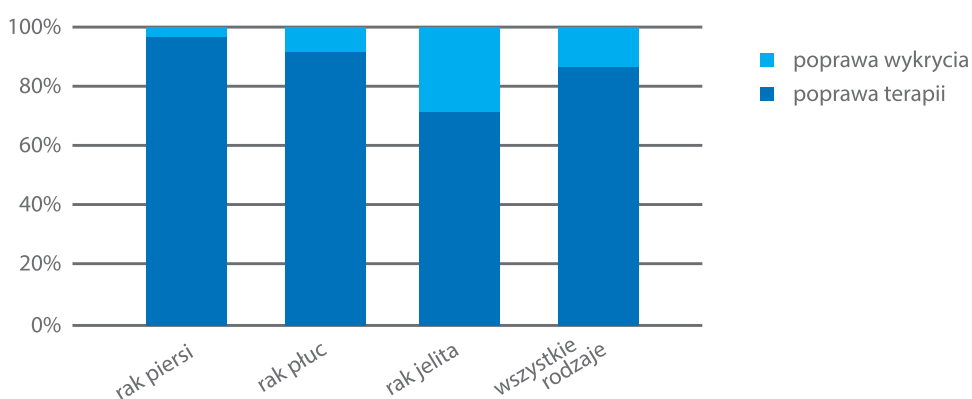
20. Immunotherapy for Melanoma Skin Cancer, ACS, dostępne: <https://www.cancer.org/cancer/melanoma-skin-cancer/treating/immuno-therapy.html>.

Na przestrzeni ostatnich lat znacząca poprawa skuteczności leczenia dokonała się też w leczeniu **nowotworów krwi**. Dzięki wprowadzeniu do standardów leczenia innowacyjnej technologii lekowej nastąpił przełom w terapii przewlekłej białaczki szpikowej (CML). W ciągu ostatnich 15 lat odnotowano wzrost 5-letnich przeżyć chorych z 31% w 2001 roku do 89% w 2016²¹.

Z kolei krokiem milowym w profilaktyce raka szyjki macicy było wprowadzenie w Stanach Zjednoczonych w 2006 roku **szczepionki przeciw wirusowi brodawczaka ludzkiego (HPV)** zawierającej wirusopodobne cząstki otrzymane drogą rekombinacji genetycznej²².

Konkretne przykłady potwierdzają, że wprowadzenie innowacji farmaceutycznych w zakresie leczenia i profilaktyki nowotworów przyniosło ogromne korzyści dla pacjentów. W świetle badań zaobserwowano, że wzrost przeżycia pacjentów z nowotworem w 80-90% jest efektem poprawy ich terapii, w tym zastosowania innowacyjnych leków.

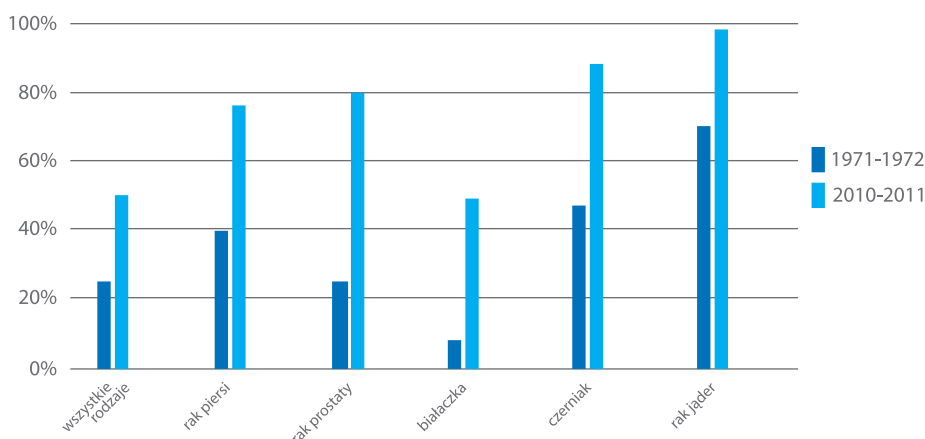
Wykres 15. Przyczyny wzrostu oczekiwanej długości życia pacjentów z nowotworem w latach 1980-2010



Źródło: Sun E. et al., *The determinants of recent gains in cancer survival: an analysis of the surveillance, Epidemiology and end results (SEER) database, Journal of Clinical Oncology 2008*

Obecnie 2 na 3 chorych z nowotworem, mających dostęp do rekomendowanej terapii, może przeżyć co najmniej 5 lat²³. Fundamentalne jest więc zagwarantowanie chorym dostępu do aktualnych standardów leczenia uwzględniających stosowanie nowych leków przeciwnowotworowych²⁴.

Wykres 16. Zmiany w przeżywalności chorych na nowotwory w okresie 10 lat. Anglia, Walia 1971-2010



Źródło: M. Quaresma, M.P. Coleman, B. Rachet, *40-year trends in an index of survival for all cancers combined and survival adjusted for age and sex for each cancer in England and Wales, 1971-2011: a population-based study; Lancet 2015*

21. Druker B.J., Guilhot F., O'Brien S.G. et al., Five-year follow-up of patients receiving imatinib for chronic myeloid leukemia, *N Engl J Med.* 2006, dostępne: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/17151364>.

22. Szczepionka przeciw HPV, PZH, dostępne: <http://szczepienia.pzh.gov.pl/szczepionki/hpv/>.

23. Cancer treatment & survivorship facts & figures: 2016-2017., American Cancer Society (ACS), dostępne: <https://www.cancer.org/content/dam/cancer.org>.

24. Clinical Cancer Advances 2015: Annual Report on Progress Against Cancer From the American Society of Clinical Oncology., *J Clin Oncol.* 2015, Vol. 33, dostępne: <http://jco.ascopubs.org/cgi/doi/10.1200/JCO.2014.59.9746>.

3.2. Przełomowe leki w terapii chorób sercowo-naczyniowych

Nowe leki stosowane w chorobach sercowo-naczyniowych znacząco obniżyły liczbę zgonów spowodowanych tymi chorobami. Najbardziej spektakularne wyniki można zaobserwować na przykładzie USA. Tam w okresie od 2000 do 2014 roku spadek ten wyniósł 35%. Z kolei śmiertelność z powodu chorób układu krążenia w okresie od 1980 do 2014 roku zmniejszyła się 2,5-krotnie²⁵.

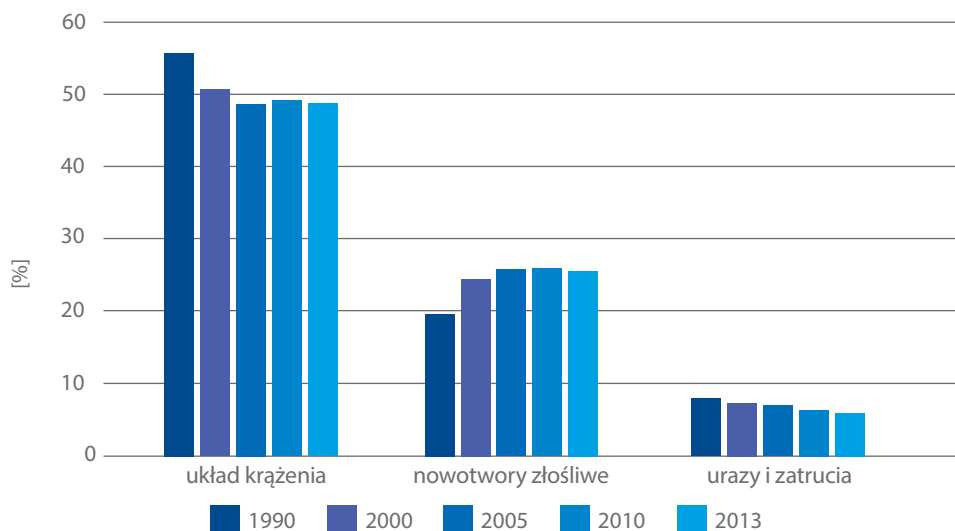
Tak znacząca poprawa jest przede wszystkim rezultatem wprowadzenia w latach 80. ubiegłego wieku nowej klasy leków – statyn, które umożliwiły bezpieczne i skuteczne **obniżenie poziomu cholesterolu we krwi**, a przez to znacząco redukują ryzyka **zawału mięśnia sercowego, udaru mózgu** lub zgonu z przyczyn sercowo-naczyniowych. Korzyści społeczno-gospodarcze z wprowadzenia statyn na rynek okazały się nie do przecenienia.

Agnieszka Wołcenko, prezes Ogólnopolskiego Stowarzyszenia „EcoSerce”

Poznałam jakiś czas temu młodego chłopaka z Warszawy – marzył o studiach wojskowych. Żeby się na nie dostać, musiał przejść szereg badań. Okazało się, że ma chore serce. Wcześniej nie był tego świadomy. Choroba uniemożliwiła mu pójście na studia, chłopak zupełnie się załamał. Przyjmował różne leki, które nie przynosiły pożądanego rezultatu. Dopiero lek nowszej generacji pomógł mu wrócić do normalnego funkcjonowania i przede wszystkim – do samodzielności. Przywrócił temu młodemu mężczyźnie tak ważne poczucie pewności siebie i własnej męskości.

