

RAPORT 3.0

Równy dostęp do leczenia w programie lekowym B.47
leczenia umiarkowanej i ciężkiej postaci łuszczycy
plackowatej – uwarunkowania medyczne i prawne

RAPORT

Partnerzy: AbbVie, Almirall, Eli Lilly, Janssen, Novartis, UCB



Warszawa, styczeń 2023 r.

RÓWNY DOSTĘP DO LECZENIA W PROGRAMIE LEKOWYM B.47 LECZENIA UMIARKOWANEJ I CIĘŻKIEJ POSTACI ŁUSZCZYCY PLACKOWATEJ – UWARUNKOWANIA MEDYCZNE I PRAWNE

RAPORT OPRACOWANY POD MERYTORYCZNYM NADZOREM:

Pana prof. dr. hab. n. med. Witolda Owczarka w zakresie aspektów medycznych i farmakoekonomicznych oraz Pani dr Anny Banaszewskiej w zakresie aspektów prawnych

ZAWARTOŚĆ MERYTORYCZNA:

1. Łuszczyca plackowata.....	str. 2
1.1. definicja i klasyfikacja.....	str. 2
1.2. epidemiologia.....	str. 3
1.3. wytyczne kliniczne w Polsce i na Świecie.....	str. 6
2. Leczenie łuszczycy w programie lekowym.....	str. 8
2.1. Program lekowy B.47.....	str. 8
2.2. Program lekowy a wytyczne kliniczne.....	str. 10
2.3. Czynniki ograniczające dostęp do terapii.....	str. 15
2.3.1. Koszt zniesienia ograniczenia czasu trwania terapii w programie.....	str. 17
3. Warunki formalno-prawne leczenia pacjenta w programie lekowym.....	str. 23
4. Unmet needs w zakresie nowych terapii/ rozwiązań terapeutycznych w obszarze leczenia łuszczycy.....	str. 39
5. Podsumowanie.....	str. 42

1. Łuszczyca plackowata

1.1. Definicja i klasyfikacja

Łuszczyca plackowata (ICD-10: L.40.0)¹ jest przewlekłą, zapalno-proliferacyjną, nawracającą chorobą skóry o podłożu autoimmunologicznym oraz trudnym do przewidzenia przebiegu [Gottlieb 2011, Wielowieyska-Szybińska 2012, Kamiya 2019]. Zgodnie z aktualnym podejściem powinna być traktowana jako choroba ogólnoustrojowa o podłożu zapalnym i w związku z tym powinna być odpowiednio wcześniej diagnozowana a chory systematycznie monitorowany w zakresie rozwoju innych zapalnych chorób współtowarzyszących [PTD 2020 część I].

Najczęściej spośród wszystkich rodzajów łuszczycy diagnozowana jest łuszczyca plackowata (zwyczajna), którą odnotowuje się u ok. 80-90% chorych. Charakterystyczną jej cechą jest występowanie rumieniowatych łusek o wielkości od jednego do kilku centymetrów, wyraźnie oddzielonych od zdrowej skóry. Zmiany mogą pokrywać prawie całą powierzchnię ciała lub być ograniczone do pojedynczych łusek. Kształt zmian może być okrągły lub owalny, o nieregularnych brzegach. Najczęstsza lokalizacja zmian obejmuje skórę głowy, tułów, pośladki, kończyny, a szczególnie kolana i łokcie [Menter 2008, Rendon 2019]. Łuszczyca plackowata może przybrać postać mało i średnio nasiloną, rozległą lub erythrodermiczną [Wielowieyska-Szybińska 2012].

Często diagnozowanym rodzajem choroby jest łuszczyca paznokci, która dotyczy ponad połowy chorych na łuszczycę. Może być schorzeniem współistniejącym z pozostałymi rodzajami łuszczycy, obejmując paznokcie dłoni (u 50% chorych) lub stóp (u 35% chorych). Cechują ją zmiany punktowe, rozwarstwienie płytki paznokcia, hiperkeratoza podpaznokciowa czy onycholiza. Dość często stwierdzana jest także łuszczyca stawów, znana również jako łuszczycowe zapalenie stawów (ŁZS), którą odnotowuje się u około 30% chorych na łuszczycę. Znacznie rzadziej występującymi rodzajami choroby jest łuszczyca krostkowa, odwrócona (zwana inaczej łuszczycą zgięciową), kropelkowa, skóry owłosionej głowy, twarzy, rąk i stóp oraz łuszczyca wieku dziecięcego [PTD 2020, część I, Rendon 2019, MP 2022].

Definiowanie stopnia nasilenia łuszczycy plackowatej zasadniczo polega na zaklasyfikowaniu chorego do grupy chorych, u których choroba ma nasilenie łagodne lub umiarkowane do ciężkiego i opiera się na ocenie parametru PASI oraz dodatkowo BSA i DLQI.

W literaturze funkcjonuje niejednorodny system klasyfikacji nasilenia łuszczycy. Jako że w Polsce praktykę kliniczną dla leczenia biologicznego definiują zapisy Programu lekowego, do którego w niniejszej analizie znajdują się liczne odniesienia, dla zachowania spójności przyjęto definicje zawarte we wspomnianym Programie. Tym samym:

- chorzy z łuszczycą o nasileniu ciężkim to chorzy z PASI >18, DLQI >10 i BSA >10;

¹ ICD-10, ang. *International Statistical Classification of Diseases and Related Health Problems*) – Międzynarodowa Statystyczna Klasyfikacja Chorób i Problemów Zdrowotnych

- chorzy z łuszczycą o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego to chorzy z PASI>10, DLQI>10 i BSA>10.

1.2. Epidemiologia

Częstość występowania łuszczycy na świecie w populacji ogólnej to około 2%. Rozpowszechnienie łuszczycy zależy od rejonu geograficznego – choroba w najmniejszym stopniu dotyczy populacji azjatyckiej i afrykańskiej, natomiast w populacjach kaukaskiej i skandynawskiej choroba ta dotyczy nawet 11% społeczeństwa [Kamiya 2019].

W populacji polskiej częstość występowania łuszczycy określa się na ok. 3% [MP 2022]. Według danych z MZ z 2019 roku rejestrowana zapadalność na łuszczycę w Polsce w całej populacji wyniosła 0,13%, co przekłada się na 28,2 tys. przypadków. Współczynnik zapadalności rejestrowanej w całej populacji wyniósł 73,2 na 100 tys. ludności [MPZ 2020].

Występowanie łuszczycy obserwuje się z podobną częstością u obu płci. Ponadto choroba ta może występować w każdym wieku. [Wielowieyska-Szybińska 2012, Borzęcki 2018]. W Polsce w latach 2008-2015 odnotowano wyraźny wzrost liczby chorych na łuszczycę leczonych w warunkach szpitalnych, co w znacznym stopniu wynikało z uruchomienia w styczniu 2013 roku Programu lekowego leczenia chorych na łuszczycę, do którego kwalifikowano wyłącznie chorych z ciężkim nasileniem choroby (PASI>18). Oczekiwana długość życia chorych na łuszczycę jest krótsza o około 6 lat w porównaniu z obserwowaną w populacji osób zdrowych, co w większości spowodowane jest chorobami układu krążenia, które współwystępują w przebiegu łuszczycy [Abuabara 2010, Boehncke 2015].

Na podstawie Sprawozdań NFZ zestawiono liczby chorych poddanych terapii lekami finansowanymi w ramach programu lekowego B.47. Dane przedstawiono w poniższej tabeli,

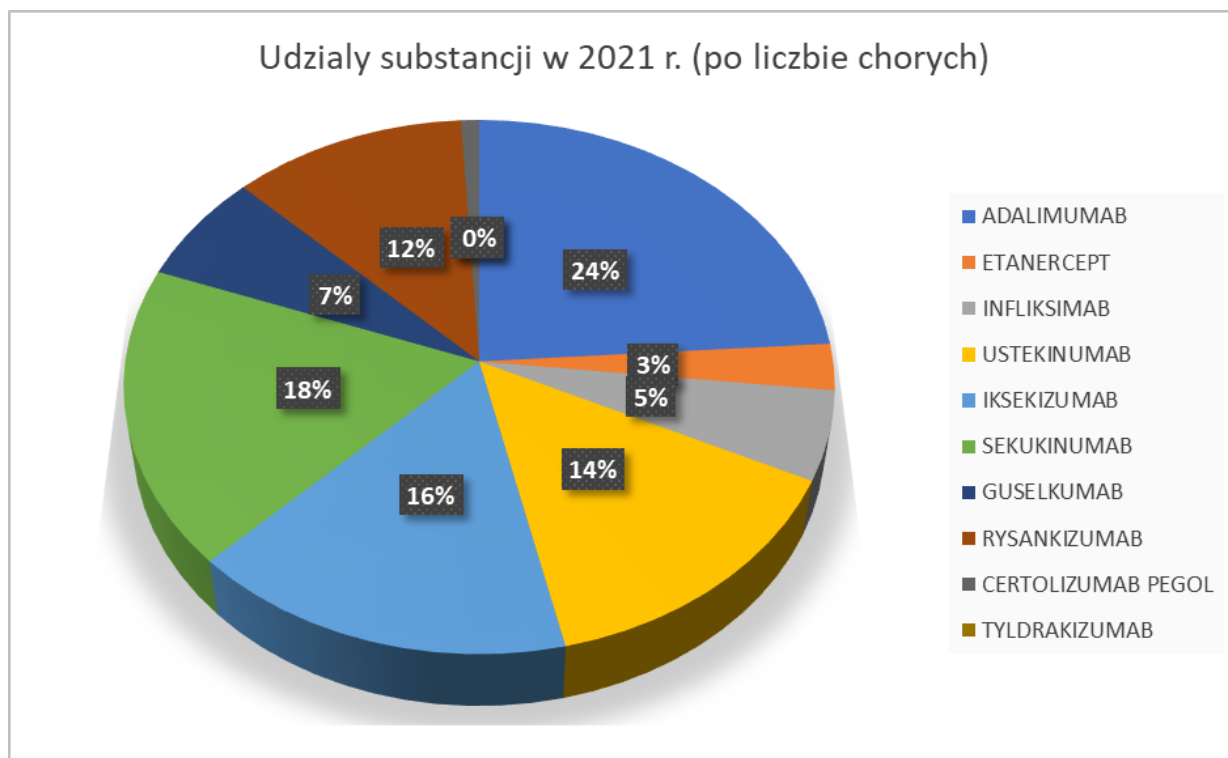
Tabela 1.

Dane historyczne chorych leczonych w Programie lekowym B.47 na podstawie Sprawozdań NFZ

Substancja czynna	Liczba osób objętych programem (Sprawozdania NFZ)					
	2016 r.	2017 r.	2018 r.	2019 r.	2020 r.	2021 r.
ADA	270	310	398	412	392	515
ETA	13	12	9	15	25	60
INF	54	113	169	175	138	116
UST	226	272	283	306	311	308
IKS	0	0	1	122	229	347
SEK	0	0	0	163	269	391
GUS	0	0	0	0	2	145
RIS	0	0	0	0	28	253
CERT	0	0	0	0	0	20
TIL	0	0	0	0	0	1
Suma	563	707	860	1 193	1 394	2 156

Źródło: Załączniki IV.3.2. do Uchwał Rady Narodowego Funduszu Zdrowia w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał w latach 2016 r. – 2021 r.

Udziały procentowe poszczególnych substancji finansowanych w ramach programu lekowego B.47 w 2021 roku przedstawiono na rysunku poniżej.



Rysunek 1.
Udziały procentowe poszczególnych substancji finansowanych w ramach programu lekowego B.47 w 2021 roku

Chorzy na łuszczycę wymagają nie tylko leczenia dermatologicznego, ale często również pomocy ze strony psychologicznej i/lub psychiatrycznej. Ze względu na duże i nieestetyczne zmiany skórne, chorzy mają problemy z akceptacją swojego ciała, zaniżoną samoocenę i obniżone poczucie własnej wartości. Nierzadko z powodu niewiedzy społeczeństwa o niezakaźności choroby, łuszczycy staje się przyczyną stygmatyzacji chorych. Częstą konsekwencją napiętnowania i ciągłej oceny ze strony osób postronnych jest wycofanie się z życia społecznego lub zamaskowywanie miejsc zmienionych chorobowo za pomocą ubrań. Zachowania te wpływają na pogorszenie jakości życia oraz zwiększają stres odczuwany przez chorego, a w efekcie mogą przyczynić się do zaostrzenia objawów chorobowych [Bhosole 2006, Jankowiak 2020].

Również depresja i myśli samobójcze występują wśród chorych na łuszczycę z wyższą częstością niż w populacji ogólnej. Częstość występowania depresji u chorych na łuszczycę może wynosić aż 60%. W jednym z badań 9,7% chorych na łuszczycę życzyłoby sobie umrzeć a kolejnych 5,5%

chorych zgłaszało myśli samobójcze [Basko-Piluska 2012, Menter 2008, Kim 2017, Bhosole 2006].

Liczne badania wskazują na współistnienie schorzeń towarzyszących u chorych cierpiących na łuszczycę. Są nimi m.in. łuszczycowe zapalenie stawów, choroba wieńcowa, cukrzyca, nadciśnienie, choroba Leśniowskiego – Crohna czy wrzodziejące zapalenie jelit [Tinggaard 2021, Brzezińska 2018, Owczarczyk-Saczonek 2017, Wielowieyska–Szybińska 2012]. Wskazuje się również na współistnienie zespołu metabolicznego (zespołu schorzeń obejmujący podwyższone stężenie trójglicerydów, otyłość brzuszną, nadciśnienie tętnicze, obniżone stężenie lipoprotein o dużej gęstości, podwyższone stężenie glukozy na czczo lub cukrzycę typu 2) [Wielowieyska–Szybińska 2012].

Aktualne zalecenia Polskiego Towarzystwa Dermatologicznego potwierdzają, że łuszczycy jest schorzeniem ogólnoustrojowym i wiąże się z rozwojem chorób takich jak łuszczycowe zapalenie stawów, wystąpieniem powikłań sercowo – naczyniowych czy zaburzeniami gospodarki lipidowej prowadzącymi do zespołu metabolicznego. Za potrzebą odpowiedniej diagnostyki i koniecznością monitorowania chorób współistniejących przemawia fakt częstszego współistnienia tych chorób u osób z ciężkim przebiegiem łuszczycy. Prowadzi to do nasilenia procesu chorobowego oraz skutkuje zwiększoną śmiertelnością. Dodatkowo, badania wskazują na niższą skuteczność leczenia ogólnego u chorych z łuszczycą i schorzeniami współtowarzyszącymi w przypadku braku ich kontroli i poddania odpowiedniej diagnostyce [PTD 2020, część I]. Chorzy na łuszczycę muszą więc pozostawać pod opieką lekarzy wielu specjalności, co prowadzi do znacznego obciążenia chorych, jak i obciążenia ekonomicznego.

Warto zauważyć, że istotnym zagadnieniem w kontekście omawiania łuszczycy jako choroby przewlekłej jest skumulowane pogorszenie przebiegu życia (CLCI, ang. *cumulative life course impairment of psoriasis*). CLCI ocenia wpływ choroby na funkcjonowanie chorych, wskazuje, że przez to, iż choroba ta może trwać od dzieciństwa do późnej starości, może również powodować nieodwracalne obciążenia zwiększające się wraz z upływem czasu. Dlatego też, nawet w przypadku braku stanów zagrażających życiu lub widocznych blizn, istnieje konieczność wdrożenia odpowiedniego leczenia na jak najwcześniejszym etapie choroby, w celu uniknięcia długotrwałego odczuwania bólu, progresji choroby i eskalacji CLCI, zwłaszcza wśród chorych bardziej narażonych na CLCI, co jest zgodne z zaleceniami WHO i Brytyjskiego Stowarzyszenia Dermatologów. Łuszczycy o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego w sposób bezpośredni wpływa na życie chorych także w kontekście podejmowania życiowych decyzji i aktywności – może uniemożliwiać chorym osiągnięcie założonych celów życiowych, rozwijanie kariery zawodowej, zdobycie wykształcenia, rozwijanie relacji społecznych, czerpanie pełnej satysfakcji z życia rodzinnego lub posiadanie dzieci. Identyfikacja ryzyka powstania CLCI jest więc istotna zwłaszcza u chorych, którzy uważają, że ich życie potoczyłoby się inaczej, gdyby nie chorowali na łuszczycę [Warren 2011].

1.3. Wytyczne w Polsce i na świecie

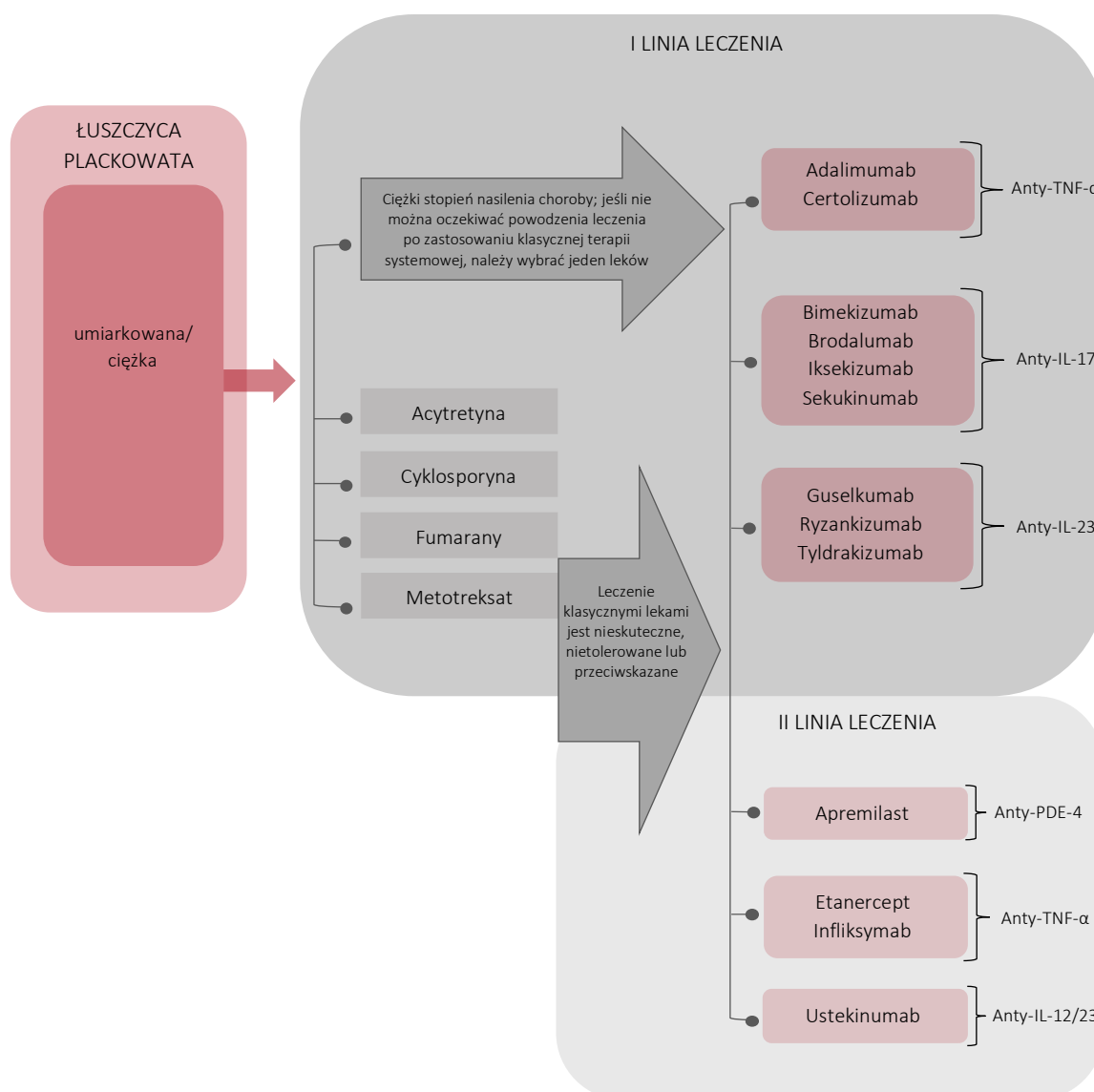
Najnowsze zagraniczne wytyczne dotyczące leczenia łuszczycy plackowatej o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego zostały opublikowane przez *European Dermatology Forum* w 2022 roku. Wytyczne te, biorąc pod uwagę najnowsze badania kliniczne, zawierają zalecenia dotyczące wyboru rodzaju terapii oraz przedstawiają dostępne linie leczenia, uwzględniając pojawienie się nowych leków przeciwłuszczycowych.

Według wytycznych EuroGuiDerm 2022 przed wyborem odpowiedniej terapii zaleca się uwzględnienie skuteczności i bezpieczeństwa stosowanego leczenia, czasu do wystąpienia odpowiedzi na leczenie, a także chorób współistniejących oraz indywidualnych dla każdego chorego czynników mogących mieć wpływ na przyszłe leczenie.

W dokumencie EuroGuiDerm 2022 przedstawiono również zalecenia dotyczące rozpoczęcia leczenia systemowego (lekami klasycznymi lub biologicznymi) u chorych na łuszczycę o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego. Wybór ścieżki leczenia zależy w dużej mierze od przebiegu choroby – u większości chorych jako leczenie pierwszego wyboru zalecane jest zastosowanie terapii konwencjonalnej, tj. systemowych leków klasycznych (acytretyna, cyklosporyna, fumarany, metotreksat lub terapia UV²). W przypadku niepowodzenia terapii lekami klasycznymi, brakiem ich tolerancji lub przeciwwskazaniem do jej stosowania, rekomendowane jest rozpoczęcie terapii biologicznej, indywidualnie dobierając lek biologiczny spośród dostępnych w I i II linii leczenia łuszczycy (lub zastosowanie apremilastu, jeśli preferowany jest lek doustny). Z kolei u chorych na łuszczycę plackowatą o nasileniu ciężkim, u których nie można oczekiwać sukcesu terapeutycznego po zastosowaniu klasycznej terapii systemowej, należy wybrać jeden z leków biologicznych I linii (określenie I linii odnosi się do wskazania rejestracyjnego).

Na poniższym grafie przedstawiono opcje terapeutyczne zalecane do stosowania u chorych na łuszczycę plackowatą o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego, z uwzględnieniem linii leczenia biologicznego.

² Terapia UV nie jest przedmiotem wytycznych EuroGuiDerm 2022, jednak jest ona zalecana jako alternatywna terapia indukcyjna.



Rysunek 2.
Zalecenia terapeutyczne EuroGuiDerm 2022 [opracowanie własne na podstawie EuroGuiDerm 2022]

Wytyczne EuroGuiDerm 2022 nie definiują jak długo powinna trwać terapia z zastosowaniem leków biologicznych, co równoznaczne jest z brakiem ogólnie narzuconych ograniczeń czasowych dla stosowanych terapii. Nie przedstawiono również danych na temat obligatoryjnej liczby wcześniejszych terapii lekami klasycznymi, które są niezbędne do rozpoczęcia leczenia biologicznego.

Rekomendacje EuroGuiDerm 2022 są zgodne z wytycznymi innych zagranicznych organizacji, m.in. BAD 2020, AAD-NPF 2019 oraz FSD 2019. Wymienione organizacje, wskazują na potrzebę wdrażania biologicznego leczenia systemowego u chorych na łuszczycę plackowatą o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego, które będzie długotrwale skuteczne i bezpieczne oraz dobrane indywidualnie dla każdego chorego.

Najnowsze wytyczne polskie dotyczące leczenia łuszczycy plackowatej zostały wydane przez Polskie Towarzystwo Dermatologiczne (PTD) w 2020 roku. Należy podkreślić, że są one zasadniczo zgodne z wytycznymi zagranicznych organizacji. Podkreślono w nich potrzebę doboru leków biologicznych z uwzględnieniem dotychczasowego leczenia, preferencji chorego, doświadczenia lekarza prowadzącego oraz indywidualnych predyspozycji chorego. Zwrócono ponadto uwagę na oczekiwania ekspertów klinicznych odnośnie traktowania dobrze znanych w praktyce klinicznej inhibitorów-TNF-alfa jako standardu terapeutycznego, który powinien stać się dostępny dla chorych na łuszczycę umiarkowaną do ciężkiej również w ramach leczenia otwartego. Omawiane wytyczne, podobnie jak wytyczne zagraniczne nie zawierają rekomendacji określonego czasu leczenia lekami biologicznymi czy wymogu konkretnej liczby terapii przed przystąpieniem do leczenia biologicznego. Z racji daty wydania wytycznych PTD nie zawierają one rekomendacji dotyczących zastosowania jednych z najnowszych leków, których mechanizm działania polega na blokowaniu podjednostki p-19 i selektywnie łączące się z interleukiną 23., tj. guselkumabu, ryzankizumabu, tyldrakizumabu, jak również takich inhibitorów interleukiny 17. jak bimekizumab i brodalumab.

2. Leczenie łuszczycy w programie lekowym

Leczenie łuszczycy plackowatej jest uzależnione od nasilenia choroby. W przypadku chorych na łuszczycę o nasileniu łagodnym najczęściej wystarczające jest zastosowanie terapii miejscowej oraz ewentualnie terapii systemowej w postaci fototerapii i fotochemoterapii (PUVA) w sytuacji braku zadowalającej odpowiedzi na terapię miejscową. Brak adekwatnej odpowiedzi na leczenie miejscowe lub nasilenie choroby od umiarkowanego do ciężkiego jest wskazaniem do wdrożenia klasycznego leczenia systemowego z zastosowaniem metotreksatu (MTX), cyklosporyny A (CYKLO), acytretyny lub glikokortykosteroidów. Przedstawione opcje terapeutyczne ze względu na fakt, iż w większości są objęte refundacją w ramach wykazu A1 można traktować jako leki, do których dostęp jest relatywnie dobry. Teoretycznie możliwe jest również wykorzystanie apremilastu lub fumaranu dimetylu, jednak ze względu na brak refundacji tych substancji faktyczna możliwość ich powszechnego zastosowania jest ograniczona. Należy jednak podkreślić, iż łagodne nasilenie zmian łuszczycowych nie jest związane z istnieniem tak złożonej niezaspokojonej potrzeby medycznej jaka istnieje w przypadku chorych na łuszczycę o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego.

2.1. Program lekowy B.47

Praktykę kliniczną leczenia biologicznego chorych na łuszczycę plackowatą o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego w Polsce definiują zapisy Programu lekowego B.47 „Leczenie umiarkowanej i ciężkiej postaci łuszczycy plackowatej (ICD-10: L40.0)”.

Do Programu kwalifikowani są chorzy spełniający łącznie następujące kryteria:

- 1) chorzy w wieku: 18 lat i powyżej lub 6 lat i powyżej - w przypadku kwalifikacji do terapii etanerceptem;

- 2) chorzy: z ciężką postacią łuszczycy plackowatej albo z umiarkowaną lub ciężką postacią łuszczycy plackowatej – w przypadku kwalifikacji do terapii adalimumabem, certolizumabem pegol, etanerceptem, infliksymabem, lub tyltrakizumabem – którzy przestali reagować na leczenie lub mają przeciwwskazania, lub nie tolerują innych metod leczenia ogólnego;
- 3) chorzy, u których uzyskano następującą ocenę nasilenia procesu łuszczycowego ze wskaźnikami:
 - PASI większym niż 18 – w przypadku kwalifikacji do terapii guselkumabem, iksekizumabem, ryzankizumabem, sekukinumabem lub ustekinumabem albo PASI większym niż 10 – w przypadku kwalifikacji do terapii adalimumabem, certolizumabem pegol, etanerceptem, infliksymabem, lub tyltrakizumabem oraz
 - DLQI (ewentualnie CDLQI) większym niż 10, oraz
 - BSA większym niż 10;
- 4) chorzy, u których nie uzyskano poprawy po leczeniu z zastosowaniem co najmniej dwóch różnych klasycznych metod ogólnych zastosowanych zgodnie aktualnie obowiązującymi rekomendacjami PTD/EADV/EDF/IPC, a w przypadku chorych od 6 do 18 roku życia po nieskuteczności leczenia miejscowego lub ogólnego zgodnie z aktualnie obowiązującymi rekomendacjami PTD/EADV/EDF/IPC lub chorzy, u których występują przeciwwskazania do zastosowania metod terapii ogólnej zgodnie z aktualnie obowiązującymi rekomendacjami PTD/EADV/EDF/IPC.

Przeciwwskazania do udziału w programie wynikają z przeciwwskazań do stosowania określonych w Charakterystykach Produktów Leczniczych poszczególnych substancji czynnych ujętych w programie lekowym, z uwzględnieniem rekomendacji PTD/EADV/EDF/IPC.

Adekwatna odpowiedź na leczenie oceniana jest po 4 miesiącach (\pm 30 dni) terapii jako zmniejszenie wartości wskaźnika PASI o co najmniej 75% lub po 4 miesiącach (\pm 30 dni) terapii jako zmniejszenie wartości wskaźnika PASI o co najmniej 50% oraz poprawa jakości życia ocenionej za pomocą skali DLQI (ew. CDLQI) o przynajmniej 5 punktów.

W ramach Programu zdefiniowano warunki zmiany terapii, która możliwa jest wyłącznie w przypadku:

- wystąpienia ciężkiej reakcji uczuleniowej na substancję czynną lub pomocniczą lub
- wystąpienia działań niepożądanych uniemożliwiających kontynuowanie terapii, które nie ustępują mimo dostosowywania dawki leku zgodnie z ChPL lub
- braku uzyskania adekwatnej odpowiedzi na zastosowaną substancję czynną lub utraty adekwatnej odpowiedzi stwierdzona w trakcie dwóch kolejnych wizyt monitorujących.

Chory jest wykluczany z udziału w Programie w przypadku braku uzyskania adekwatnej odpowiedzi na leczenie, utraty adekwatnej odpowiedzi na leczenie stwierdzonej w trakcie dwóch kolejnych wizyt monitorujących, oraz w przypadku wystąpienia działań niepożądanych,

które w opinii lekarza prowadzącego oraz zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego, którym prowadzona jest terapia, są przeciwwskazaniami do leczenia daną substancją czynną.

Aktualnie czas leczenia w Programie określony jest na maksymalnie 96 tygodni w przypadku terapii guselkumabem, iksekizumabem, ryzankizumabem, sekukinumabem, tyltrakizumabem lub ustekinumabem przy czym terapię i udział chorego w Programie należy przerwać w przypadku nie uzyskania adekwatnej odpowiedzi na leczenie:

- po 28 tygodniach od podania pierwszej dawki tyltrakizumabu lub ustekinumabu albo
- po 16 i 28 tygodniach od podania pierwszej dawki sekukinumabu, albo
- po 16 tygodniach od podania pierwszej dawki guselkumabu, iksekizumabu lub ryzankizumabu.