Podobne wnioski można również wysnuć, analizując polskie dane, które potwierdzają trend amerykański. Przykład chorób układu krążenia doskonale pokazuje korelację między liczbą zgonów a wprowadzeniem innowacji medycznych, w tym farmaceutycznych. W tym przypadku kluczem do sukcesu było połączenie dwóch czynników, tj. poprawy dostępu polskich pacjentów do leków nowej generacji i do kardiologii inwazyjnej.

Wykres 17. Przyczyny zgonów w Polsce w latach 1990-2013



Źródło: Zachorowalność i umieralność na choroby układu krążenia a sytuacja demograficzna Polski, 2015, Rządowa Rada Ludnościowa, red. prof. Z. Strzelecki oraz prof. J. Szymborski. http://bip.stat.gov.pl/organizacja-statystyki-publicznej/rzadowa-radaludnosciowa/publikacje-rzadowej-rady-ludnosciowej/https://stat.gov.pl/files/gfx/portalinformacyjny/pl/defaultaktualnosci/5468/22/1/1/statystyka_umieralnosci_w_wyniku_chuk.pdf

Dużą szansą dla pacjentów kardiologicznych jest także nowy lek stosowany w niewydolności serca. Jego działanie polega na spowolnieniu rozpadu hormonu peptydowego wytwarzanego przez ściany przedsionka serca, co zwiększa wydalanie moczu oraz relaksację mięśnia sercowego. Lek ma także hamujący wpływ na proces przebudowy mięśnia sercowego i redukuje jego przerost.

25. Kochanek K.D., Murphy S.L., Xu J., Tejada-Vera B., Centers for Disease Control and Prevention (CDC), National Center for Health Statistics, National Vital Statistics System. Deaths: final data for 2014, Natl Vital Statistics Rep. 2016, 65(4), dostępne: https://www.cdc.gov/nchs/data/nvsr/nvsr65/nvsr65_04.pdf.

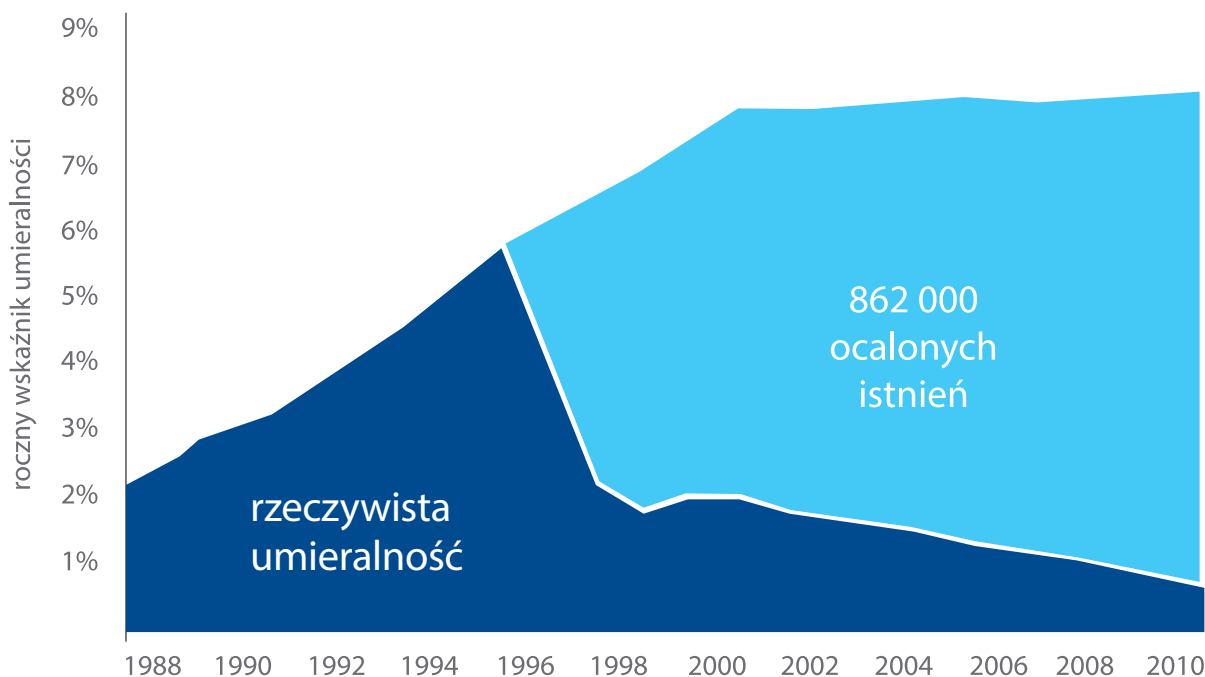
Niewydolność serca dotyczy obecnie populacji ludzi w różnym wieku i na różnych etapach aktywności zawodowej, stąd ma coraz istotniejsze znaczenie w kontekście gospodarki, ekonomii i demografii. Absencja i zmniejszona produktywność chorych z niewydolnością serca albo długoterminowa niezdolność do pracy, a także spowodowane chorobą zgony prowadzą do istotnych strat. Wymiar ekonomiczny niewydolności serca to nie tylko straty z perspektywy publicznego płatnika za usługi medyczne czy systemu ubezpieczeń zdrowotnych, ale także z punktu widzenia całego społeczeństwa.

Należy podkreślić, że niewydolność serca dotyczy 600-700 tys. osób w Polsce, przy czym z dekady na dekadę liczba zachorowań wzrasta i obecnie sięga 250 tys. rocznie. Choroby układu sercowo-naczyniowego skutkują 60 tys. zgonów rocznie. Statystyki nie są więc optymistyczne, a jedyną nadzieją dla pacjentów, poza przeszczepem, jest dostęp do innowacyjnych technologii lekowych.

3.3. Przełomowe leki w terapii chorób zakaźnych

Dzięki innowacjom farmaceutycznym wiele śmiertelnych chorób zakaźnych udało się wyleczyć. Choroby zakaźne, w tym szczególnie niebezpieczna **gruźlica**, dotknęły blisko 1/3 populacji na świecie. Szacuje się, że co sekundę na świecie pojawia się jedna nowa infekcja. Przełom w zwalczaniu chorób zakaźnych nastąpił dzięki odkryciu leczniczych właściwości pleśni i stworzeniu w latach 30. XX wieku pierwszego antybiotyku, nazwanego później penicyliną. Kilkadziesiąt lat później przeprowadzono badania nad lekami przeciwwirusowymi i opracowano leki przeciwko HIV i HCV.

Wykres 18. Rzeczywista umieralność z powodu HIV/AIDS w USA zmniejszyła się w stosunku do umieralności prognozowanej



Źródło: Centers for Disease Control and Prevention (CDC), National Center for Health Statistics

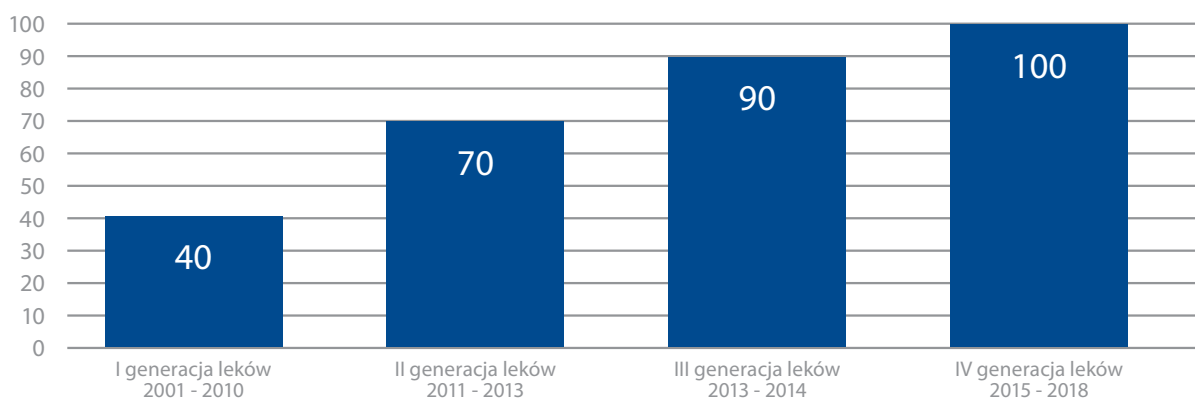
Iwona, od 20 lat żyje z wirusem HIV

Przede wszystkim nowe terapie prawie całkowicie minimalizują ryzyko urodzenia chorego dziecka. Jeszcze 10 lat temu częściej mówiło się o ryzyku takiej decyzji dla matki i dziecka, a dziś szansa na urodzenie zdrowego dziecka jest naprawdę ogromna. [...] nowe leki działają bardziej kompleksowo na samą chorobę, [...] a co za tym idzie – ryzyko wystąpienia skutków ubocznych jest mniejsze, np. lipoatrofii i lipodystrofii [dop. red: zaburzenia charakteryzujące się miejscowym lub uogólnionym zanikiem tkanki tłuszczowej], które były szczególnie piętującą dla chorych. Ważnym znakiem postępu jest także wysoki poziom CD4, który pozwalają uzyskać nowe terapie. Jest to ważne, ponieważ wysoki poziom CD4 oznacza, że nie stanowią zagrożenia dla swoich bliskich.

W przypadku **AIDS, choroby, która jest efektem zakażenia HIV**, przełom nastąpił już 3 lata po zidentyfikowaniu wirusa w 1984 roku i udostępnienia nowego leku. W 1996 roku włączono do standardów leczenia wysoce aktywną terapię antyretrowirusową (ang. highly active antiretroviral therapy, HAART), która uwzględniała leki wchodzące do użytku w kolejnych latach. **W wyniku dostępu do innowacyjnych terapii w przeciągu 2 dekad liczba zgonów z powodu AIDS spadła o 88%**²⁶.