W przypadku kwalifikacji do terapii adalimumabem, certolizumabem pegol, etanerceptem lub infliksymabem czas leczenia w Programie określają kryteria kwalifikacji i wyłączenia z Programu a leczenie trwa do czasu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu chorego z programu.

Ze względu na ograniczenia wynikające z zapisów Programu, jak również uwzględniając znaczący wpływ łuszczycy o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego na jakość życia chorych oraz ich funkcjonowanie społeczne należy uznać, iż niezbędne jest podjęcie szeregu działań mających na celu doprowadzenie do poprawy dostępu tych chorych do skutecznego leczenia. Tym samym chorzy na łuszczycę plackowatą o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego będą stanowić najważniejszą w tym opracowaniu populację chorych. Jest to grupa reprezentująca chorych o największej niezaspokojonej potrzebie medycznej spośród chorych na łuszczycę w Polsce.

2.2. Program lekowy a wytyczne kliniczne

Pomimo dostępności dla chorych różnych wariantów leczenia biologicznego, możliwości ich terapii są mocno ograniczone. Jest to spowodowane zapisami Programu lekowego B.47 odnośnie czasu trwania leczenia oraz wymogiem konkretnej liczby wcześniejszych terapii systemowych przed przystąpieniem do leczenia biologicznego. Zapisy te, nie znajdują swojego uzasadnienia w najnowszych wytycznych oraz są nieadekwatne do informacji zawartych w Charakterystykach Produktów Leczniczych poszczególnych leków. Dodatkowym ograniczeniem jest zapis Programu lekowego dotyczący kwalifikacji do leczenia w zależności od stopnia nasilenia łuszczycy. Zgodnie z Programem lekowym, wybór terapii biologicznej uzależniony jest od wyniku PASI chorego. Zapis ten, znacznie zawęży wybór terapii biologicznych dla niektórych chorych i jest niespójny z najnowszymi wytycznymi oraz wskazaniami rejestracyjnymi produktów leczniczych w leczeniu łuszczycy umiarkowanej do ciężkiej.

W tabeli poniżej zawarto zestawienie, obrazujące niespójność Programu lekowego B.47 z najnowszymi wytycznymi EuroGuiDerm 2022, BAD 2020, AAD-NPF 2019, FSD 2019, PTD 2020 oraz zapisami Charakterystyk Produktów Leczniczych dla leków biologicznych refundowanych w Polsce w omawianej jednostce chorobowej.

Tabela 2.

Zestawienie, obrazujące niespójność Programu lekowego B.47 z najnowszymi wytycznymi oraz zapisami Charakterystyk Produktów Leczniczych dla leków biologicznych refundowanych w Polsce w łuszczycy plackowatej.

Grupa leków	Substancja czynna/lek	Ograniczenie czasu trwania leczenia			Określona liczba wcześniejszych terapii systemowych*			Kwalifikacja do leczenia na podstawie stopnia ciężkości choroby		
		Wytyczne kliniczne	ChPL	Program lekowy B.47	Wytyczne kliniczne	ChPL	Program lekowy B.47	Wytyczne kliniczne	ChPL	Program lekowy B.47
Inhibitory TNF- α	<p>Adalimumab [ChPL Hyrimoz®]</p> <p>Certolizumab pegol [ChPL Cimzia®]</p> <p>Infliksymab [ChPL Remsima®]</p> <p>Etanercept [ChPL Enbrel®]</p>	<p><u>BRAK</u></p> <p>Według PTD 2020 decyzję dotyczącą przerwania/zakończenia leczenia biologicznego powinien podejmować lekarz prowadzący w porozumieniu z chorym.</p>	<p><u>BRAK</u></p> <p>Brak informacji o maks. okresie trwania terapii – jedynym powodem przerwania terapii są względy kliniczne.</p>	<p><u>BRAK</u></p> <p>Brak ograniczeń czasowych trwania terapii.</p>	<p><u>NIE</u></p> <p>Brak zdefiniowanej liczby zastosowanych terapii systemowych** lekami klasycznymi, przed rozpoczęciem leczenia lekami biologicznymi oraz brak informacji o koniecznej długości trwania wcześniejszej terapii.</p>	<p><u>NIE</u></p> <p>Brak w zarejestrowanym wskazaniu informacji o liczbie zastosowanych terapii systemowych** lekami klasycznymi, które powinny zostać wykorzystane przed rozpoczęciem leczenia lekami biologicznymi.</p>	<p><u>TAK</u></p> <p><u>Brak poprawy po leczeniu z zastosowaniem co najmniej dwóch różnych klasycznych metod ogólnych**.</u></p>	<p><u>NIE</u></p> <p>Zalecenie stosowania w łuszczycy umiarkowanej do ciężkiej.</p> <p>Według BAD 2020 chory może rozpocząć terapię dowolnym lekiem biologicznym.</p>	<p><u>NIE</u></p> <p>Rejestracja w łuszczycy umiarkowanej do ciężkiej.</p>	<p><u>NIE</u></p> <p>Dostęp do leczenia mają wszyscy chorzy na łuszczycę o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego (PASI >10).</p>
Inhibitory IL-12/IL-23	<p>Ustekinumab [ChPL Stelara®]</p>	<p><u>BRAK</u></p> <p>Według PTD 2020 decyzję dotyczącą przerwania/</p>	<p><u>BRAK</u></p> <p>Brak informacji o maks. okresie</p>	<p><u>TAK</u></p> <p><u>Maks. 96 tygodni***.</u></p>	<p><u>NIE</u></p> <p>Brak zdefiniowanej liczby zastosowanych</p>	<p><u>NIE</u></p> <p>Brak w zarejestrowanym wskazaniu informacji o</p>	<p><u>TAK</u></p> <p><u>Brak poprawy po leczeniu z zastosowaniem co najmniej</u></p>	<p><u>NIE</u></p> <p>Zalecenie stosowania w łuszczycy</p>	<p><u>NIE</u></p> <p>Rejestracja w łuszczycy</p>	<p><u>TAK</u></p> <p><u>Dostęp do leczenia mają tylko chorzy na łuszczycę o</u></p>

Grupa leków	Substancja czynna/lek	Ograniczenie czasu trwania leczenia			Określona liczba wcześniejszych terapii systemowych*			Kwalifikacja do leczenia na podstawie stopnia ciężkości choroby		
		Wytyczne kliniczne	ChPL	Program lekowy B.47	Wytyczne kliniczne	ChPL	Program lekowy B.47	Wytyczne kliniczne	ChPL	Program lekowy B.47
		zakończenia leczenia biologicznego powinien podejmować lekarz prowadzący w porozumieniu z chorym.	trwania terapii – jedynym powodem przerwania terapii są względy kliniczne.		terapii systemowych lekami klasycznymi**, przed rozpoczęciem leczenia lekami biologicznymi oraz brak informacji o koniecznej długości trwania wcześniejszej terapii.	liczbie zastosowanych terapii systemowych lekami klasycznymi**, które powinny zostać wykorzystane przed rozpoczęciem leczenia lekami biologicznymi.	<u>dwóch różnych klasycznych metod ogólnych**.</u>	umiarkowanej do ciężkiej. Według BAD 2020 chory może rozpocząć terapię dowolnym lekiem biologicznym.	umiarkowanej do ciężkiej.	<u>nasileniu ciężkim (PASI >18).</u>
Inhibitory IL-17	Sekukinumab [ChPL Cosentyx®] Iксеkizumab [ChPL Taltz®]	<u>BRAK</u> Według PTD 2020 decyzję dotyczącą przerwania/zakończenia leczenia biologicznego powinien podejmować lekarz prowadzący w porozumieniu z chorym.	<u>BRAK</u> Brak informacji o maks. okresie trwania terapii – jedynym powodem przerwania terapii są względy kliniczne.	<u>TAK</u> <u>Maks. 96 tygodni***.</u>	<u>NIE</u> Brak zdefiniowanej liczby zastosowanych terapii systemowych lekami klasycznymi**, przed rozpoczęciem leczenia lekami biologicznymi oraz brak informacji o koniecznej długości	<u>NIE</u> Brak w zarejestrowanym wskazaniu informacji o liczbie zastosowanych terapii systemowych lekami klasycznymi**, które powinny zostać wykorzystane przed rozpoczęciem	<u>TAK</u> <u>Brak poprawy po leczeniu z zastosowaniem co najmniej dwóch różnych klasycznych metod ogólnych**.</u>	<u>NIE</u> Zalecenie stosowania w łuszczycy umiarkowanej do ciężkiej. Według BAD 2020 chory może rozpocząć terapię dowolnym lekiem biologicznym.	<u>NIE</u> Rejestracja w łuszczycy umiarkowanej do ciężkiej	<u>TAK</u> <u>Dostęp do leczenia mają tylko chorzy na łuszczycę o nasileniu ciężkim (PASI >18).</u>

Grupa leków	Substancja czynna/lek	Ograniczenie czasu trwania leczenia			Określona liczba wcześniejszych terapii systemowych*			Kwalifikacja do leczenia na podstawie stopnia ciężkości choroby		
		Wytyczne kliniczne	ChPL	Program lekowy B.47	Wytyczne kliniczne	ChPL	Program lekowy B.47	Wytyczne kliniczne	ChPL	Program lekowy B.47
					trwania wcześniejszej terapii.	leczenia lekami biologicznymi.				
Inhibitory IL-23	Ryzankizumab [ChPL Skyrizi®] Guselkumab [ChPL Tremfya®] Tydrakizumab [ChPL Ilumetri®]	<u>BRAK</u> Według PTD 2020 decyzję dotyczącą przerwania/zakończenia leczenia biologicznego powinien podejmować lekarz prowadzący w porozumieniu z chorym.	<u>BRAK</u> Brak informacji o maks. okresie trwania terapii – jedynym powodem przerwania terapii są względy kliniczne.	<u>TAK</u> <u>Maks. 96 tygodni***.</u>	<u>NIE</u> Brak zdefiniowanej liczby zastosowanych terapii systemowych lekami klasycznymi**, przed rozpoczęciem leczenia lekami biologicznymi oraz brak informacji o koniecznej długości trwania wcześniejszej terapii.	<u>NIE</u> Brak w zarejestrowanym wskazaniu informacji o liczbie zastosowanych terapii systemowych lekami klasycznymi**, które powinny zostać wykorzystane przed rozpoczęciem leczenia lekami biologicznymi.	<u>TAK</u> <u>Brak poprawy po leczeniu z zastosowaniem co najmniej dwóch różnych metod ogólnych**.</u>	<u>NIE</u> Zalecenie stosowania w łuszczycy umiarkowanej do ciężkiej. Według BAD 2020 chory może rozpocząć terapię dowolnym lekiem biologicznym.	<u>NIE</u> Rejestracja w łuszczycy umiarkowanej do ciężkiej	<u>TAK</u> <u>Dostęp do leczenia RIS oraz GUS mają tylko chorzy na łuszczycę o nasileniu ciężkim (PASI >18).</u> Dostęp do leczenia TIL mają chorzy na łuszczycę o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego (PASI >10)

* koniecznych do podjęcia terapii lekami biologicznymi;

** jako terapie systemowe lekami klasycznymi określono m.in. leczenie cyklosporyną A, metotreksatem, acytretyną, PUVA;

*** W uzasadnionych przypadkach potwierdzonych decyzją Zespołu Koordynacyjnego do Spraw Leczenia Biologicznego w Łuszczycy Plackowatej, u niektórych chorych można zastosować w ramach programu terapię trwającą powyżej 96 tygodni – przy czym długość trwania takiej terapii określa Zespół Koordynacyjny do Spraw Leczenia Biologicznego w Łuszczycy Plackowatej.

2.3. Czynniki ograniczające dostęp do terapii

Analiza zapisów wytycznych klinicznych, Charakterystyk Produktów Leczniczych leków objętych finansowaniem ze środków publicznych w Polsce oraz zapisów Programu lekowego B.47 wskazuje, że terapia chorych w Polsce nie jest zoptymalizowana i zgodna z międzynarodowymi standardami.

Pomijając kwestie związane liczbą ośrodków realizujących Program Lekowy B.47, czy innych związanych z organizacją systemu opieki zdrowotnej, czynniki ograniczające dostęp do terapii można podzielić na dwie kategorie:

- wynikające z kryteriów kwalifikacji do programu;
- wprowadzające określony administracyjnie czas trwania terapii.

W ramach pierwszej kategorii należy rozpatrywać dwa kluczowe elementy tj.:

- wymóg stosowania co najmniej dwóch wcześniejszych terapii systemowych oraz
- zawężenie terapii możliwych do zastosowania u chorych z umiarkowaną postacią choroby wyłącznie do inhibitorów TNF-alfa i tyldrakizumabu.

Dwie wcześniejsze terapie

Do programu lekowego B.47 kwalifikowani są chorzy, u których nie uzyskano poprawy po leczeniu z zastosowaniem co najmniej dwóch różnych klasycznych metod ogólnych zastosowanych zgodnie z aktualnie obowiązującymi rekomendacjami PTD/EADV/EDF/IPC, a w przypadku chorych od 6 do 18 roku życia po nieskuteczności leczenia miejscowego lub ogólnego zgodnie z aktualnie obowiązującymi rekomendacjami PTD/EADV/EDF/IPC lub chorzy, u których występują przeciwwskazania do zastosowania metod terapii ogólnej zgodnie z aktualnie obowiązującymi rekomendacjami PTD/EADV/EDF/IPC.

W odpowiednich Charakterystykach Produktów Leczniczych wskazuje się natomiast, że aby możliwe było podjęcie terapii lekiem biologicznym, chory powinien kwalifikować się do terapii systemowej lub też dla części leków wskazano wymóg wcześniejszego stosowania określonych terapii, jednak dla żadnego z nich nie ma wymogu stosowania co najmniej dwóch różnych metod klasycznych.

W badaniach rejestracyjnych najczęściej chorzy stosowali przed rozpoczęciem leczenia biologicznego inne terapie, jednak kryteria włączenia nie określały jako warunku uczestnictwa braku uzyskania poprawy po leczeniu z zastosowaniem co najmniej dwóch różnych klasycznych metod ogólnych.

Podobnie wytyczne kliniczne nie wskazują na konieczność spełnienia takiego warunku, a co więcej w przypadku choroby o nasileniu ciężkim, w przypadku kiedy nie można oczekiwać powodzenia leczenia po zastosowaniu klasycznej terapii systemowej można od razu zastosować leki biologiczne.

Tym samym wymóg ten nie jest zgodny z wytycznymi klinicznymi, Charakterystykami Produktów Leczniczych ani badaniami klinicznymi dla tych leków.

Jest on ograniczeniem wyłącznie administracyjnym, którego celem od początku funkcjonowania Programu było ograniczenie wydatków płatnika publicznego. Argument ten w dobie leków biologicznych biopodobnych nie jest już jednak aktualny.

Ewolucja w rozumieniu działania i roli leków biologicznych w leczeniu łuszczycy powinna prowadzić do eliminacji tego typu ograniczeń. Pozwoli to na zapewnienie chorym w Polsce dostępu do terapii zgodnego z międzynarodowymi standardami.