W przypadku **wirusowego zapalenia wątroby typu C** nowe leki prowadzą nie tylko do eliminacji wirusa, ale również do uniknięcia poważnych powikłań – marskości oraz raka wątroby, prowadzących nieuchronnie do śmierci wielu chorych. Skuteczność leków eliminujących wirusa HCV wzrosła w okresie 15 lat od 40% dla I generacji leków do prawie 100% w przypadku IV generacji leków.

Wykres 19. Skuteczność leków eliminujących wirusa HCV w latach 2001-2018



Źródło: opracowanie własne na podstawie *Biopharmaceuticals In Perspective*, 2017

Pani Katarzyna, pacjentka, która żyła z wirusem HCV przez wiele lat

Gdy usłyszałam, że jest leczenie i mogę być zdrowa, to poczułam się, jakbym urodziła się na nowo, i w głowie miałam tę jedną najważniejszą myśl, że będę zdrowa! Terapię przyjmowałam przez trzy miesiące. Obecnie jestem już po leczeniu i czuję się świetnie.

26. Centers for Disease Control and Prevention (CDC), National Center for Health Statistics, 2016, dostępne: <https://www.cdc.gov/nchs/data/has/has15.pdf>.

3.4. Przełomowe leki w terapii chorób rzadkich

Innowacje farmaceutyczne miały istotny wpływ na skuteczność terapii chorób rzadkich. Nowe leki sierocze stwarzają szansę na dłuższe życie chorych na choroby rzadkie oraz na ograniczenie powikłań prowadzących do inwalidztwa i śmierci. W ciągu ostatnich 30 lat do leczenia chorób rzadkich wprowadzono około 450 nowych leków sierocych w około 600 wskazaniach. W Unii Europejskiej do 2016 roku zarejestrowano 115 leków sierocych.

Choroba Gauchera należy do chorób rzadkich, czasami jest uznawana wręcz za chorobę ultraradką, bowiem występuje u mniej niż jednej osoby na 50 tys. W Polsce żyje około 100 pacjentów z rozpoznaną chorobą Gauchera²⁷. Zastosowanie odpowiedniej terapii wpływa na wydłużenie życia chorego do 50 lat.

Chorobą rzadką jest również **zwłóknienie torbielowate, potocznie nazywane mukowiscydozą**. Jest to choroba wrodzona, uwarunkowana genetycznie, która polega na zaburzeniu wydzielania przez gruczoły zewnętrznydwudzielnicze. W efekcie chorzy cierpią na niewydolność oddechową, przewlekły stan zapalny trzustki, a często również na cukrzycę. Dopiero w 1989 roku odkryto gen wywołujący mukowiscydozę, co umożliwiło rozwój skuteczniejszych terapii i wpłynęło na wydłużenie życia chorych.

Z kolei w przypadku hemofilii, powodującej zaburzenia krzepnięcia krwi, dzięki zastosowaniu innowacyjnych terapii w zasadzie całkowicie wyeliminowano zgony wśród chorych.

Wykres 20. Wpływ innowacji farmaceutycznych na oczekiwaną długość życia chorych na wybrane choroby rzadkie

Choroba	Oczekiwana długość życia przed innowacją farmaceutyczną	Obecna oczekiwana długość życia
Choroba Gauchera (typ III)	11 lat	50 lat
Zwłóknienie torbielowate	< 1 rok	37 lat
Hemofilia	< 30 lat	pełna długość życia

Źródło: gaucher.org.uk; gaucherdisease.org; Simmonds i współautorzy (2009) Growing old with cystic fibrosis – the characteristics of long-term survivors of cystic fibrosis, Respiratory medicine; Plug (2004), Thirty years of hemophilia treatment in Netherlands, 1972-2001, Blood Journal

Dużym przełomem w terapii chorób rzadkich okazało się również wprowadzenie nowego leku do leczenia **rdzeniowego zaniku mięśni (SMA)**. SMA to najczęstsza, genetycznie uwarunkowana, przyczyna śmierci niemowląt i dzieci. W przebiegu choroby obumierają neurony w rdzeniu kręgowym odpowiadające za pracę mięśni, wskutek czego mięśnie ciała słabną i stopniowo ulegają zanikowi. Nowy lek daje szansę nie tylko na przedłużenie życia o kilka miesięcy czy poprawę jego jakości, ale również na normalne funkcjonowanie chorych przez wiele lat.

3.5. Przełomowe leki w terapii chorób pulmonologicznych

Przełomowe znaczenie w historii farmakoterapii miało wprowadzenie innowacyjnego leczenia w **przewlekłej obturacyjnej chorobie płuc (POCHP)**. Wydłużenie życia pacjentów stało się możliwe dzięki ustaleniu zależności między intensyfikacją leczenia a progresją choroby oraz zastosowaniu na poszczególnych etapach progresji leków, takich jak β 2-mimetyki, leki rozszerzające oskrzela, glikokortykosteroidy wziewne czy tlenoterapie.

Podobnie sprawa wygląda w przypadku **astmy**, czyli przewlekłego stanu zapalnego oskrzeli, mającego często podłoże alergiczne, w wyniku którego pacjent cierpi na nawracające ataki duszności, kaszlu i świszczącego oddechu. W drugiej połowie XX wieku wynaleziono leki rozszerzające oskrzela i działające przeciwzapalnie, a z czasem zaczęto dysponować bezpieczniejszymi lekami łączącymi różne funkcje w wygodnych inhalatorach. Liczba zgonów, a także liczba hospitalizacji pacjentów z powodu chorób pulmonologicznych zdecydowanie się zmniejszyła.

27. Sumskiene E., Machaczka M., Jak rozpoznawać i leczyć chorobę Gauchera: zarys patofizjologii, objawów klinicznych, metod diagnostycznych i leczenia, [w:] Acta Haematologica Polonica 2017, nr 48, 167-173.

Dr n. med. Piotr Dąbrowiecki – alergolog, internista

*Jedna z moich pacjentek od dziecka leczyła się na alergię, miała atopowe zapalenie skóry, była uczulona na roztocza kurzu domowego, miała ciężką postać astmy, brała już wszystkie leki na astmę w najwyższych dawkach i nie było efektów. Ze względu na chorobę nie mogła wykonywać żadnego większego wysiłku fizycznego, bo nawet najmniejszy wywoływał duszności. Dlatego unikała aktywności, przez co przybierała na wadze [...] Dla dziewczynki miało to bardzo negatywny wpływ na psychikę. [...] U tej pacjentki docho-
dziło do 3 zaostrzeń w ciągu roku, przez co musiała brać sterydy doustne, a to skutkowało przyrostem wagi i problemami z miesiączką. Gdy otrzymała przeciwciała monoklonalne, jej stan w przeciągu kilku tygodni poprawił się na tyle, że mogła zrezygnować ze sterydów doustnych. Nadal bierze dość dużą dawkę leków wziewnych, ale jej życie nie jest już zagrożone – mogła wrócić do pracy, jest w stanie zajmować się domem, mieć interakcje międzyludzkie – może żyć normalnie.*

3.6. Przełomowe leki w terapii chorób przewodu pokarmowego

Poważnym problemem w skali światowej były też powszechnie występujące **choroby przewodu pokarmowego**, a wśród nich **choroba wrzodowa** charakteryzująca się występowaniem wrzodów trawiennych (w szczególności w dwunastnicy i żołądku), czyli ubytków w błonie śluzowej powodujących stany zapalne, a nawet martwicę.

Choroba wrzodowa występuje u około 10% dorosłych i jest często przyczyną absencji chorobowej. Nieleczona lub nieodpowiednio leczona prowadzi z czasem do niezdolności do pracy i całkowitego wykluczenia pacjentów z życia społecznego. W latach 90. XX wieku do terapii włączono nowe leki – inhibitory pompy protonowej oraz antagonistów receptora H₂, które skutecznie pomogły ograniczyć skutki tej choroby.

3.7. Przełomowe leki w terapii chorób autoimmunologicznych

Jednym z poważnych problemów zdrowotnych, dotyczących w dużej mierze osób w wieku produkcyjnym, są **choroby z tak zwanej autoagresji – nazywane chorobami autoimmunologicznymi**. W ich przebiegu układ odpornościowy samodzielnie wytwarza przeciwciała skierowane przeciwko własnym tkankom i własnym komórkom. Powoduje to chroniczne stany zapalne, a z biegiem czasu trwałe uszkodzenia w organizmie.

Obecnie wymienia się blisko 70 jednostek chorobowych należących do grupy chorób autoimmunologicznych, a same schorzenia dotyczą od 3% do 8% populacji światowej. Leczenie chorób autoimmunologicznych jest szczególnie ważne z powodu ich powszechności i skali oddziaływania.

Chorobami autoimmunologicznymi są między innymi **nieswoiste zapalenie jelit**, w tym wrzodziejące zapalenie jelita grubego czy choroba Leśniowskiego-Crohna, oraz **stwardnienie rozsiane**, w którym układ odpornościowy niszczy system nerwowy, co może prowadzić między innymi do zaburzeń czucia, bolesnych skurczów mięśni, paraliżu i uszkodzenia wzroku²⁸. Chorobami z autoagresji są także **łuszczyca**, w przypadku której organizm atakuje skórę, a czasami też stawy, oraz **reumatoidalne zapalenie stawów** powodujące ich deformację i prowadzące do niepełnosprawności.