Uwzględniając znaczną przewagę leków biologicznych w zakresie skuteczności nad klasycznymi lekami modyfikującymi przebieg choroby nie jest uzasadnione limitowanie dostępu do terapii wyłącznie chorym uprzednio leczonym co najmniej dwoma lekami klasycznymi. Takie podejście przyczynia się do opóźnienia powrotu chorego do normalnego funkcjonowania społecznego czego konsekwencją jest oprócz bezpośrednio wpływu na chorego oraz jego rodzinę, zwiększenie kosztów pośrednich wynikających z wpływu choroby na życie zawodowe chorego oraz korzystanie ze świadczeń opieki społecznej.

Postać umiarkowana dla wybranych terapii

Podobnie ograniczenie zakresu możliwych do zastosowania opcji terapeutycznych u chorych z umiarkowanym nasileniem choroby nie jest zjawiskiem korzystnym.

Jak wspomniano wcześniej, również w tej grupie chorych łuszczycą w znaczącym stopniu wpływa na obniżenie jakości życia i prowadzi do długotrwałych negatywnych konsekwencji w zakresie zarówno samych objawów choroby, jak również funkcjonowania społecznego i zawodowego.

W badaniach rejestracyjnych dla leków biologicznych uczestniczyli chorzy, u których nasilenie choroby określono jako umiarkowane do ciężkiego, czego rezultatem była rejestracja poszczególnych substancji w takiej populacji. Podobnie w wytycznych klinicznych terapia lekami biologicznymi zalecana jest w postaci umiarkowanej do ciężkiej. Zawężenie wyboru opcji terapeutycznych w przypadku chorych z umiarkowanym nasileniem choroby prowadzi do ich dyskryminacji, ponieważ lekarze nie mają możliwości optymalizacji terapii i dostosowania jej w pełni do indywidualnej sytuacji klinicznej danego chorego. Warto przy tym zauważyć, że wdrożenie terapii na jak najwcześniejszym etapie choroby bezsprzecznie wiąże się z uzyskaniem korzyści w postaci opanowania stanu zapalnego leżącego u podstaw zarówno choroby podstawowej – łuszczycy, jak również wielu chorób współistniejących, co wpływa bezpośrednio na uzyskiwanie wyższych wskaźników odpowiedzi na leczenie i w konsekwencji osiągnięciem poprawy jakości życia chorych, co w praktyce oznacza znaczące ograniczenie wpływu choroby na codzienne życie chorych.

Brak ograniczenia czasowego dla wybranych terapii

W zakresie ograniczenia czasu terapii, jak wspomniano wcześniej w toku stopniowej ewolucji wprowadzano zmiany wydłużające czas trwania terapii w ramach programu lekowego aż do jego całkowitego zniesienia dla inhibitorów TNF-alfa. Takie podejście jest klinicznie uzasadnione i zgodne z międzynarodowymi standardami dlatego też, należy dążyć do zniesienia ograniczenia czasowego terapii dla wszystkich leków finansowanych w ramach programu lekowego. Zapisy programu lekowego jasno precyzują kryteria zakończenia terapii

w przypadku jej nieskuteczności lub nietolerancji dlatego zlikwidowanie takiego ograniczenia nie powinno stanowić obciążenia płatnika publicznego, bowiem stała terapia dopasowana do stanu klinicznego chorego jest najlepszym rozwiązaniem zarówno z perspektywy chorego jak i systemu opieki zdrowotnej.

Łuszczyca na tle innych Programów lekowych jest o tyle wyjątkowa, że w innych Programach lekowych, jeżeli dochodziło do zmian zapisów, to zawsze były one kompleksowe, tj. jeśli łagodzone były kryteria kwalifikacji chorych i zdecydowano o objęciu leczeniem chorych z umiarkowaną postacią choroby, to dotyczyło to wszystkich leków, jak np. w łuszczykowym zapaleniu stawów czy wrzodziejącym zapaleniu jelita grubego. Podobnie wyglądało to w przypadku zniesienia ograniczenia czasu leczenia. Jeśli zostało ono zniesione to dotyczyło wszystkich produktów leczniczych – tak jest obecnie w neurologii, reumatologii i gastroenterologii. Możliwość bezterminowego leczenia wszystkimi lekami wprowadzono od 1 stycznia 2022 r. w przypadku nieswoistych chorób zapalnych jelit oraz w przypadku leczenia chorych z reumatoidalnym zapaleniem stawów [POZ 2022, PZ 2021]. W przypadku łuszczyki kryteria łagodzone były wybiórczo, tj. z ograniczeniem do inhibitorów TNF-alfa.

W porównaniu do osób z chorobami reumatologicznymi, chorzy z łuszczyką nie mają równego dostępu do leczenia w Polsce. Nie istnieją jakiegokolwiek kliniczne przesłanki uzasadniające to zróżnicowanie. Z medycznego punktu widzenia wszystkie leki objęte refundacją w Programie B.47 powinny być refundowane na takich samych zasadach – wszystkie dla chorych od umiarkowanego stopnia nasilenia choroby i wszystkie z możliwością prowadzenia terapii bez konieczności jej przerywania, na podstawie decyzji lekarza prowadzącego [PZ 2021]. Dyskusyjna pozostaje niekonsekwencja decydentów odnośnie rozbieżności w znoszeniu ograniczenia czasowego dla stosowania przykładowo ustekinumabu. Jakże jest uzasadnienie dla wprowadzenia bezterminowego leczenia ustekinumabem w Programach lekowych B 32 i B.55 dotyczącym leczenia zapalnych chorób jelit i nie wprowadzenie analogicznego zapisu w Programie B.47, zwłaszcza, że był on pierwszym lekiem finansowanym w tym programie.

Dotyczy to również iksekizumabu i sekukinumabu, które mogą być stosowane bezterminowo w przypadku leczenia aktywnej postaci łuszczykowego zapalenia stawów a w przypadku łuszczyki plackowatej istnieje kryterium administracyjne zakończenia terapii po 96 tygodniach. Jest to nielogiczne i niekonsekwentne. Zwłaszcza, że łuszczyki plackowatej bardzo często towarzyszy łuszczykowe zapalenie stawów.

2.3.1. Koszt zniesienia ograniczenia czasu trwania terapii w programie

Zgodnie z aktualnymi zapisami programu lekowego B.47 ograniczenie czasu trwania terapii do maksymalnie 96 tygodni obowiązuje w przypadku leczenia inhibitorami interleukiny, tj.: sekukinumabem, iksekizumabem, ustekinumabem, guselkumabem, ryzankizumabem oraz tyldrakizumabem. Zapis ten nie obejmuje inhibitorów TNF-alfa, czyli adalimumabu, etanerceptu, infliksymabu oraz certolizumabu pegol. W przypadku zniesienia ograniczenia czasu trwania terapii zmiany obejmowałyby zatem tylko część chorych leczonych w programie.

Należy pamiętać, że nie wszyscy chorzy mogliby być leczeni inhibitorami interleukiny dłużej niż 96 tygodni, ponieważ część z nich wykazuje brak lub utratę odpowiedzi przed osiągnięciem

tego czasu trwania terapii. Na podstawie skumulowanych danych ze *Statystyk NFZ* oszacowano skuteczność iksekizumabu i sekukinumabu w praktyce klinicznej programu lekowego do 96. tygodnia leczenia (pozostałe inhibitory interleukiny są refundowane zbyt krótko lub jak w przypadku ustekinumabu brakuje danych od początku okresu refundacji tej substancji, by otrzymać wiarygodne oszacowania). Skuteczność oszacowano jako odsetek chorych, którzy rozpoczęli terapię pomiędzy grudniem 2018 r. a sierpniem 2020 r. (tj. w przedziale czasowym trwającym poniżej 96 tygodni) i w tym okresie nie zaprzestali leczenia (w przypadku chorych zaprzestających leczenia w tym okresie nie można było podjąć decyzji o przedłużeniu terapii > 96 tygodni) i uzyskano wartości na poziomie 91,1% dla sekukinumabu oraz 92,8% dla iksekizumabu. Należy podkreślić, że są to oszacowanie konserwatywne (skuteczność jest zapewne niższa), gdyż ze względu na brak odpowiednich danych w obliczeniach nie uwzględniono chorych, którzy rozpoczęli terapię w okresie grudzień 2018 r. – sierpień 2020 r. i zaprzestali leczenia przed upływem 96 tygodni po sierpniu 2020 r.

W przypadku znacznej części chorych leczonych skutecznie inhibitorami interleukiny podejmowana jest już teraz decyzja o wydłużeniu czasu leczenia powyżej 96 tygodni (są to przypadki potwierdzone decyzją Zespołu Koordynacyjnego do Spraw Leczenia Biologicznego w Łuszczycy Plackowatej). W sytuacji całkowitego zniesienia ograniczenia czasu trwania terapii w programie chorzy ci nie wpłynęliby na zwiększenie kosztów płatnika publicznego. Do końca 2021 r. podjęto odpowiednio 340, 92 oraz 104 decyzje o wydłużeniu czasu leczenia ustekinumabem, iksekizumabem oraz sekukinumabem [*Analiza weryfikacyjna dla leku Skyrizi*]. Aby oszacować, jaki odsetek chorych dostaje zgodę na wydłużenie czasu leczenia, na podstawie danych ze *Statystyk NFZ* oraz *Analizy weryfikacyjnej dla leku Skyrizi* oszacowano liczbę chorych rozpoczynających terapię wymienionymi wyżej substancjami do końca lutego 2020 r. (w przypadku rozpoczynających terapię po lutym 2020 r. nie można było jeszcze podjąć decyzji o przedłużeniu leczenia > 96 tygodni do końca 2021 r.). Liczby te przemnożono następnie przez skuteczność poszczególnych technologii, którą opisano w poprzednim akapicie. Wartości te posłużyły bezpośrednio do oszacowania odsetka chorych uzyskujących zgodę na przedłużenie czasu leczenia powyżej 96 tygodni. Obliczenia podsumowano w poniższej tabeli.

Tabela 3.

Oszacowania odsetka chorych uzyskujących zgodę na przedłużenie czasu leczenia > 96 tygodni

Substancja czynna	Decyzje dot. przedłużenia terapii > 96 tygodni	Liczba chorych rozpoczynających terapię do końca 2021 r.	Liczba chorych rozpoczynających terapię do lutego 2020 r.	Liczebność populacji leczonej 96 tygodni	Odsetek chorych uzyskujących zgodę na przedłużenie czasu leczenia > 96 tygodni
ustekinumab	340	496	456	419	81,1%
iksekizumab	92	364	143	133	69,3%
sekukinumab	104	419	185	168	61,7%
średnia	n/d	n/d	n/d	n/d	70,7%

Biorąc pod uwagę powyższe oszacowania należy podkreślić, że w przypadku zniesienia ograniczenia czasu trwania leczenia w programie lekowym B.47 dodatkowe koszty płatnika publicznego będą wiązały się z terapią ograniczonej liczby chorych poddanych leczeniu inhibitorami interleukiny. Przyjęto, że spośród rozpoczynających leczenie tymi technologiami 96 tygodni terapii osiągnie ok. 91,9% chorych (średnia skuteczność iksekizumabu

i sekukinumabu). Spośród skutecznie leczonych ok. 70,7% i tak już uzyskuje zgodę na przedłużenie terapii > 96 tygodni, zatem tylko 29,3% byłoby dodatkowo poddanych wydłużonemu leczeniu (chorzy przerywający aktualnie skuteczną terapię do momentu nawrotu). Oszacowanie liczby chorych rozpoczynających terapię inhibitorami interleukiny opisano w kolejnym akapicie.

Na podstawie skumulowanych danych miesięcznych ze *Statystyk NFZ* zauważono, że pomiędzy kwietniem 2021 r. a grudniem 2021 r. liczba chorych rozpoczynających nową terapię w programie lekowym B.47 oraz udziały poszczególnych substancji w populacji rozpoczynającej nową terapię kształtowały się na podobnym poziomie. We wspomnianym okresie średnio ok. 83 chorych miesięcznie rozpoczynało nową linię leczenia (pierwszą lub kolejną), z czego ok. 3% terapię ustekinumabem, 14% iksekizumabem, 15% sekukinumabem, 17% guselkumabem, a 24% ryzankizumabem. Tyldrakizumab osiągnął w tym okresie śladowe udziały ze względu na objęcie go refundacją w listopadzie 2022 r., jednak na podstawie danych ze *Sprawozdań NFZ* można przyjąć, że 77 chorych rozpoczęło terapię tą substancją w I połowie 2022 r. (czyli ok. 13 miesięcznie). Zakładając, że tyldrakizumab przejął proporcjonalnie udziały w populacji rozpoczynającej nową linię leczenia od wszystkich pozostałych substancji refundowanych w programie oraz przyjmując liczbę nowych terapii na poziomie 83 miesięcznie, oszacowano liczbę chorych rozpoczynających leczenie inhibitorami interleukiny, na ich podstawie liczbę skutecznie leczonych, a następnie przerywających skuteczną terapię. Wartości podsumowano w poniższej tabeli.

Tabela 4.

Oszacowania liczby chorych rozpoczynających terapię inhibitorami interleukiny

Substancja czynna	w skali miesiąca			w skali roku		
	nowe terapie	skutecznie leczeni 96 tygodni	przerywający skuteczną terapię	nowe terapie	skutecznie leczeni 96 tygodni	przerywający skuteczną terapię
ustekinumab	2	2	1	24	22	6
iksekizumab	10	9	3	120	111	32
sekukinumab	11	10	3	128	118	34
guselkumab	12	11	3	145	133	39
ryzankizumab	17	15	4	200	184	54
tyldrakizumab	13	12	3	154	142	41
łącznie	64	59	17	771	709	208

Wartości przedstawione w powyższej tabeli wskazują, że w przypadku zniesienia ograniczenia czasu trwania terapii w programie lekowym B.47 ok. 208 chorych rocznie kontynuowałoby dodatkowo skuteczne leczenie powyżej 96. tygodnia. Należy jednak pamiętać, że zgodnie z obowiązującymi zapisami programu lekowego tych 208 chorych w skali roku przerywa aktualnie leczenie do momentu nawrotu. W ramach przeglądu systematycznego *Masson Regnault 2022* przedstawiono wyniki badań, w których szacowano medianę czasu do nawrotu od momentu odstawienia skutecznej terapii w łuszczycy plackowatej. Spośród badań, w których kryterium skuteczności przed odstawieniem refundowanych w programie lekowym interleukin było PASI 75, średnia mediana czasu do nawrotu wyniosła ok. 22,4 tygodni. Po nawrocie chorzy wracają na terapię z wykorzystaniem substancji, którą byli wcześniej skutecznie leczeni.

W ramach arkusza kalkulacyjnego oszacowano dodatkowe wydatki płatnika publicznego w przypadku zniesienia ograniczenia czasu trwania terapii w programie B.47. W obliczeniach założono, że zgodnie z aktualnie obowiązującymi zapisami programu lekowego ok. 208 chorych w skali roku przerywa skuteczną terapię po 96 tygodniach leczenia do momentu nawrotu, a w przypadku zniesienia ograniczenia kontynuowałoby skuteczną terapię. Udziały poszczególnych technologii przyjęto zgodnie z wartościami przedstawionymi w powyższej tabeli (Tabela 4.), a ich koszty z przetargu szpitalnego³. W scenariuszu, w którym chorzy przerywają skuteczną terapię, uwzględniono medianę czasu do nawrotu na poziomie 22,4 tygodni. Biorąc pod uwagę powyższe założenia uzyskano oszacowania jak w poniższej tabeli.

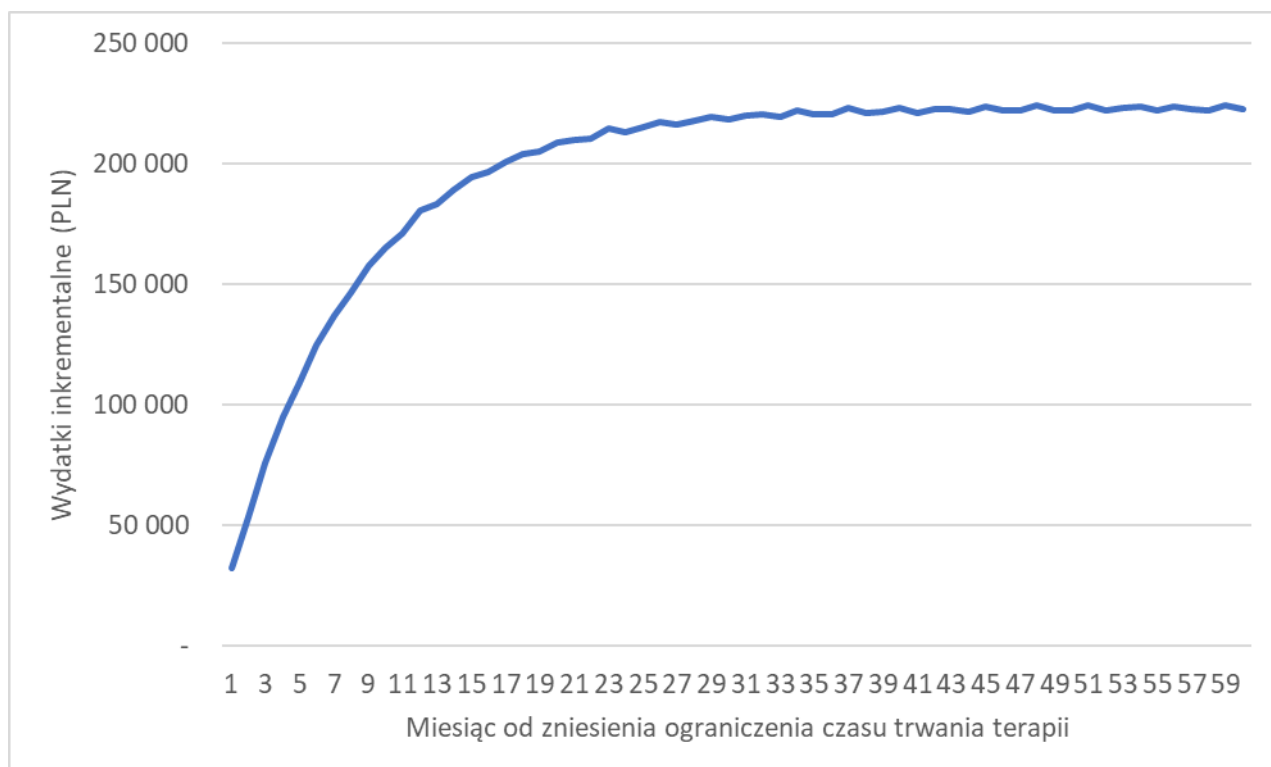
Tabela 5.

Oszacowania dodatkowych wydatków płatnika publicznego w przypadku zniesienia ograniczenia czasu trwania leczenia w programie lekowym B.47

Rok po zniesieniu ograniczenia czasu trwania terapii	Dodatkowe wydatki płatnika publicznego (PLN)	Średnia liczba chorych generujących dodatkowe wydatki
1 rok	1 448 334,87	65
2 rok	2 429 166,48	110
3 rok	2 627 062,89	119
4 rok	2 668 473,51	121
5 rok	2 674 436,06	121

Rysunek 3.

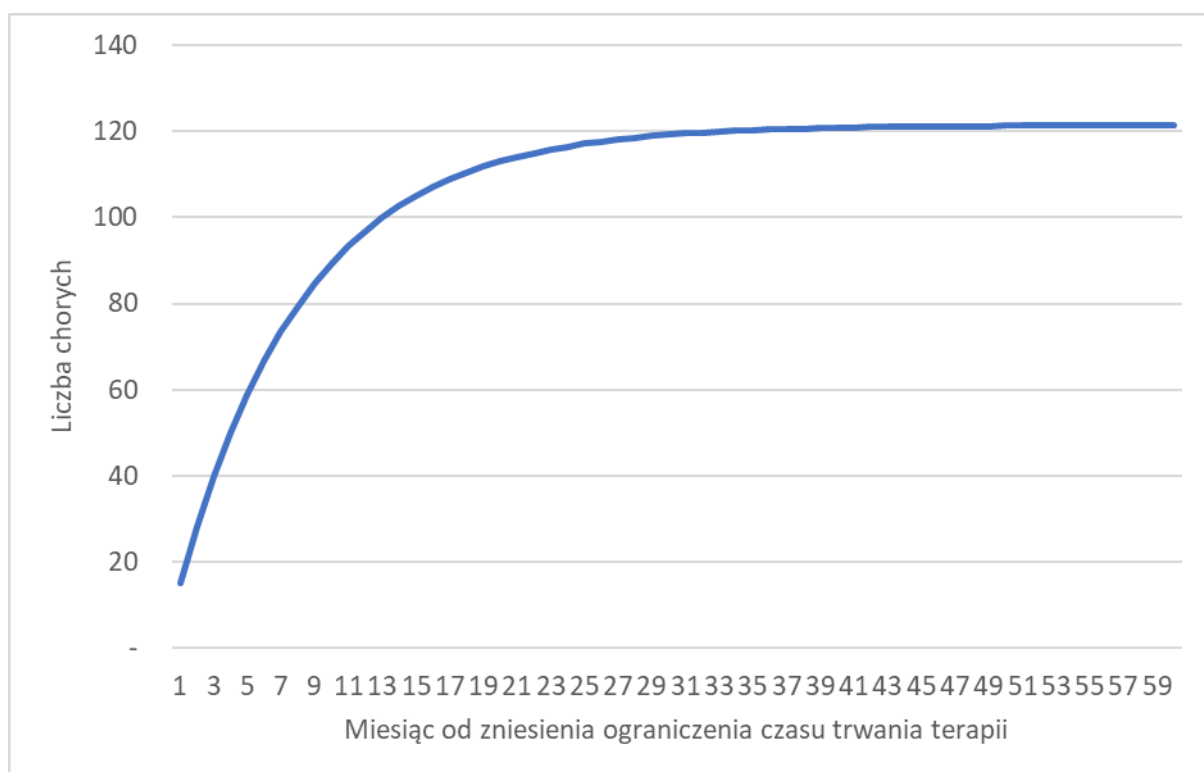
Miesięczne wydatki inkrementalne po zniesieniu ograniczenia czasu trwania terapii



Rysunek 4.

Populacja generująca dodatkowe wydatki po zniesieniu ograniczenia czasu trwania terapii

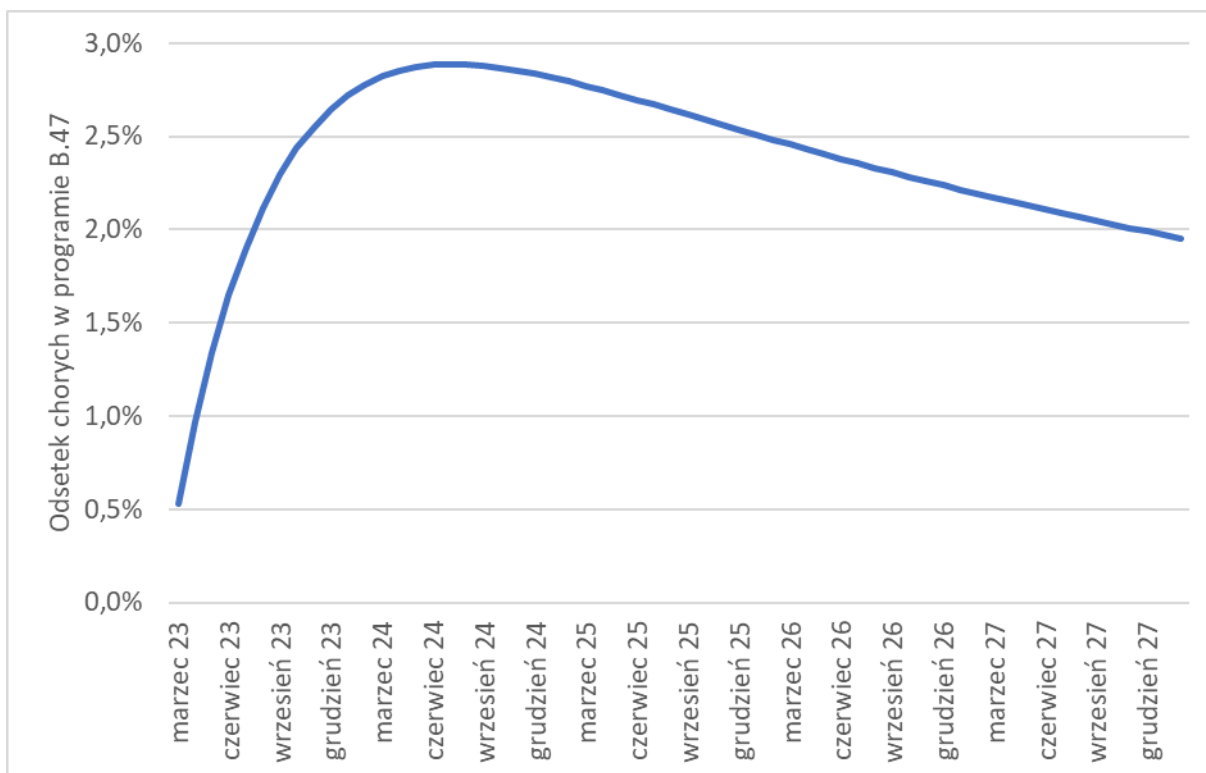
³ https://usk-wroc.logintrade.net/zapytania_email,104291,0ba3915d4c2e57d8369c3b8af46991bb.html



Przedstawione wyżej wartości wskazują, że w przypadku zniesienia ograniczenia czasu trwania terapii w programie lekowym dodatkowe wydatki płatnika publicznego wzrastałyby stopniowo, jednak już na przełomie drugiego i trzeciego roku od wprowadzenia zmian ustabilizowałyby się na poziomie ok. 220 tys. PLN miesięcznie (ok. 2,6 – 2,7 mln PLN w skali roku). Należy pamiętać, że w związku z brakiem precyzyjnych danych wartości poszczególnych parametrów pozwalających uzyskać te oszacowania wyznaczano w sposób konserwatywny, zatem w praktyce wydatki te byłyby zapewne niższe. Liczebność populacji generującej dodatkowe wydatki (w przypadku braku zniesienia ograniczenia równa liczbie chorych w remisji po przerwaniu 96-tygodniowej skutecznej terapii) ustabilizowałaby się na poziomie ok. 120 chorych od 3. roku po wprowadzeniu zmian. Jest to liczba mniejsza niż roczna populacja 208 pacjentów przerywających aktualnie skuteczne leczenie, ponieważ chorzy ci doświadczają nawrotów, wracają na wcześniej przyjmowaną terapię i generują koszty. Zakładając na podstawie danych ze *Statystyk NFZ* roczny przyrost populacji leczonej w programie lekowym B.47 na poziomie 680 chorych (jak w 2021 r.) oraz populację leczonych w 2021 r. na poziomie 2014 pacjentów, w 2023 r. liczba chorych leczonych w programie przekroczyłaby 3 tys., a w 2026 r. 5 tys. Oznacza to, że dodatkowe wydatki płatnika publicznego związane ze zniesieniem ograniczenia czasu trwania terapii w programie lekowym B.47 nie osiągnęłyby w szczytowym momencie nawet 3% populacji leczonej w programie. Na poniższym wykresie przedstawiono kształtowanie się w czasie odsetka chorych generujących dodatkowe wydatki w przypadku zniesienia ograniczenia czasu trwania terapii od marca 2023 r.

Rysunek 5.

Odsetek chorych generujących dodatkowe wydatki płatnika publicznego w przypadku zniesieniu ograniczenia czasu trwania terapii w programie lekowym B.47 od marca 2023 r.



Powyżej przedstawione szacunki zbieżne są z danymi przedstawionymi w listopadzie 2022 roku w analizie weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych dla leku ryzankizumab stosowanego w leczeniu łuszczycy plackowatej (nr OT.4231.41.2022). Poniżej cytat.

„Ogółem w programie średni czas leczenia pacjentów wyniósł 894 dni, co można przeliczyć na 2,4 roku kalendarzowego. Dla 167 pacjentów nie odnotowano kolejnej dawki jakiejkolwiek substancji czynnej dostępnej w analizowanym programie lekowym, przez co czas ich obserwacji wyniósł 0 dni. Maksymalna wartość odnotowana dla pacjenta w programie B.47 wyniosła 2912 dni leczenia, czyli prawie 8 lat. Połowa pacjentów (mediana) była leczona przez okres 624 dni (1,7 roku). W ramach wyłącznie pierwszej linii leczenia odnotowano średni czas na poziomie 750 dni, przy czym dla poszczególnych opcji wahania były znaczące. W pierwszej linii leczenia najkrócej przebywali pacjenci, u których wykorzystano certolizumab pegol – 81,6 dnia, z kolei opcją o najdłuższym średnim czasie stosowania był ustekinumab – 1504,7 dni. W drugiej linii leczenia najkrócej stosowano etanercept, ale ze względu na jednoosobową obserwację drugim pod tym względem był guselkumab (68 dni), najdłużej stosowanym również był ustekinumab z wynikiem 845 dni. Guselkumab był również najkrócej stosowaną substancją czynną w trzeciej linii leczenia, gdzie najdłużej podawano sekukinumab – 533 dni, jednak należy mieć na uwadze, że od trzeciej linii wzwyż notowano jedynie pojedyncze obserwacje.

Ze względu na fakt iż niniejszy wniosek dotyczy również zniesienia zapisu dla ryzankizumabu stosowanego w ciężkiej postaci łuszczycy plackowatej, zgodnie z którym leczenie trwa do czasu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu pacjenta z programu, zgodnie z kryteriami przedstawionymi w opisie przedmiotowego programu, jednak nie dłużej niż do 96 tygodni, przeprowadzono uzupełniającą analizę mającą na celu zbadanie jaki odsetek

pacjentów korzystających dotychczas z terapii sekukinumabem, iksekizumabem, ustekinumabem, guselkumabem, tyltrakizumabem lub ryzankizumabem. Przyjęto założenie, według którego analizowane będą daty podania wymienionych wyżej substancji czynnych, których wartość minimalna i maksymalna będą określać czas ich stosowania przez pacjenta. Terapia trwająca dłużej niż 96 tygodni wymaga indywidualnej decyzji Zespołu Koordynacyjnego do Spraw Leczenia Biologicznego w Łuszczycy Plackowatej.

Ryzankizumab stosowany jest w programie lekowym od 16 września 2020 roku, co oznacza, że na czas sporządzenia niniejszej analizy nie było możliwe odnotowanie zgody Zespołu Koordynacyjnego. Pierwsza decyzja o przedłużeniu leczenia mogłaby być wydana 20 lipca 2022 roku, a aktualność bazy danych sięga maksymalnie do końca grudnia 2021. Podobnie wygląda sytuacja w przypadku tyltrakizumabu oraz guselkumabu.

Tabela 15. Decyzje Zespołu Koordynacyjnego dot. przedłużenia terapii biologicznej >96 tyg.