28. Szczebłowska D., Hebzda A., Wojtuń S., Choroby autoimmunizacyjne w praktyce lekarskiej, [w:] Pediatria i Medycyna Rodzinna 2011, nr 7, 218-222.

Łukasz Matusik, od ponad 13 lat choruje na łuszczycę

Jeden z lekarzy określił, że powrót z leczenia biologicznego na jakiegokolwiek inne to jak przesiąść się z mercedesa do opla corsy. I mogę potwierdzić, że rzeczywiście tak jest. Moje życie po zastosowaniu leczenia biologicznego zmieniło się o 180 stopni. Przyjmuję 2 zastrzyki w ciągu dnia i w zasadzie nie mam zmian łuszczycowych. Dzięki temu nie myślę o chorobie przez cały czas. Oczywiście, mam świadomość, że ona jest, trochę ją widać, natomiast nie stanowi w tym momencie dla mnie problemu, jakim była, gdy 70-80% mojego ciała było zajęte przez zmiany skórne. I zyskałem dużą pewność siebie – zacząłem o siebie dbać, wróciłem do uprawiania sportu i udało mi się zrzucić parę kilogramów. Moje życie jest w końcu po prostu życiem, a nie życiem z chorobą.

Do najczęściej diagnozowanych chorób metabolicznych o podłożu autoimmunologicznym należy **cukrzyca typu 1**, w przebiegu której organizm atakuje trzustkę i upośledza produkcję insuliny. Międzynarodowa Federacja Diabetologiczna (IDF) szacuje, że liczba chorych na cukrzycę do 2035 roku może sięgnąć 592 mln²⁹. Cukrzyca charakteryzuje się zwiększonym stężeniem glukozy we krwi związanym z defektem wydzielania insuliny, hormonu wpływającego na regulowanie metabolizmu zarówno węglowodanów, jak i białek i tłuszczów.

Odkrycie leczniczego działania insuliny sprawiło, że **cukrzyca**, która jeszcze 100 lat temu była chorobą śmiertelną, stała się chorobą przewlekłą. Obecnie za pomocą nowoczesnych leków jest możliwe kontrolowanie jej skutków. Wprowadzenie analogów insuliny i inkretyn skutecznie zmniejszyło ryzyko występowania groźnych powikłań, ratuje życie chorym i poprawia jego jakość. Stale jednak trwają prace nad nowymi lekami, które pomogą rozprawić się z tym poważnym problemem zdrowotnym.

Piosenkarka Marta Wiśniewska – chora na cukrzycę od 15 lat

Nowe leki pozwalają na lepszą kontrolę choroby, łatwiej jest utrzymać prawidłowy poziom cukru we krwi, co daje mi poczucie bezpieczeństwa. Tu i teraz, bo się nie boję, że będę rozkojarzona, dostanę dreszczy czy zasłabnę. Ale również na przyszłość – bo dzięki lepszemu panowaniu nad poziomem cukru zmniejszam ryzyko powikłań. A w cukrzycy są one groźne, bo dotyczą ryzyka wystąpienia problemów z sercem, nerkami, oczami czy trudnym gojeniem się ran, co może się skończyć tzw. stopą cukrzycową, w niektórych przypadkach prowadzącą do amputacji.

Pożądanym efektem leczenia w przypadku chorób autoimmunologicznych jest przywrócenie tolerancji immunologicznej organizmu w stosunku do własnych antygenów. Nadzieją dla wielu chorych są innowacyjne leki biologiczne – cząsteczki utworzone przy użyciu biotechnologii, które występują w sposób naturalny w organizmie, a ich główną funkcją jest regulowanie procesów związanych z odpornością.

W latach 1995–2007 wprowadzono w Europie blisko 105 leków biologicznych. Stosowanie terapii biologicznych zmniejsza koszty społeczne powstałe w wyniku utraty produktywności pacjentów. Wynika to między innymi z faktu, że remisja tych chorób przy tradycyjnym leczeniu trwa od 2 do 5 lat, a w przypadku leczenia biologicznego aż do 10 lat³⁰.

29. International Diabetes Federation, dostęp: www.idf.org.

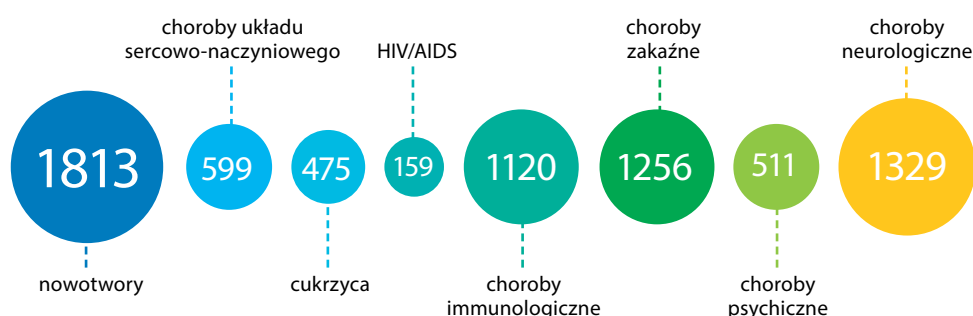
30. Bachanek O., Mitura J., Pawlikowski J., Dostępność i ograniczenia w stosowaniu leczenia biologicznego w Polsce. [w:] Medycyna Ogólna i Nauki o Zdrowiu 2015, nr 3, 266-271.

4. Nadchodzące innowacje farmaceutyczne

Ponad połowa z 57 milionów zgonów na całym świecie w 2016 roku była spowodowana jedną z 10 chorób (m.in. chorobą niedokrwienną serca, udarem, POChP, chorobą Alzheimera czy cukrzycą), które od 15 lat są głównymi zabójcami ludzkości. Najnowsze prace badawcze prowadzone przez branżę farmaceutyczną w dużym stopniu skupiają się na odkryciu przełomowych leków mających zastosowanie właśnie w tych obszarach.

Dziś w fazie rozwoju jest niemal 7000 innowacyjnych leków. Wiele z nich może mieć duże znaczenie dla pacjentów i całego społeczeństwa. W nadchodzących latach pojawią się między innymi nowe możliwości terapeutyczne dla chorych na nowotwory, w tym nowotwory krwi, na cukrzycę, hemofilię, choroby zakaźne czy chorobę Alzheimera.

Wykres 21. Nadchodzące terapie w różnych obszarach terapeutycznych



Źródło: EFPIA

Zestawienie nadchodzących innowacji w obszarze zdrowia przedstawione w tej części raportu zostało opracowane na podstawie dostępnych, aktualnych danych i ma na celu pokazanie kierunków rozwoju innowacji i perspektyw leczenia pacjentów zmagających się z chorobami cywilizacyjnymi, takimi jak cukrzyca, nowotwory, czy też chorobami rzadkimi lub autoimmunologicznymi.

4.1. Terapie CAR-T nowotworów układu krwiotwórczego

Nowotwory układu krwiotwórczego, czyli choroby nowotworowe obejmujące krew, szpik kostny lub układ limfatyczny, łącznie stanowią 11. przyczynę śmierci w Polsce³¹. Białaczki, szpiczaki i chłoniaki, zaliczające się do tej grupy, w 2016 roku odpowiadały za śmierć prawie 7000 osób, co stanowi ok. 1,8% wszystkich zgonów w tym roku.

Liczba zgonów nie oddaje w pełni strat społecznych ani ekonomicznych związanych z tymi chorobami. Nowotwory układu krwiotwórczego cechują się bardzo wysokimi wskaźnikami utraconych lat życia. Łącznie odpowiadają one za 2,2% utraconych lat życia. Wiąże się to przede wszystkim z młodym wiekiem chorych. W przybliżeniu u 50% dzieci poniżej 15. roku życia, które chorują na nowotwór złośliwy, występuje białaczka lub chłoniak³².

Niestety, leczenie nowotworów układu krwiotwórczego jest bardzo trudne i obciążające dla pacjentów. Standardową metodą leczenia jest toksyczna chemioterapia. Terapia jest agresywna, co obniża znacząco jakość życia chorych podczas leczenia i po jego zakończeniu. Ponadto u ok. 50% pacjentów ostatecznie dochodzi do nawrotu choroby. Wówczas dostępnych jest niewiele realnych opcji umożliwiających jej wyleczenie.

W horyzoncie 5-10 lat nastąpi przełom w leczeniu nowotworów układu krwiotwórczego. Mogą go zapewnić terapie komórkowe CAR-T (chimeric antigen receptors T cells), które polegają na modyfikacji komórek układu odpornościowego w celu ukierunkowania ich na zwalczanie określonych rodzajów nowotworów układu krwiotwórczego.

31. Wszystkie dane przytoczone w tym rozdziale, których źródło nie zostało opisane, pochodzą z publikacji Global Burden of Disease Study 2016, Institute for Health Metrics and Evaluation, 2016.

32. Przegląd listy opracowanych produktów na potrzeby terapii innowacyjnych, European Federation of Pharmaceuticals Industries and Associations (EFPIA), 2017.