	SEK	IKS	UST	GUS	TYL	RIS
minimalna data podania	04.01.2019	12.12.2018	02.01.2014	27.11.2020	30.12.2021	16.09.2020
liczba pacjentów	419	364	496	145	1	256
decyzje Zespołu	104	92	340	0	0	0
odsetek	24,82%	25,27%	68,55%	0,00%	0,00%	0,00%

W przypadku technologii takich jak sekukinumab, iksekizumab oraz ustekinumab odnotowano, że decyzje Zespołu Koordynacyjnego dotyczące przedłużenia czasu trwania terapii były dość powszechną praktyką. Najwięcej decyzji odnotowano w przypadku ustekinumabu, gdzie około 70% pacjentów stosowało leczenie powyżej 96. tygodnia. W czasie trwania okresu obserwacji wynoszącego 8 lat, wydano 340 decyzji. Zarówno w przypadku iksekizumabu jak i sekukinumabu leczenie przedłużono u około jednego na czterech pacjentów. Należy mieć jednak na uwadze jak długi okres czasu dzielił minimalną datę podania sekukinumabu i iksekizumabu w porównaniu do ustekinumabu (okres niemal 5 lat).”

3. Warunki formalno-prawne leczenia pacjenta w programie lekowym

Prawo do ochrony zdrowia zarówno w powszechnym prawie międzynarodowym jak i prawie Unii Europejskiej a także w świetle konstytucji Rzeczypospolitej Polskiej należy do praw socjalnych postulujących dla każdego człowieka określony minimalny standard życia. W określonych przypadkach może stanowić nie tylko wzorzec kontroli obowiązków realizowanych przez państwo wobec obywateli, ale również podstawę indywidualnych roszczeń.

Powszechna Deklaracja Praw Człowieka łączy uprawnienie do zdrowia z pewnym poziomem materialnym i ze świadczeniami socjalnymi określając, że „każdy człowiek ma prawo do stopy

życiowej zapewniającej zdrowie i dobrobyt jego i jego rodziny, włączając w to wyżywienie, odzież, mieszkanie, opiekę lekarską i konieczne świadczenia socjalne, oraz prawo do ubezpieczenia na wypadek bezrobocia, choroby, niezdolności do pracy, wdowieństwa, starości lub utraty środków do życia w inny sposób od niego niezależny”⁴.

Prawo do ochrony zdrowia konkretyzuje Pakt Praw Gospodarczych, Społecznych i Kulturalnych w następujący sposób: „1. Państwa Strony niniejszego Paktu uznają prawo każdego do korzystania z najwyższego osiągalnego poziomu ochrony zdrowia fizycznego i psychicznego. 2. Kroki, jakie Państwa Strony niniejszego Paktu powinny podjąć dla osiągnięcia pełnego wykonania tego prawa, będą obejmowały środki konieczne do: a) zapewnienia zmniejszenia wskaźnika martwych urodzeń i śmiertelności niemowląt oraz do zapewnienia zdrowego rozwoju dziecka; b) poprawy higieny środowiska i higieny przemysłowej we wszystkich aspektach; c) zapobiegania chorobom epidemicznym, endemicznym, zawodowym i innym oraz ich leczenia i zwalczania; d) stworzenia warunków, które zapewniłyby wszystkim pomoc i opiekę lekarską na wypadek choroby”⁵. Tu warto zwrócić uwagę na związek art. 12 Paktu z Konstytucją WHO⁶, której art. 1 wskazuje, iż „celem Światowej Organizacji Zdrowia jest osiągnięcie przez wszystkie ludy możliwie najwyższego poziomu zdrowia”.

Innym dokumentem prawa międzynarodowego określającym prawo do ochrony zdrowia jest Europejska Karta Społeczna, która stanowi: "W celu zapewnienia skutecznego wykonywania prawa do ochrony zdrowia, Umawiające się Strony zobowiązują się podjąć bądź bezpośrednio, bądź we współpracy z organizacjami publicznymi lub prywatnymi, stosowne środki zmierzające zwłaszcza do: 1. wyeliminowania, tak dalece jak to możliwe, przyczyn chorób; 2. zapewnienia ułatwień w zakresie poradnictwa oraz oświaty, dla poprawy stanu zdrowia i rozwijania indywidualnej odpowiedzialności w sprawach zdrowia; 3. zapobiegania, tak dalece, jak to możliwe, chorobom epidemicznym, endemicznym i innym”⁷. EKS konkretyzuje prawo do pomocy społecznej i medycznej: „W celu zapewnienia skutecznego wykonywania prawa do pomocy społecznej i medycznej, Umawiające się Strony zobowiązują się: 1. zapewnić, by każdej osobie, która nie posiada dostatecznych zasobów i która nie jest zdolna do zapewnienia ich sobie z innych źródeł, szczególnie poprzez świadczenia z systemu zabezpieczenia społecznego, została przyznana odpowiednia pomoc oraz, w przypadku choroby, opieka konieczna ze względu na jej stan; 2. zapewnić, by osoby otrzymujące taką pomoc nie cierpiały z tego względu ograniczenia ich praw politycznych lub społecznych; 3. przewidzieć, by każdy mógł otrzymać od właściwych służb publicznych lub prywatnych taką poradę i osobistą pomoc, jaka może być konieczna dla zapobieżenia lub usunięcia stanu

⁴ Art. 25 Powszechnej Deklaracji Praw Człowieka, dostęp przez: https://www.unesco.pl/fileadmin/user_upload/pdf/Powszechna_Deklaracja_Praw_Czlowieka.pdf, 19.01.2023 r., g. 8:10.

⁵ Art. 12 Paktu Praw Gospodarczych, Społecznych i Kulturalnych, uchwalony w 1966 r. przez Zgromadzenie Ogólne Narodów Zjednoczonych, wszedł w życie w 1976 r. Paktem związane są 164 państwa (czerwiec 2015 r.). Polska ratyfikowała Pakt w 1977 r.

⁶ Konstytucja Światowej Organizacji Zdrowia z 22 lipca 1946 r. (Dz.U. z 1948 r. Nr 61, poz. 477 ze zm.).

⁷ Art. 11 Europejska Karta Społeczna (Dz.U. 1999 Nr 8 poz. 67), dalej jako: EKS.

potrzeby, lub ulżenia sytuacji osobistej lub rodzinnej; 4. stosować postanowienia przewidziane w ustępach 1, 2 i 3 niniejszego artykułu na równi wobec swoich obywateli i wobec obywateli innych Umawiających się Stron, znajdujących się legalnie na ich terytoriach, zgodnie z zobowiązaniami wynikającymi dla Stron z Europejskiej konwencji o pomocy społecznej i medycznej, podpisanej w Paryżu dnia 11 grudnia 1953 r.”⁸. Tym samym o ile prawo do ochrony zdrowia stanowi dyrektywę starannego działania dla państw sygnatariuszy, o tyle prawo do pomocy medycznej zobowiązuje państwo do zapewnienia odpowiednich świadczeń swoim obywatelom oraz na zasadzie wzajemności także obywatelom innych państw-stron umowy, znajdujących się legalnie na ich terytoriach, na wypadek choroby i tylko wtedy, gdy osoba chora „nie posiada dostatecznych zasobów i która nie jest zdolna do zapewnienia ich sobie z innych źródeł, szczególnie poprzez świadczenia z systemu zabezpieczenia społecznego”. A zatem prawo do uzyskania pomocy medycznej ma charakter indywidualny, bowiem ukształtowane zostało jako prawo podmiotowe, z którym skorelowane są obowiązki władz publicznych stworzenia odpowiedniego systemu pomocy⁹. EKS w art. 13 przyznaje prawo podmiotowe wszystkim osobom w potrzebie, pozostawiając jednak w gestii państw ustalenie warunków tej potrzeby i adekwatność świadczeń.

Najszerzej stosowaną podstawą określania odpowiedzialności państwa wobec jednostki jest Konwencja o Ochronie Praw Człowieka i Podstawowych Wolności¹⁰, mimo iż nie gwarantuje ona wprost prawa do ochrony zdrowia, to jak stwierdza ETPC: "Konwencja europejska o prawach człowieka musi być rozumiana i stosowana jako całość. Prawa człowieka tworzą zintegrowany system ochrony godności ludzkiej"¹¹.

Odnosząc się do pozytywnych obowiązków państwa w zakresie ochrony prawa do życia¹² Europejski Trybunał Praw Człowieka przyjmuje, że art. 2 zdanie 1 zobowiązuje państwo nie tylko do zaniechania działań, które mogłyby doprowadzić do umyślnej i niezgodnej z prawem śmierci, ale także do podjęcia niezbędnych kroków, mających na celu ochronę życia osób podlegających jego jurysdykcji. Te zasady mają również zastosowanie w zakresie zdrowia¹³. Co więcej ETPC przyjmuje, że zarówno działania i zaniechania organów państwowych

⁸ Art. 13 *ibidem*.

⁹ D. Bach-Golecka, *Mobilny pacjent*, s. 392–393; A.M. Świątkowski, *Prawo socjalne*, s. 166–174.

¹⁰ Konwencja o ochronie praw człowieka i podstawowych wolności, sporządzona w Rzymie dnia 4 listopada 1950 r., zmieniona następnie Protokołami nr 3, 5 i 8 oraz uzupełniona Protokołem nr 2 (Dz.U. 1993 Nr 61, poz. 284), dalej jako: EKPC.

¹¹ Wyrok ETPC z 31 lipca 2001 r. w spr. *Refah Partisi (Partia Dobrobytu) i in. przeciwko Turcji*, skargi Nr 41340/98, 41342/98, 41343/98 i 41344/98, pkt 43, HUDOC. Podobnie w wyr. ETPC z 4.12.2003 r. w spr. *Gündüz przeciwko Turcji*, skarga Nr 35071/97, pkt 40, HUDOC

¹² Art. 2 EKPC „Prawo każdego człowieka do życia jest chronione przez ustawę. Nikt nie może być umyślnie pozbawiony życia, wyjąwszy przypadki wykonania wyroku sądowego, skazującego za przestępstwo, za które ustawa przewiduje taką karę. 2. Pozbawienie życia nie będzie uznane za sprzeczne z tym artykułem, jeżeli nastąpi w wyniku bezwzględnie koniecznego użycia siły: a) w obronie jakiegokolwiek osoby przed bezprawną przemocą; b) w celu wykonania zgodnego z prawem zatrzymania lub uniemożliwienia ucieczki osobie pozbawionej wolności zgodnie z prawem, c) w działaniach podjętych zgodnie z prawem w celu stłumienia zamieszek lub powstania”.

¹³ Decyzja ETPC z: 4 maja 2000 r. w spr. *Powell przeciwko Zjednoczonemu Królestwu*, skarga Nr 45305/99; 13 września 2001 r. w spr. *Trzepało przeciwko Polsce*, skarga Nr 25124/09, HUDOC.

w obszarze polityki zdrowia publicznego mogą, w niektórych okolicznościach, wywoływać ich odpowiedzialność w aspekcie materialnym art. 2¹⁴. Przykładowo do naruszenia art. 2 EKPC może dojść, gdy pacjentka została pozbawiona dostępu do odpowiedniej opieki medycznej w nagłym wypadku (poród dziecka) przez ustalenie opłat, których nie była w stanie ponieść, co przyczyniło się do jej śmierci i wcześniej śmierci jej dziecka. Stwierdzenie to jest dla ETPC wystarczające do uznania, że państwo nie dopełniło obowiązku ochrony integralności fizycznej, co przesądza o naruszeniu art. 2 w aspekcie materialnym¹⁵.

Przenosząc powyższe obowiązki na grunt prawa konstytucyjnego należy wskazać, iż ustrojodawca zamieścił prawo do zdrowia w dziale praw ekonomicznych, socjalnych i kulturalnych Konstytucji Rzeczypospolitej. Ustawodawca konstytucyjny przyporządkował art. 68 do zespołu praw ekonomicznych, socjalnych i kulturalnych, skupionych w rozdziale II Konstytucji. Znaczenie art. 68 Konstytucji należy jednak interpretować łącznie z innymi przepisami ustrojowymi.

W pierwszej kolejności warto wskazać na związek prawa do ochrony życia z zasadą demokratycznego państwa prawnego wyrażoną w art. 2 Konstytucji. Trybunał Konstytucyjny wprost powiązał prawo do ochrony zdrowia z zasadami demokratycznego państwa prawnego, uznając, że „przepisy ustawy z 23.1.2003 r. o powszechnym ubezpieczeniu w Narodowym Funduszu Zdrowia (Dz.U. Nr 45, poz. 391 ze zm.) są niezgodne z art. 68 w związku z art. 2 Konstytucji Rzeczypospolitej Polskiej przez to, że tworząc instytucję publiczną w kształcie uniemożliwiający jej rzetelne i sprawne działanie, naruszają zasady państwa prawnego w zakresie konstytucyjnego prawa obywateli do równego dostępu do świadczeń opieki zdrowotnej finansowanej ze środków publicznych”¹⁶. W innym orzeczeniu Trybunał wskazał, że „konstytucyjne gwarancje ochrony zdrowia trzeba wywodzić z konstytucyjnych gwarancji życia ludzkiego, a konstytucyjne gwarancje życia ludzkiego – z zasady demokratycznego państwa prawnego. Konstytucyjne gwarancje ochrony ludzkiego życia muszą więc w sposób konieczny obejmować także ochronę zdrowia; przepisy stanowiące podstawę tych gwarancji stanowią więc równocześnie podstawę do wnioskowania konstytucyjnego obowiązku ochrony zdrowia, bez względu na stopień rozwoju fizycznego, emocjonalnego, intelektualnego czy społecznego”¹⁷.

Dalej warto pokazać związek art. 68 z art. 38 i 30, który Trybunał Konstytucyjny interpretuje w następujący sposób: „Nie ulega wątpliwości, że z art. 30 i 38 Konstytucji wyjątkowo mocno, wręcz nierozzerwalnie związany jest art. 68 Konstytucji. Ochrona zdrowia jest ściśle związana z ochroną życia, a prawo do życia z godnością człowieka. Prawo do ochrony zdrowia, to przede

¹⁴ Wyrok ETPC z 9 kwietnia 2013 r. w spr. Mehmet Sentürk i Bekir Sentürk przeciwko Turcji, skarga Nr 13423/09, HUDOC.

¹⁵ Ibidem.

¹⁶ Wyrok Trybunału Konstytucyjnego z 7 stycznia 2004 r. (K 14/03, OTK-A 2004, Nr 1, poz. 1).

¹⁷ Wyrok Trybunału Konstytucyjnego z TK z 28 maja 1997 r. (K 26/96, OTK 1997, Nr 2, poz. 19).

wszystkim prawo do zachowania życia i jego obrony, gdy jest zagrożone”¹⁸. Prawo do życia jest prawem osobistym, formalnie odrębnym od prawa do ochrony zdrowia. Do zbiegu tych praw dochodzi wówczas, gdy wadliwe regulacje albo zaniechania w ochronie zdrowia prowadzą do naruszenia prawa do życia (skutku śmiertelnego) albo abstrakcyjnego, a w szczególności konkretnego narażenia życia ludzkiego na niebezpieczeństwo.