Najbardziej zaawansowane badania kliniczne dotyczą terapii CAR-T, w której są wykorzystywane własne komórki układu odpornościowego chorego. W tym przypadku próbka limfocytów T pacjenta jest pobierana z jego krwi i modyfikowana genetycznie w laboratorium w celu dodania sensorów (chimerycznych receptorów antygenów), które umożliwiają zlokalizowanie określonych nowotworów. Następnie komórki te są namnażane i podawane z powrotem do organizmu pacjenta, gdzie nowe receptory antygenów umożliwiają odszukanie i zniszczenie komórek nowotworowych. W ten sposób do walki z chorobą nowotworową są wykorzystywane siły obronne organizmu chorego.

Wykres 22. Schemat działania w terapii CAR-T



Zdaniem ekspertów, jeśli potwierdzą to kolejne próby w większej grupie pacjentów, metoda ta może być kolejnym przełomem w leczeniu między innymi nowotworów układu krwiotwórczego i szansą dla tych pacjentów, którzy nie mają już innych opcji terapeutycznych.

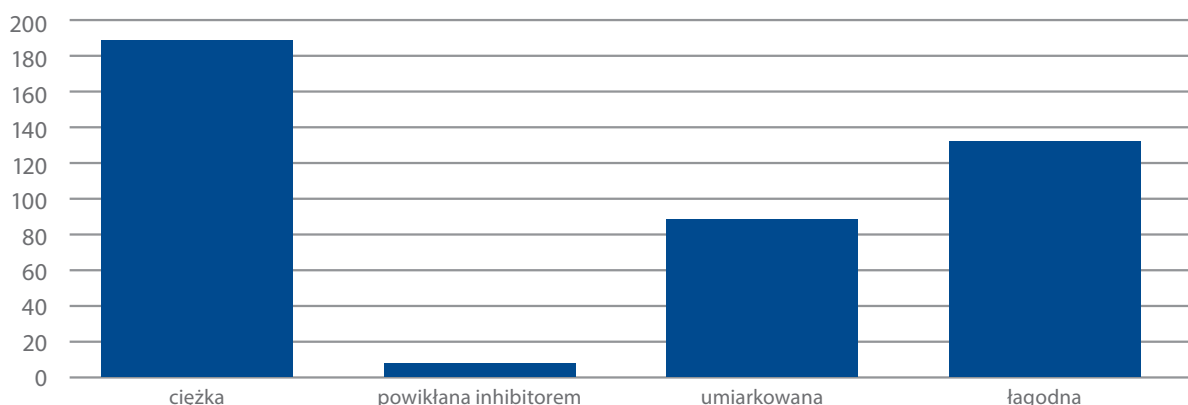
Jeśli wyniki badań klinicznych potwierdzą efektywność terapii CAR-T, będzie to oznaczać szansę na dłuższe życie pacjentów z opornymi na leczenie chłoniakami i białaczkami, a także oszczędzenie rodzinom cierpienia po stracie najbliższych. Tylko w samej Unii Europejskiej oznaczałoby to wydłużenie życia około 9400 osób oraz dałoby łącznie 300 tys. zyskanych lat życia we wszystkich wskazaniach w przypadku pacjentów zdiagnozowanych w 2020 roku³³.

4.2. Terapie genowe hemofilii typu B

Hemofilia jest rzadką chorobą wywołaną obecnością wadliwego genu, który uniemożliwia wytwarzanie kluczowego białka potrzebnego do krzepnięcia krwi. W przypadku niepodjęcia leczenia choroba prowadzi do groźnych krwotoków. U większości pacjentów (wyłącznie chłopców) jest rozpoznawana przed 3. rokiem życia. Dzieci są obarczone wysokim ryzykiem krwotoków wewnątrzczaszkowych, które mogą prowadzić do trwałego uszkodzenia mózgu, a nawet śmierci. Krwotoki w innych częściach ciała, które mogą być również skutkiem niewielkich urazów lub występować samoistnie, w zależności od stopnia nasilenia choroby często prowadzą także do ciężkiego zapalenia stawów.

Pacjenci wymagają regularnych wlewnych czynników krzepnięcia. Leczenie tego typu jest bardzo drogie i wiąże się z dużym dyskomfortem dla chorych. Dożylnie wlewy czynnika muszą być wykonywane co 3 do 7 dni przez całe życie pacjenta.

Wykres 23. Częstość występowania typów hemofilii



Źródło: Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018 (wersja zaktualizowana), Ministerstwo Zdrowia, Warszawa 2018

33. Przegląd listy opracowywanych produktów na potrzeby terapii innowacyjnych, EFPIA, 10.04.2017.

Obecnie duże nadzieje pokłada się w terapii genowej, która ma na celu usunięcie bezpośredniej przyczyny hemofilii typu B poprzez wprowadzenie do komórek chorego materiału genetycznego aby zastąpić nieprawidłowo działające geny. Dzięki umożliwieniu chorym na hemofilię typu B wytwarzania własnego czynnika krzepnięcia terapia genowa miałaby zapewniać jednorazowe wyleczenie lub zdecydowanie lepszą kontrolę choroby.

Dotychczasowe wyniki stosowania terapii genowych w leczeniu hemofilii typu B są pomyślne. W badaniach fazy I/II stwierdzono wzrost aktywności czynnika IX nawet do 41%, czyli poziomu wystarczającego do przejścia hemofilii o nasileniu od umiarkowanego do ciężkiego w łagodną postać choroby.

Terapie genowe hemofilii typu B mogą się przyczynić do zmniejszenia konieczności stosowania czynnika krzepnięcia (w tym przypadku czynnika IX) u 93% pacjentów z ciężką i umiarkowaną hemofilią³⁴, czyli pacjentów którzy obecnie wymagają profilaktycznego uzupełniania czynnika IX w celu zapobieżenia wystąpieniu krwawień, a także doraźnego leczenia z użyciem czynnika IX w sytuacji wystąpienia krwotoków.

W Polsce zastosowanie terapii genowej w leczeniu hemofilii typu B mogłoby znacząco wpłynąć na jakość życia pacjentów z łagodną hemofilią poprzez wydłużenie lat życia w sprawności i znaczące opóźnienie niepełnosprawności.

Oczekuje się, że terapia zmniejszy uzależnienie od doraźnego leczenia z użyciem czynnika IX po urazie, a w przypadku choroby o nasileniu od umiarkowanego do ciężkiego pozwoli na przejście w postać łagodną. U pacjentów obserwowano bowiem wzrost aktywności czynnika IX o 3,5-41% (w zależności od dawki oraz podawanego produktu), co jest wystarczające do osiągnięcia tego efektu.

Terapia genowa prawdopodobnie otworzy drogę dla przyszłej technologii modyfikacji genów w innych chorobach i może być przełomem medycznym w przypadku nowotworów złośliwych czy zakażeń.

4.3. Terapie komórkowe cukrzycy typu 1

Cukrzyca typu 1 to choroba o podłożu autoimmunologicznym, prowadząca do zniszczenia lub upośledzenia komórek trzustki wytwarzających insulinę, która reguluje poziom glukozy w organizmie pacjenta. Chorzy najczęściej są diagnozowani w dzieciństwie – średni wiek w momencie rozpoznania to 12 lat.

Leczenie polega na modyfikacji diety i wprowadzeniu wysiłku fizycznego (wyjątek stanowią chorzy z wysoką glikemią) oraz na insulinoterapii, będącej podstawowym sposobem ograniczania skutków tej choroby. Jednak nawet mimo wielokrotnych wstrzyknięć insuliny w ciągu dnia i regularnego monitorowania stężenia glukozy we krwi pacjenci nie są w stanie w pełni kontrolować choroby i przeciwdziałać powikłaniom.

Najczęstszym powikłaniem cukrzycy jest hipoglikemia lub hiperglikemia, czyli zbyt niski lub zbyt wysoki poziom glukozy we krwi, które prowadzą do poważnych zmian w komórkach mięśnia sercowego oraz układu nerwowym. Z kolei w obrębie układu sercowo-naczyniowego przyczyną powikłań jest towarzysząca chorobie kwasica ketonowa, która indukuje rozwój miażdżycy i prowadzi do dysfunkcji komórek śródbłonna, pojawienia się stanu zapalnego i zmian zakrzepowych³⁵.

W dłuższej perspektywie u wielu pacjentów mogą się pojawić również powikłania układu sercowo-naczyniowego obejmujące utratę wzroku, a także tzw. stopę cukrzycową (prowadzącą niejednokrotnie do amputacji) czy rozwój chorób współwystępujących, między innymi chorób nerek.

Nadzieją na usunięcie przyczyny choroby dla pacjentów z cukrzycą typu 1 jest terapia komórkowa. Polega na wprowadzeniu żywych komórek do organizmu pacjenta. Nowe komórki przejmują funkcję komórek wadliwych, co zwalcza schorzenie i przywraca zdrowie. Ten rodzaj terapii może się okazać skuteczny również w przypadku innych schorzeń, takich jak **stwardnienie rozsiane** czy **reumatoidalne zapalenie stawów**.

34. Według Przeglądu listy opracowanych produktów na potrzeby terapii innowacyjnych EFPIA 2017.

35. Medycyna po dyplomie, Ryzyko sercowo-naczyniowe i prewencja u pacjentów z cukrzycą, dostępne: https://podyplomie.pl/publish/system/articles/pdfarticles/000/010/963/original/Stromy_od_MpD_2011_04-6.pdf?1468238059.

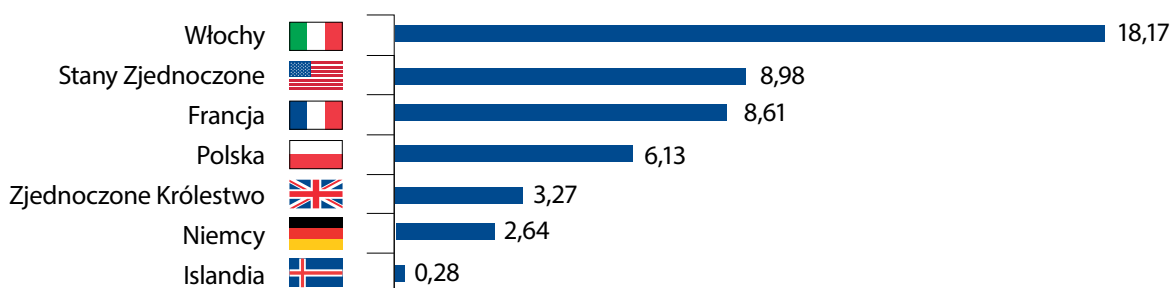
Terapia komórkowa w przypadku cukrzycy typu 1 polega na wprowadzeniu wydzielających insulinę komórek wysp trzustkowych zdrowego dawcy do organizmu pacjenta, co umożliwia odzyskanie kontroli nad stężeniem glukozy we krwi. Dzięki terapii komórkowej nawet u 80% pacjentów cierpiących na cukrzycę typu 1 możliwa będzie rezygnacja z trwającej całe życie insulinoterapii. Pozwoli to znacznie poprawić jakość życia pacjentów, a przede wszystkim kontrolować ryzyko groźnych powikłań.

Leczenie oparte na terapii komórkowej może pozwolić w przyszłości na ograniczenie insulinoterapii jedynie do ciężkich przypadków kwasicy ketonowej (bardzo niskiego stężenia insuliny) w warunkach szpitalnych.

4.4. Przeciwciała monoklonalne w leczeniu bakteryjnych zakażeń układu oddechowego

Zakażenia układu oddechowego to zakażenia bakteryjne zatok, gardła, dróg oddechowych lub płuc, powszechnie dzielone na zakażenia górnych i dolnych dróg oddechowych. Infekcje układu oddechowego spowodowały w 2016 roku w Polsce śmierć ponad 10 tys. osób, czyli 2,7% wszystkich zgonów w tym roku. Plasowało to tę grupę chorób na 7. miejscu pod względem śmiertelności. Również liczba lat życia utraconych z powodu zakażeń układu oddechowego jest wysoka (10. miejsce).

Wykres 24. Przewidywane zgony z powodu oporności na środki przeciwdrobnoustrojowe (AMR) 2015-2050. Śmiertelność na 100 tys. osób



Źródło: OECD (2018), Stemming the Superbug Tide: Just A Few Dollars More

Zakażenia układu oddechowego są poważnym wyzwaniem zdrowotnym, szczególnie jeśli weźmie się pod uwagę stale rosnący problem antybiotykooporności. Światowa Organizacja Zdrowia umieściła lekooporność na liście największych zagrożeń dla zdrowia publicznego w 2019 roku³⁶.

Oporność na leki może pociągać za sobą bardzo poważne konsekwencje, takie jak ciężkie zakażenia szpitalne, które dotyczą co 20. pacjenta leczonego w szpitalu. W Europie ten problem jest bardziej znaczący niż skutki grypy. Jeśli w najbliższym czasie nie zostaną wprowadzone nowe opcje leczenia przeciwbakteryjnego, rosnąca oporność na leki może mieć katastrofalne skutki. Tymczasem w porównaniu z poprzednimi dziesięcioleciami obecnie obserwuje się stosunkowo niewielką liczbę wprowadzanych innowacyjnych leków przeciwbakteryjnych. Liczba dopuszczonych do stosowania nowych leków przeciwbakteryjnych spadła z 19 w latach 1980-1984 do 6 w latach 2010-2014³⁷.

Nadzieją dla chorych są przeciwbakteryjne przeciwciała monoklonalne (mAb). Oferują one nowe, skuteczniejsze metody walki z antybiotykoopornością. Umożliwiają terapię celowaną, która w przeciwieństwie do antybiotyków nie oddziałuje na szerokie spektrum bakterii i nie niszczy zarówno organizmów chorobotwórczych, jak i korzystnej mikroflory.

36. Cassini A., Plachouras D., Eckmanns T., Abu Sin M., Blank H.P., Ducomble T., Haller S., Harder T., Klingeberg A., Sixtensson M., Velasco E., Weiß B., Kramarz P., Monnet D.L., Kretzschmar M.E., Suetens C., Burden of Six Healthcare-Associated Infections on European Population Health: Estimating Incidence-Based Disability-Adjusted Life Years through a Population Prevalence-Based Modelling Study, PLOS One.

37. Przegląd listy opracowanych produktów na potrzeby terapii innowacyjnych, European Federation of Pharmaceuticals Industries and Associations (EFPIA), 2017.

Terapie mAb wykorzystują zróżnicowane mechanizmy, takie jak: neutralizacja toksyn i patogenów wytwarzanych przez bakterie, aktywacja układu odpornościowego do niszczenia bakterii czy oznaczenie bakterii w celu ich zniszczenia przez układ odpornościowy chorego. Dzięki przełomowej specyficy działania mAb znacznie ograniczają ryzyko antybiotykooporności, a także ograniczają czas leczenia i jego toksyczność. Ten rodzaj terapii celowanej pozwala na lepszą kontrolę zakażeń w szpitalach (wywołanych przez bakterie MDR), a także na wykonanie większej liczby zabiegów chirurgicznych u pacjentów obciążonych ryzykiem.

4.5. Leczenie choroby Alzheimera ukierunkowane na szlak β -amyloidu

Choroba Alzheimera to postępująca, nieodwracalna choroba neurologiczna, która negatywnie wpływa na funkcje poznawcze, orientację i zdolność do funkcjonowania. Ostępienie wywołane chorobą Alzheimera nieuchronnie prowadzi do skrócenia życia. Jednak największym problemem jest pogorszenie jakości życia zarówno pacjentów, jak i ich rodzin, przyjaciół oraz opiekunów. W miarę upływu czasu pacjenci tracą bowiem zdolność do zadbania o siebie, przestają rozpoznawać osoby, które znają. Bezpośrednie koszty medyczne i koszty pośrednie związane z chorobą Alzheimera są wysokie, ponieważ systemy opieki zdrowotnej oraz rodziny są zmuszone do zapewnienia i/lub opłacenia opieki nad pacjentem.

Choroba Alzheimera jest jednym z największych problemów zdrowia publicznego w Polsce. Cierpi na nią obecnie 370-460 tys. osób, a prognoza do 2050 roku zakłada trzykrotny wzrost zachorowań. Stanowi 4. przyczynę śmierci (tj. prawie 20 tys. zgonów w 2016 roku). Z uwagi na zaawansowany wiek chorych liczba lat życia utraconych z powodu tej choroby sytuuje ją na 8. miejscu pod tym względem.

Dostępne obecnie leki pozwalają wyłącznie na leczenie nasilających się objawów i są skuteczne jedynie u niektórych osób przez ograniczony czas. Wprowadzenie skutecznych leków innowacyjnych na chorobę Alzheimera będzie miało niebagatelny wpływ nie tylko na jakość życia pacjentów, ale także ich nieformalnych opiekunów – członków rodziny czy przyjaciół.

Dokładna przyczyna choroby Alzheimera nie jest znana. Jedną z hipotez wiąże powstawanie uszkodzeń w mózgu z występowaniem niektórych rodzajów białek. Terapie modyfikujące przebieg choroby Alzheimera, które są obecnie w fazie rozwoju i badań klinicznych, mają na celu rozkład lub hamowanie powstawania substancji powodujących te uszkodzenia. Terapie mogą opóźnić wystąpienie i/lub progresję choroby.

Według wstępnych badań jednego z innowacyjnych leków na chorobę Alzheimera może się on przyczynić do obniżenia tempa pogarszania się umiejętności poznawczych o połowę u osób we wczesnych stadiach demencji (przyjęto, że wczesne stadia demencji występują przed 75. rokiem życia)³⁸. Wprowadzenie nowych leków, ukierunkowanych na β -amyloid, budzi ogromne nadzieje pacjentów z chorobą Alzheimera.

38. Sevigny J., Chiao P., Bussière T., Weinreb P.H., Williams L., Maier M., Dunstan R., Salloway S., Chen T., Ling Y., O’Gorman J., Qian F., Arastu M., Li M., Chollate S., Brennan M.S., Quintero-Monzon O., Scannevin R.H., Arnold H.M., Engber T., Rhodes K., Ferrero J., Hang Y., Mikulskis A., Grimm J., Hock C., Nitsch R.M., Sandrock A., The antibody aducanumab reduces A β plaques in Alzheimer’s disease, Nature 537, 2016.

5. Bariery szerokiego wdrożenia przełomowych innowacji farmaceutycznych

5.1. Zaległości implementacji w Polsce

Korzyści z opracowywania innowacji farmaceutycznych nie są widoczne aż do czasu ich powszechnego udostępnienia pacjentom. Obecnie istnieje wiele przykładów innowacyjnych leków, których implementacja w warunkach polskich nie doszła do skutku lub została znacząco opóźniona. W wielu wypadkach opóźnienie udostępnienia leku może prowadzić do strat zdrowotnych, społecznych i ekonomicznych dla pacjentów, społeczeństwa i gospodarki.