Z kolei ust. 2 art. 68 Konstytucji wyraża w szczególny sposób zasadę równości: równego dostępu do świadczeń opieki zdrowotnej finansowanej ze środków publicznych, niezależnie od sytuacji materialnej obywatela. Wykładnia art. 68 ust. 2 prowadzi do wniosku, że przepis ten wprost określa cechę relewantną – sytuację majątkową w dostępie obywateli do świadczeń opieki zdrowotnej finansowanej ze środków publicznych. Natomiast art. 32 Konstytucji gwarantuje równość wobec prawa, zatem art. 68 ust. 2 jest przepisem szczególnym względem art. 32, ponieważ w szczególny sposób reglamentuje wycinek stosunków ujętych w hipotezie normy ogólnej. Jednakże oba przepisy łącznie nakazują traktować w taki sam sposób pacjentów znajdujących się w takiej samej sytuacji prawnej i faktycznej.

Aktualna wiedza medyczna jako minimalny standard udzielanych świadczeń zdrowotnych

Zgodnie z art. 6 ust. 1 ustawy o prawach pacjenta¹⁹ pacjent ma prawo do świadczeń zdrowotnych odpowiadających wymaganiom aktualnej wiedzy medycznej. Prawo pacjenta do świadczeń zdrowotnych stanowi ustawową konkretyzację konstytucyjnego prawa do ochrony zdrowia i świadczeń opieki zdrowotnej²⁰. Aktualna wiedza medyczna jest powszechnie akceptowaną miarą obiektywnej poprawności świadczenia zdrowotnego albo zaniechania jego udzielenia, a także ma znaczenie dla oceny poziomu udzielanych świadczeń opieki zdrowotnej²¹. Aktualna wiedza medyczna określa zatem minimum organizacyjne, diagnostyczne, zabiegowe i lekowe udzielanego świadczenia. Ustawodawca nakłada również na lekarza obowiązek leczenia zgodnie z aktualną wiedzą medyczną kreując w ten sposób minimalny poziom należytej staranności lekarza. Aktualna wiedza medyczna wyznacza także standardy kształcenia i pracy innych zawodów medycznych (pielęgniarka, farmaceuta, fizjoterapeuta itd.).

Konsekwencją prawa pacjenta do uzyskania świadczeń opieki zdrowotnej zgodnych z aktualną wiedzą medyczną jest gwarancja dostępu i korzystania z systemu udzielania świadczeń zdrowotnych, polegające na uzyskaniu przez pacjenta obiektywnie poprawnych, tj. zgodnych

¹⁸ Wyrok Trybunału Konstytucyjnego z 7 stycznia 2004 r. (K 14/03, OTK-A 2004, Nr 1, poz. 1), por. wyrok Trybunału Konstytucyjnego z 24 marca 1999 r., K 2/98, OTK 1999, Nr 3, poz. 38; a także B. Banaszak, Konstytucja, 2012, s. 351; P. Winczorek, Komentarz, 2008, s. 165.

¹⁹ Ustawa o prawach pacjenta i Rzeczniku Praw Pacjenta.

²⁰ Uchwała Składu Siedmiu Sędziów Sądu Najwyższego - Izba Cywilna z dnia 19 marca 2019 r., III CZP 80/18.

²¹ Wyrok Sądu Najwyższego z 13 stycznia 2005 r., III CK 143/04; wyrok Sądu Najwyższego z 10 lutego 2010 r., V CSK 287/09; wyrok Sądu Najwyższego z 25 października 2019 r., IV CSK 656/18; wyrok Sądu Najwyższego z 3 kwietnia 2019 r., II CSK 96/18; postanowienie Sądu Najwyższego z 5 marca 2019 r., III CSK 229/18.

ze wzorcem aktualnej wiedzy medycznej świadczeń zdrowotnych²². Wiedza medyczna, jeśli brać pod uwagę obszary zastosowania, zasadniczo obejmuje: znajomość skutecznych i bezpiecznych procedur wykorzystywanych w procesie leczniczym (diagnostyce, terapii, rehabilitacji i profilaktyce chorób), posiadanie zweryfikowanych w środowisku lekarskim informacji na temat powikłań, które mogą być następstwem różnych metod leczenia, oraz ryzyka z nimi związanego, znajomość podstaw przeprowadzania badań klinicznych czy zasad przeciwdziałania zagrożeniom epidemiologicznym. Obowiązek wykonywania zawodu lekarza zgodnie ze wskazaniem aktualnej wiedzy medycznej zawiera w sobie również obowiązek uzyskiwania dostatecznych informacji o stosowanym produkcie, pozyskiwanych odpowiednio z charakterystyki produktu leczniczego (w przypadku środków farmaceutycznych) i instrukcji użycia (w przypadku wyrobów medycznych), co zostało potwierdzone w orzecznictwie²³.

Wiedza medyczna jest obszarem świadomości kształtowanym doświadczeniem i podlegającym stałym procesom aktualizacji odpowiadającym rozwojowi nauki i techniki. Konsekwencją tego założenia jest nałożony na osoby wykonujące zawody medyczne nakaz ustawicznego doskonalenia swoich umiejętności zawodowych w celu odnawiania, rozszerzania i pogłębiania posiadanych kwalifikacji ogólnych i zawodowych. Obowiązek permanentnego kształcenia się nakłada na nie etyka zawodowa oraz przepisy prawa. Od stanu wiedzy osób wykonujących zawody medyczne zależy bowiem jakość udzielanych świadczeń zdrowotnych, a systematyczne doksztalcenie się pozwala wyeliminować czynności, które pod wpływem nowych badań odrzucono jako bezskuteczne czy wręcz szkodliwe. Dla oceny czy postępowanie względem pacjenta następowało zgodnie z wymaganiami aktualnej wiedzy medycznej, istotny jest stan wiedzy z chwili postępowania, a nie z chwili ewentualnego dochodzenia odpowiedzialności. To samo dotyczy stanu faktycznego, na podstawie którego osoba wykonująca zawód medyczny podejmowała decyzję o wykonaniu określonej czynności²⁴.

Wychodząc z założenia, że respektowanie wskazań wiedzy medycznej musi być poparte zachowaniem należytej staranności i ostrożności w leczeniu pacjentów, lekarz przy wyborze technik i metod diagnostycznych, terapeutycznych i profilaktycznych powinien kierować się przede wszystkim dobrą znajomością ich efektywności, przewidywalnością skutków ich zastosowania, dostępnością, rozumianą jako spełnianie uwarunkowań technicznych do wykonania tychże procedur i posiadanie umiejętności ich bezpiecznego przeprowadzenia (monitorowania przebiegu), a także rozeznaniem co do alternatywnych form leczenia danej jednostki chorobowej. Ocena postępowania lekarza z punktu widzenia wskazań aktualnej wiedzy medycznej musi uwzględniać uwarunkowania miejscowe i czasowe jego kształcenia zawodowego i wykonywania praktyki zawodowej.

²² Por. III CZP 80/18.

²³ Zob. wyrok SA w Warszawie z 4 marca 2015 r., IACa 515/14.

²⁴ D. Wąsik, 3. Aktualny stan wiedzy medycznej w świetle odpowiedzialności karnej za błędy medyczne [w:] *Metodyka prowadzenia postępowania przygotowawczego w sprawach o błędy medyczne*, Warszawa 2021.

Przenosząc powyższe rozważania na grunt świadczeń opieki zdrowotnej udzielanych w zakresie programów lekowych warto wskazać, iż program lekowy stanowi zespół zaplanowanych i zamierzonych działań z zakresu opieki zdrowotnej ocenianych jako skuteczne, bezpieczne i uzasadnione, umożliwiające osiągnięcie w określonym terminie założonych celów, polegających na wykrywaniu i zrealizowaniu określonych potrzeb zdrowotnych oraz poprawy stanu zdrowia określonej grupy świadczeniobiorców, opracowany, wdrażany, realizowany i finansowany przez Fundusz obejmujący technologię lekową, w której substancja czynna w danym wskazaniu oraz dla danej populacji nie jest składową kosztową innych świadczeń gwarantowanych, lub środków spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, który nie jest składową kosztową innych świadczeń gwarantowanych²⁵.

Z tego punktu widzenia istotne jest, iż założeniem świadczenia opieki zdrowotnej udzielanego w rodzaju program lekowy jest jego skuteczność, bezpieczeństwo i uzyskanie w określonym terminie założonych celów. Konsekwentnie treść programu lekowego musi określać:

- 1) adresata danego świadczenia – poprzez określenie w formie kryteriów kwalifikacji programu lekowego stanu chorobowego pacjenta, któremu dedykowany jest dany rodzaj świadczenia;
- 2) zespół czynności leczniczych i diagnostycznych pozwalających uzyskać określonych celów leczniczych i monitorowanie procesu leczenia;
- 3) kryteria wyłączenia pacjenta z programu związane z uzyskaniem określonego celu leczniczego lub obiektywnym brakiem możliwości uzyskania takiego celu (np. brak odpowiedzi na leczenie).

Powyższa triada nie pozwala na przyjęcie kryterium czasu jako wyłącznego kryterium zakończenia czy przerwania leczenia. Albowiem kryterium czasu jako samodzielne kryterium nie wpisuje się w wymóg leczenia zgodnie z aktualną wiedzą medyczną.

Zasadę równości wobec prawa wyraża art. 32 Konstytucji Rzeczypospolitej Polski, który stanowi, że wszyscy są wobec prawa równi oraz wszyscy mają prawo do równego traktowania przez władze publiczne. Prawo do równego traktowania przez władze publiczne dotyczy również prawa do leczenia. Powyższe determinuje również równe zasady ograniczania dostępu do świadczeń gwarantowanych, czyli finansowanych lub współfinansowanych ze środków publicznych z przyczyn ekonomicznych. W takim przypadku ograniczanie dostępności do świadczeń musi odbywać się na podstawie obiektywnych kryteriów. W myśl art. 6 ust. 1 ustawy o prawach pacjenta pacjent ma prawo, w sytuacji ograniczonych możliwości udzielenia odpowiednich świadczeń zdrowotnych, do przejrzystej, obiektywnej, opartej na kryteriach medycznych, procedury ustalającej kolejność dostępu do tych świadczeń.

²⁵ Art. 2 pkt 18 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych w zw. z art. art. 5 pkt 30 i art. 5 pkt 35 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych.

Tu wypada zauważyć, iż natura udzielania świadczeń w zakresie programów lekowych zakłada reglamentację w dostępie do danej technologii lekowej, jednakże kryteria ograniczania dostępu nie powinny ograniczać celu programu lekowego ani wpływać na bezpieczeństwo pacjenta, a tym samym reglamentacji nie mogą opierać się wyłącznie na wskaźnikach administracyjnych takich jak na przykład niepowiązany z kryteriami medycznymi czas leczenia w programie lekowym.

Historyczne przykłady wprowadzania kryteriów administracyjnego ograniczenia czasu leczenia w programie lekowym obejmowały programy lekowe: B. 33, B.35 i B. 36.

W każdym ze wskazanych przypadków kryterium administracyjne było określone w części „czas leczenia w programie”.

Czas leczenia w programie – jako niedozwolone kryterium administracyjne		
B.33 Leczenie reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ICD-10 M 05, M 06, M 08)	B.35 Leczenie łuszczycowego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ŁZS) (ICD-10 L 40.5, M 07.1, M 07.2, M 07.3)	B.36 Leczenie inhibitorami tnf alfa świadczeniobiorców z ciężką, aktywną postacią zeszywniającego zapalenia stawów kręgosłupa (ZZSK) (ICD-10 M 45)
<p>Czas leczenia w programie:</p> <p>1) Czas leczenia daną substancją czynną w ramach programu przy pierwszym podawaniu leku biologicznego <u>nie może być dłuższy niż 24 miesiące</u>, z zastrzeżeniem pkt 5 ppkt 1 w części dotyczącej MIZS niniejszego programu.</p>	<p>Czas leczenia w programie:</p> <p>1) Czas leczenia daną substancją czynną w ramach programu przy pierwszym podawaniu leku biologicznego <u>nie może być dłuższy niż 18 miesięcy</u>, z zastrzeżeniem pkt 7 niniejszego programu.</p>	<p>Czas leczenia w programie:</p> <p>1) Czas leczenia daną substancją czynną w ramach programu przy pierwszym podawaniu leku biologicznego <u>nie może być dłuższy niż 18 miesięcy</u>, z zastrzeżeniem pkt 7 niniejszego programu</p>

Tabela 1. Czas leczenia w programie lekowym B.33, B.35 i B.36 określone Obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 26 lutego 2018 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych.

W żadnym z powyższych przypadków kryterium czasowe nie było uzależnione od efektów leczenia. Natomiast każdy z programów określał kryteria medyczne powrotu do leczenia, które musiał spełnić pacjent w celu ponownego włączenia do programu lekowego. Kryterium tym każdorazowo było stwierdzenie nawrotu aktywnej choroby zgodny z kryteriami udziału

w programie. Innymi słowy u pacjenta skutecznie leczonego w programie lekowym B.33, B.35 i B.36 po upływie określonego czasu przerywano leczenie po to, aby powrócić do leczenia dopiero po nawrocie aktywnej choroby.

Takie działanie miało uzasadnienie ekonomiczne, jednakże w efekcie pacjenci, którzy byli skutecznie leczeni i dowiadywali się, że lek zostanie odstawiony skazywani byli na cierpienie. Taki stan rzeczy jest nie do pogodzenia z dyrektywą leczenia pacjenta zgodnie z aktualną wiedzą medyczną, jak i zasadą zaufania obywatela do państwa. **W konsekwencji każdy z powołanych programów doczekał się zmiany poprzez wykreślenie administracyjnie ograniczonego kryterium czasu leczenia.**

Dzisiaj pacjent z łuszczycowym zapaleniem stawów i towarzyszącą łuszczycą plackowatą może być leczony w ramach programu B.35 bezterminowo, natomiast pacjent z izolowaną łuszczycą plackowatą leczoną nowoczesnymi lekami w ramach programu B.47 tylko 96 tygodni.

Aktualnie problem ten dotyczy jeszcze programu B.47 Leczenie umiarkowanej i ciężkiej postaci łuszczycy plackowatej (ICD-10: L40.0), gdzie:

1. W przypadku kwalifikacji do terapii sekukinumabem, iksekizumabem, ustekinumabem, guselkumabem, risankizumabem lub tyldrakizumabem:
 - 1) Leczenie trwa do czasu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu pacjenta z programu, zgodnie z kryteriami przedstawionymi w opisie przedmiotowego programu, jednak nie dłużej niż do 96 tygodni.
 - 2) W uzasadnionych przypadkach potwierdzonych decyzją Zespołu Koordynacyjnego do Spraw Leczenia Biologicznego w Łuszczycy Plackowatej, u niektórych pacjentów można zastosować w ramach programu terapię trwającą powyżej 96 tygodni – przy czym długość trwania takiej terapii określa Zespół Koordynacyjny do Spraw Leczenia Biologicznego w Łuszczycy Plackowatej.

Następnie pacjent, u którego zaprzestano podawania substancji czynnej wymienionej w programie i zastosowanej zgodnie z jego treścią, u którego stwierdzono adekwatną odpowiedź na leczenie, może być ponownie włączony do programu bez kwalifikacji, jeżeli podczas badania kontrolnego stwierdzono nawrót aktywnej choroby definiowany jako wzrost wartości wskaźnika PASI o co najmniej 30% w stosunku do wartości obliczonej w momencie odstawienia leku, przy czym wartość wskaźnika PASI musi być większa niż 10.