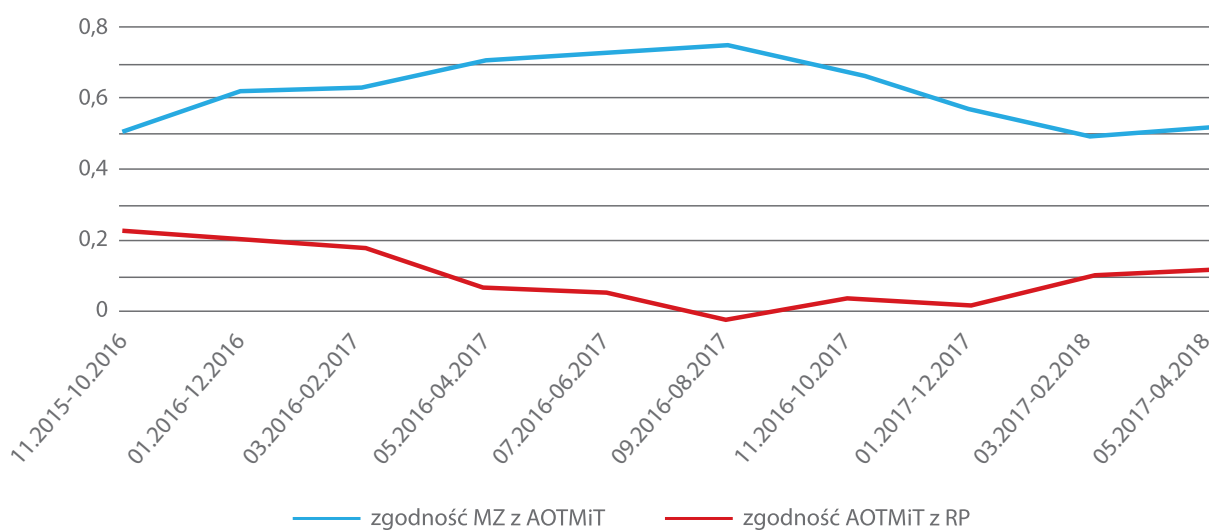
Dr Mariola Kosowicz, kierownik Poradni Psychoonkologii Centrum Onkologii

Najtrudniejsza jest jednak sytuacja, kiedy na świecie jest lek, który mógłby osobie chorej pomóc, a nie jest jeszcze refundowany w Polsce. [...] Nikt nie ma prawa zabierać lub ograniczać możliwości wyboru [terapii – dop. red.] drugiemu człowiekowi. Wybór należy do osoby chorej i jej rodziny.

5.2. Nieprzejrzysty proces szacowania efektu zdrowotnego

W Polsce brakuje kompleksowego podejścia do ochrony zdrowia, co ma swoje odzwierciedlenie między innymi w niespójności decyzji regulatorów. Przykładem może być brak zgodności między rekomendacją odnośnie do efektywności metod leczenia a ich refundacją między Ministerstwem Zdrowia (MZ), Agencją Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) oraz Radą Przejrzystości (RP). Obecnie aż 52% leków, uzyskujących pozytywną rekomendację Prezesa AOTMiT, nie jest refundowanych, a 39% leków z negatywną oceną AOTMiT podlega refundacji³⁹.

Wykres 25. Zgodność w ocenie wniosku refundacyjnego (mierzona współczynnikiem V-Cramera)



Źródło: getmedi.pl

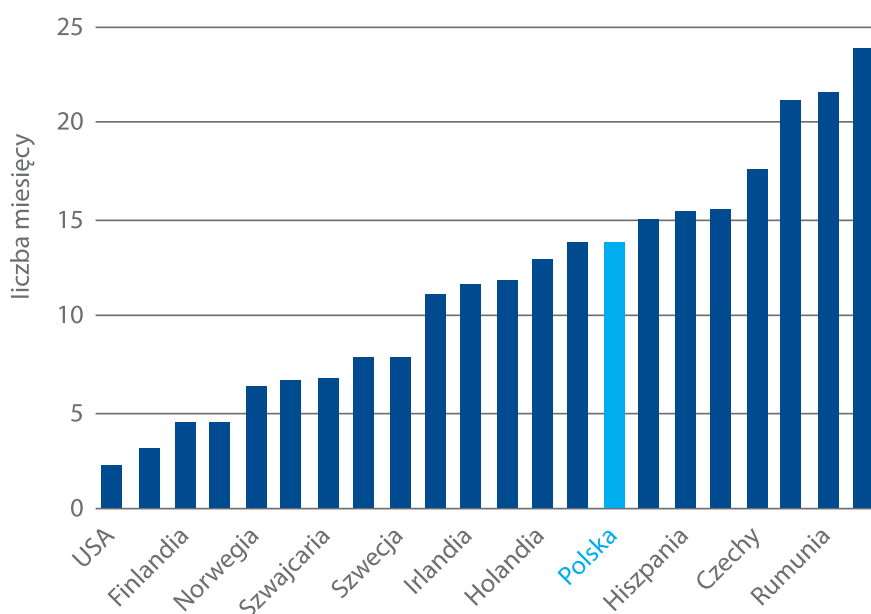
39. Dane Instytutu Arcana.

Rekomendacja: Konieczne jest wzmocnienie roli AOTMiT w celu zwiększenia znaczenia opieki zdrowotnej opartej na wartości (ang. value based healthcare, VBHC). Według tej koncepcji finansowanie świadczeń zdrowotnych jest uzależnione od wyników leczenia pacjenta, w odróżnieniu od istniejącego systemu finansowania świadczeń zdrowotnych opartego na mierniku liczby dostarczonych usług zdrowotnych. W rezultacie poprawiłaby się skuteczność leczenia, dzięki zastosowaniu skutecznych innowacyjnych leków, przy prawdopodobnie niższych kosztach ogółem (np. Humana 2017, Value Based Healthcare Report wykazuje oszczędności w wysokości 15%).

5.3. Długi i skomplikowany proces udostępniania leku pacjentom oraz jego refundacji

O ile wprowadzenie na rynek innowacyjnych leków jest zwykle poprzedzone procedurą rejestracyjną mającą zasięg ogólnoeuropejski, o tyle udostępnienie go pacjentom przebiega różnie w poszczególnych krajach. W przypadku Polski średni czas od zgody na obrót lekiem do pierwszej sprzedaży wynosi ponad rok, co sytuuje nas w środku rankingu państw Unii Europejskiej.

Wykres 26. Średni czas od zgody na obrót leku do pierwszej sprzedaży w 2015 roku (miesiące)



Źródło: IQVIA

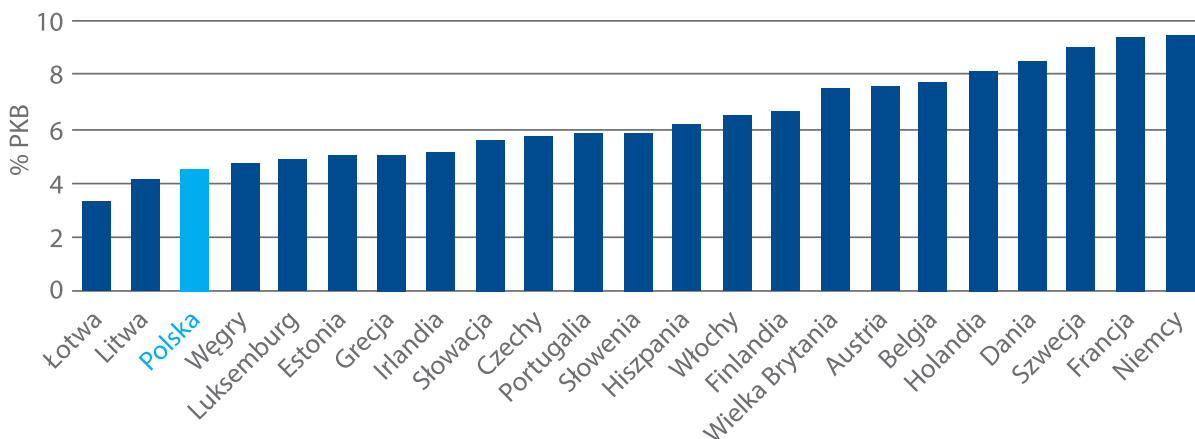
Aby poprawić dostępność poszczególnych leków dla pacjentów, producenci często składają wnioski o refundację ze środków publicznych. Obecnie procedura refundacyjna nie uwzględnia w sposób wystarczający kryterium innowacyjności produktu. Przykładem może być między innymi aktualizacja listy leków refundowanych z 1 września 2018 roku, na której wśród 30 nowych pozycji jedynie dwie mogą być uznane za innowacyjne (nie mają odpowiedników wśród leków wcześniej refundowanych).

Rekomendacja: Zarówno w przypadku rozpoczęcia sprzedaży leku, jak i jego refundacji pod uwagę powinna być brana innowacyjność produktu oparta na rzeczywistych wyliczeniach efektów jego stosowania (na podstawie koncepcji VBHC). Zasadne jest także wprowadzenie mechanizmu, w którym, w przypadku gdy tego typu dane nie byłyby dostępne, priorytet refundacyjny powinien być przyznawany skutecznym lekom innowacyjnym. Ponadto w ocenie technologii medycznych należy uwzględnić koszty pośrednie i dane weryfikujące na podstawie rejestrów medycznych skuteczność leków w praktyce klinicznej. Dzięki temu byłoby możliwe szersze włączenie do praktyki refundacyjnej instrumentów dzielenia ryzyka (ang. risk sharing schemes, tzw. RSS-ów), opartych na efekcie zdrowotnym. Dodatkowo sam proces refundacyjny powinien zostać uproszczony. Optymalnym rozwiązaniem byłaby także profesjonalizacja Komisji Ekonomicznej zajmującej się polityką lekową.

5.4. Niedofinansowanie systemu ochrony zdrowia i brak narzędzi poprawy efektywności wydatków

Podstawowym problemem, który ogranicza wdrażanie innowacyjnych leków, jest brak odpowiedniego poziomu wydatków publicznych na leki. Wydatki publiczne na ochronę zdrowia w stosunku do PKB w naszym kraju są na jednym z najniższych poziomów w Europie (4,6% w 2017 roku).

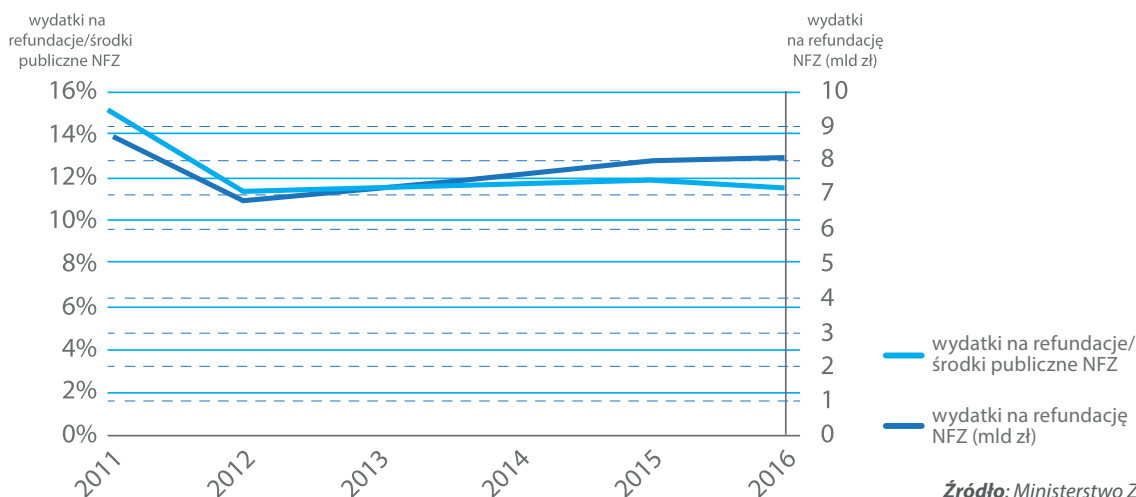
Wykres 27. Publiczne wydatki na ochronę zdrowia w 2017 roku (% PKB)



Źródło: OECD

Przekłada się to między innymi na stosunkowo niskie środki przeznaczane na refundację leków, w szczególności po wejściu w życie ustawy refundacyjnej z 2012 roku.

Wykres 28. Wydatki na refundację NFZ nominalnie oraz w relacji do kwoty środków publicznych NFZ



Źródło: Ministerstwo Zdrowia

Nawet poprawa finansowania do 6% PKB do 2024 roku w świetle starzejącego się społeczeństwa może się okazać niewystarczająca. Brakuje również narzędzi zwiększających efektywność wykorzystania środków finansowych na ochronę zdrowia (między innymi zaawansowanych RSS).

Rekomendacja: Wydatki publiczne na ochronę zdrowia powinny stopniowo wzrastać, co umożliwi pacjentom korzystanie z najnowszych osiągnięć medycyny. Sytuację może poprawić przeznaczenie na refundację minimum 16,5% z całościowych środków na ochronę zdrowia i zwiększanie tego pułapu w miarę rosnących potrzeb zdrowotnych. Korzystny efekt ekonomiczny może być uzyskany dzięki większemu wykorzystaniu instrumentów dzielenia ryzyka, w szczególności opartych na efektach zdrowotnych. Zastosowanie RSS-ów w Polsce przyczyniło się do uzyskania średnio 40% rabatu dla płatnika publicznego na leki w programach lekowych i chemioterapii w 2016 roku⁴⁰. Ponadto należy uwzględnić koszty pośrednie przy podejmowaniu decyzji o finansowaniu terapii z budżetu publicznego.

40. Według danych getmedi.pl.

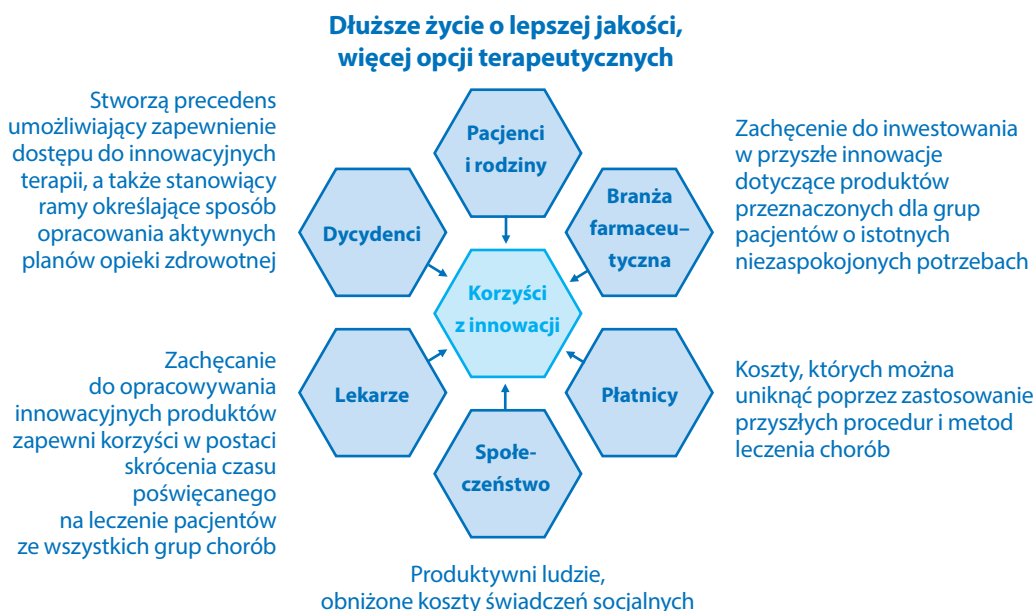
6. Podsumowanie

Prace nad nowymi lekami na przestrzeni dziesięcioleci przynosiły kolejne opcje terapeutyczne dla wielu chorych. Innowacjom w farmakoterapii zawdzięczamy 40%-59% wzrostu oczekiwanej długości życia⁴¹.

Część nowych cząsteczek stanowiła przełomowe odkrycia zmieniające oblicze medycyny. Z roku na rok naukowcy coraz lepiej poznają mechanizmy powstawania chorób, co pozwala im rozwijać coraz bardziej zaawansowane leki. Dzięki nim wiele schorzeń dotychczas nieuleczalnych może zostać wyleczonych, a choroby śmiertelne mogą się stać przewlekłymi, z którymi można żyć i pracować. W ciągu najbliższych kilku lat innowacyjne leki mogą zmienić oblicze niektórych chorób, z którymi do tej pory medycyna nie umiała sobie poradzić, lecząc jedynie objawy, a nie ich przyczynę.

Zaprezentowane w raporcie innowacyjne rozwiązania medyczne mają kluczowe znaczenie nie tylko dla dotkniętych daną jednostką chorobową pacjentów lub ich bliskich, ale dla wszystkich interesariuszy systemu opieki zdrowotnej, co zostało zobrazowane na poniższym diagramie.

Wykres 29. Pozytywne skutki stosowania innowacyjnych terapii



Biorąc pod uwagę fakt, że w opracowaniu znajduje się obecnie ponad 7000 leków, nowa fala innowacji farmaceutycznych odegra kluczową rolę w przezwyciężaniu wyzwań stojących przed pacjentami i systemami opieki zdrowotnej. Pacjenci czekają między innymi na terapie komórkowe CAR-T, ułatwiające zwalczanie przez organizm nowotworów krwi i mogące zastąpić leczenie z wykorzystaniem chemioterapii, terapie genowe, które mogą pozwolić na wyleczenie utrzymujących się przez całe życie i zagrażających życiu schorzeń, takich jak hemofilia, a także terapię komórkową, która zastąpi trwającą całe życie insulinoterapię w przypadku chorych na cukrzycę typu 1. Wielką nadzieją jest opracowywana metoda leczenia choroby Alzheimera, pozwalająca na opóźnienie wystąpienia i progresji choroby. Nadzieją dla wielu chorych są również przeciwbakteryjne przeciwciała monoklonalne oferujące nową metodę walki z antybiotykoopornością oraz zwalczania zakażeń bakteryjnych.

Aby nowe leki realnie mogły poprawić sytuację pacjentów, konieczne jest ich jak najszersze udostępnianie. Niezbędne są rozwiązania systemowe pozwalające na stosowanie skutecznych i bezpiecznych leków u chorych, u których mogą one przynieść efekty zdrowotne.

Nie należy również zapominać, że innowacje farmakologiczne przyczyniają się do postępu w medycynie. Zmieniają nie tylko oblicze chorób, ale przede wszystkim umożliwiają coraz częściej wieloletnie funkcjonowanie pacjentów z chorobą, z zachowaniem ról społecznych i zawodowych.

41. Lichtenberg F.R., The Impact of New Drug Launches on Longevity: Evidence from Longitudinal, Disease-Level Data from 52 Countries, 1982–2001.