Administracyjne ograniczenia czasowe w programie lekowym B.47 Leczenie umiarkowanej i ciężkiej postaci łuszczycy plackowatej (ICD-10: L40.0) należy oceniać w kontekście prawa pacjenta do leczenia zgodnie z aktualną wiedzą medyczną. „Ze względu na wpływ, jaki łuszczycy wywiera na dobrostan pacjenta, uznano, że celem leczenia przeciwłuszczycowego powinno być uzyskanie długotrwałej kontroli przebiegu choroby. U wielu chorych na łuszczycę umiarkowaną do ciężkiej jest to możliwe tylko poprzez stosowanie terapii ciągłej i z tego powodu zaprzestanie leczenia nie jest rekomendowane (z wyjątkiem CyA, której obecnie nie zaleca się stosować dłużej niż 3-6 miesięcy, maksymalnie do 2 lat, oraz fototerapii UVB i PUVA,

które należy przerwać po uzyskaniu remisji zmian skórnych ze względu na brak efektu podtrzymującego remisję). Jeśli jednak uzyskano całkowite lub niemal całkowite ustąpienie zmian łuszczycowych przy towarzyszącej dobrej jakości życia trwającej przez dłuższy czas, w porozumieniu z chorym można rozważyć zaprzestanie terapii systemowej z następczym ścisłym monitorowaniem stanu pacjenta. Decyzja o zaprzestaniu leczenia powinna uwzględniać oczekiwania pacjenta, obecność osobniczych czynników ryzyka mogących wpływać na długoterminowe bezpieczeństwo terapii, wcześniejszy przebieg schorzenia, w tym charakter i ciężkość nawrotów, obecność schorzeń towarzyszących, obecność łuszczycowego zapalenia stawów, obraz kliniczny łuszczycy i jej wpływ na jakość życia chorego, dostępność alternatywnych metod terapii w przypadku nawrotu choroby oraz rodzaj stosowanej terapii²⁶.

Dodatkowo należy pamiętać, że łuszczyca nie jest wyłącznie chorobą skóry. Z badań wynika bowiem, że takie cytokiny prozapalne, jak interleukina 17, interleukina 23 czy czynnik martwicy nowotworów alfa (TNF-alfa), odpowiadają za procesy zapalne u pacjentów chorujących na łuszczycę oraz za jej powikłania, w tym za rozwój chorób współtowarzyszących. Zalicza się tu nie tylko schorzenia o wspólnym mechanizmie patogenetycznym, jak łuszczycowe zapalenie stawów czy nieswoiste zapalenia jelit, ale też choroby sercowo-naczyniowe czy zaburzenia metaboliczne, w tym cukrzycę, a nawet nowotwory²⁷. Stąd administracyjne przerywanie terapii jest nie tylko nieuzasadnione, ale również może skutkować szkodą pacjenta. Łuszczyca jest chorobą przewlekłą i wymaga kontroli przez cały okres jej trwania, zaś w ciągu 96 tygodni u pacjentów nie udaje się uzyskać całkowitej remisji. W dodatku po odstawieniu terapii dochodzi u chorych do gwałtownego nawrotu zmian łuszczycowych²⁸.

Analizując problem z prawnego punktu widzenia, nie sposób nie zauważyć, iż w przypadku umiarkowanej i ciężkiej postaci łuszczycy plackowatej administracyjne kryterium przerywania leczenia po 96 tygodniach prowadzi do pogorszenia zdrowia (gwałtowne nawroty zmian łuszczycowych), ale i zwiększa ryzyko powikłań. Tym samym administracyjne kryterium czasu jest nie do pogodzenia ze standardami aktualnej wiedzy medycznej i związanym z nimi prawem pacjenta do świadczeń zgodnych z aktualną wiedzą medyczną.

²⁶ J. Szepietowski, Z. Adamski, G. Chodorowska, A. Kaszuba, W. Placek, L. Rudnicka, A. Reich Leczenie łuszczycy – rekomendacje ekspertów Polskiego Towarzystwa Dermatologicznego. Część II: łuszczyca umiarkowana do ciężkiej [w:] *Przeł Dermatol* 2014, 101, 455–472.

²⁷ W. Owczarek w Termedia: „Chorzy na łuszczycę i ŁZS”, 21 grudnia 2022 r.

²⁸ *Ibidem*.

Odpowiedzialność publicznoprawna w prawie medycznym

Odpowiedzialność publicznoprawna w prawie medycznym może być rozpatrywana w dwóch aspektach:

1. Szkody
2. Krzywdy – cierpienia jakiego pacjent zaznaje nie tylko w związku z nawrotem choroby, ale również przez cały okres leczenia w oczekiwaniu na skutek jaki ma nastąpić po 96 tygodniu.

Mając na uwadze charakter prawny dokumentu jakim jest program lekowy trzeba wskazać, iż mimo że propozycja treści programu lekowego jest sporządzana przez wnioskodawcę w postępowaniu o objęcie refundacją leku, to wprowadzana jest do obrotu prawnego w drodze decyzji administracyjnej ministra zdrowia o objęciu leku refundacją. Co ma ten skutek, że szkoda wywołana treścią programu lekowego może rodzić odpowiedzialność odszkodowawczą Skarbu Państwa na gruncie art. 417 kodeksu cywilnego.

Użyte przez ustawodawcę w art. 417 kodeksu cywilnego powiązanie odpowiedzialności odszkodowawczej ze szkodami powstałymi przy wykonywaniu władzy publicznej, odczytywane jest jako objęcie obowiązkiem odszkodowawczym jedynie tych skutków działań lub zaniechań, które pozostają w związku funkcjonalnym z wykonywaniem władzy publicznej, a nie takich, które zaistniały jedynie przy okazji jej wykonywania.

Zalicza się tu nie tylko działania lub zaniechania polegające na dokonywaniu czynności faktycznych (na przykład nadużycie władzy przez funkcjonariusza publicznego), ale również konwencjonalnych władczo kształtujących pozycję poszkodowanego -tak jak może to mieć miejsce w przypadku stosowania administracyjnego kryterium czasu jako przesłanki przerywającej skuteczne leczenie pacjenta do czasu uzyskania odpowiedniego poziomu progresji choroby.

O tym, czy szkoda jest wyrządzona „przy wykonywaniu władzy publicznej” czy też poza jej granicami, decydować bowiem powinna nie forma prawna, przy wykorzystaniu której władza ta jest realizowana, ale to, czy dana działalność służy (czy też nie) realizacji „celu publicznego”. Odpowiedzialność Skarbu Państwa będzie rodzić jedynie szkoda powstała w sytuacjach w których państwo lub jednostka samorządu terytorialnego wykonuje władzę publiczną, tzn. nie ma on zastosowania do sfery dominium (najczęściej działalności gospodarczej). Rozwiązanie takie stanowi realizację zasady równości wobec prawa.

Sfera wykonywania władzy publicznej (imperium) obejmuje stosunki prawne, w których państwo występuje w pozycji nadrzędnej, mogąc jednostronnie władczo kształtować prawa lub obowiązki innego podmiotu i stosować środki przymusu w celu zapewnienia realizacji tych praw lub obowiązków – tu właśnie np. prawo do leczenia w programie lekowym.

Wyróżnienie sfery wykonywania władzy publicznej dokonywane jest w oparciu o kryteria przedmiotowe, a nie podmiotowe, władzę publiczną wykonywać mogą organy władzy ustawodawczej, wykonawczej i sądowej. A zatem minister zdrowia wydając decyzję

administracyjną wykonuje władzę publiczną w konsekwencji czego każda szkoda powstała na skutek tej decyzji może rodzić odpowiedzialność na podstawie art. 417 kc.

W literaturze i w orzecznictwie coraz częściej przyjmuje się szerokie rozumienie pojęcia przesłanek odpowiedzialności odszkodowawczej. W szczególności wśród przesłanek wymienia się obecnie tak bezprawność, jak i winę, mimo że tradycyjna cywilistyka przypisuje zwłaszcza winie rangę nie tyle przesłanki, co naczelnej zasady odpowiedzialności deliktowej²⁹.

W pierwszej kolejności konieczne jest ustalenie działania (zaniechania), z którego wynika szkoda oraz dokonanie oceny jego bezprawności, następnie ustalenie czy wystąpiła szkoda i jakiego rodzaju i dopiero po stwierdzeniu, że obie te przesłanki zachodzą, możliwe jest zbadanie istnienia między nimi normalnego związku przyczynowego³⁰.

Należy też podkreślić, że wyrażona w art. 6 KC zasada odnosząca się do rozkładu ciężaru dowodowego ma zastosowanie również do spraw o odszkodowanie od władzy publicznej. To osoba dochodząca odszkodowania musi więc wykazać, że zachowanie władzy publicznej było niezgodne z prawem, że wystąpiła szkoda określonego rodzaju i rozmiarów oraz że zachodzi normalny związek przyczynowy pomiędzy tym zachowaniem a wystąpieniem szkody. Jak orzekł Sąd Najwyższy „wadliwość decyzji administracyjnej nie zwalnia poszkodowanego tą decyzją w sprawie przeciwko Skarbowi Państwa o odszkodowanie z obowiązku wykazania szkody oraz normalnego związku przyczynowego pomiędzy wydaniem tej decyzji a szkodą”³¹. Tym samym pacjentowi, u którego doszło do przerwania leczenia na skutek administracyjnego kryterium czasu i u którego doszłoby do pogorszenia stanu zdrowia mogłoby przysługiwać roszczenie od Skarbu Państwa pod warunkiem, iż udowodniłby on nie tylko niezgodność z prawem tego kryterium, ale i powstanie szkody a ponadto związek przyczynowo-skutkowy pomiędzy powstałą szkodą a przerwaniem leczenia.

Innym rodzaj odpowiedzialności jest odpowiedzialność za naruszenie prawa pacjenta do świadczeń zdrowotnych zgodnych z aktualną wiedzą medyczną. W tym kontekście należy wskazać, iż nakaz przestrzegania praw pacjenta obejmuje nie tylko osoby wykonujące zawód medyczny jak i osoby uczestniczące w udzielaniu świadczeń, ale również organy władzy publicznej właściwe w zakresie ochrony zdrowia oraz Narodowy Fundusz Zdrowia.

W tym kontekście warto ponownie poddać analizie definicję programu lekowego, która stanowi, iż program lekowy to zespół zaplanowanych i zamierzonych działań z zakresu opieki zdrowotnej ocenianych jako skuteczne, bezpieczne i uzasadnione, umożliwiających osiągnięcie w określonym terminie założonych celów, polegających na wykrywaniu i zrealizowaniu określonych potrzeb zdrowotnych oraz poprawy stanu zdrowia określonej grupy świadczeniobiorców, opracowany, wdrażany, realizowany i finansowany przez Fundusz

²⁹ M. Owczarek, Problem bezprawności względnej, s. 37, choć spotyka się też nazywanie bezprawności, jak i winy, wymiennie zasadami lub przesłankami odpowiedzialności odszkodowawczej.

³⁰ zob. wyr. SA w Szczecinie z 27 czerwca 2013 r. I ACa 174/13; wyrok SA w Katowicach z 23 maja 2014 r., I ACa 795/12.

³¹ Wyrok Sądu Najwyższego z 26 marca 2014 r. V CSK 284/13.

obejmujący technologię lekową, w której substancja czynna w danym wskazaniu oraz dla danej populacji nie jest składową kosztową innych świadczeń gwarantowanych, lub środków spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, który nie jest składową kosztową innych świadczeń gwarantowanych. Otóż, zgodnie z definicją program lekowy jest opracowany, wdrażany, realizowany i finansowany przez Fundusz zaś wprowadzany do obrotu prawnego przez ministra zdrowia w drodze decyzji administracyjnej. A tym samym odpowiedzialność za przestrzeganie prawa pacjenta do leczenia zgodnie z aktualną wiedzą medyczną obciąża zarówno Ministra Zdrowia jak i Narodowy Fundusz Zdrowia.

Abstrakcyjny charakter naruszenia prawa pacjenta do leczenia zgodnie z aktualną wiedzą medyczną poprzez stosowanie kryterium czasu leczenia w programie B.47 przesądzać będzie o kwalifikacji tego naruszenia jako praktyce naruszającej zbiorowe prawa pacjentów.

Dla stwierdzenia naruszenia praw pacjentów wymagane jest wystąpienie w działaniu podmiotu udzielającego świadczeń zdrowotnych dwóch przesłanek: - po pierwsze, bezprawne zorganizowane działania lub zaniechania podmiotu udzielającego świadczeń zdrowotnych; - po drugie, w szczególności podejmowane celem osiągnięcia korzyści majątkowej. Spełnienie przesłanek stwierdzenia naruszenia zbiorowych praw pacjentów jest obwarowane przesłanką ustalenia bezprawnego zorganizowanego działania lub zaniechania podmiotu udzielającego świadczeń zdrowotnych³².

„Zbiorowe” prawa pacjentów odnoszą się do tych praw, o których mowa w ustawie z 2008 r. o prawach pacjenta i Rzeczniku Praw Pacjenta oraz w przepisach szczególnych. Używając terminu „zbiorowych praw pacjentów” ustawodawca objął ochroną administracyjnoprawną prawa aktualnych i potencjalnych pacjentów, traktowanych jako zbiorowość - grupę zasługującą na szczególną ochronę. Tym samym ustanowił odrębny przedmiot ochrony, niezależny od ochrony praw indywidualnych pacjentów. O naruszeniu zbiorowych praw pacjentów możemy zaś mówić wówczas, gdy skutki działań mogą zagrażać lub realizować się w sferze każdego potencjalnego pacjenta znajdującego się w podobnych okolicznościach.

Dla stwierdzenia naruszenia zbiorowych praw pacjentów istotne jest ustalenie, czy konkretne działanie podmiotu leczniczego nie ma ściśle określonego adresata, lecz jest kierowane do nieoznaczonego z góry kręgu podmiotów. Oznacza to, że nie ilość faktycznych, potwierdzonych naruszeń, ale przede wszystkim ich charakter, a w związku z tym możliwość (choćby tylko potencjalna) wywołania negatywnych skutków wobec określonej zbiorowości przesądza o naruszeniu zbiorowego interesu. Zgodnie z art. 59 ust. 1 pkt 1 ww. ustawy, nie są bowiem oceniane wyłącznie działania, lecz także zaniechania, które również mogą wywoływać skutki w postaci naruszenia zbiorowych praw pacjenta.

Mając na uwadze wszystkie powyższe argumenty zasadne jest przyjęcie następujących wniosków w odniesieniu do treści programu lekowego B. 47 Leczenie umiarkowanej i ciężkiej postaci łuszczycy plackowatej (ICD-10: L40.0):

³² Wyrok Naczelnego Sądu Administracyjnego z dnia 8 grudnia 2020 r., II OSK 562/20.

1. Stosowanie kryterium czasu leczenia w programie lekowym B.47 niepowiązanego z żadnymi przesłankami medycznymi jest niezgodne z definicją programu lekowego;
2. Stosowanie kryterium czasu leczenia w programie lekowym B.47 może skutkować szkodą pacjenta powstałą na skutek niezasadnego medycznie przerwania leczenia, a tym samym rodzić odpowiedzialność odszkodowawczą Skarbu Państwa;
3. Stosowanie kryterium czasu leczenia w programie lekowym B.47 narusza prawo pacjenta do leczenia zgodnie z aktualną wiedzą medyczną, a tym samym może zostać uznane za praktykę naruszającą zbiorowe prawa pacjenta.

Bibliografia:

Akty prawne

1. Konstytucja Rzeczypospolitej Polski.
2. Powszechna Deklaracja Praw Człowieka, dostęp przez: [https://www.unesco.pl/fileadmin/user_upload/pdf/Powszechna Deklaracja Praw Czlowieka.pdf](https://www.unesco.pl/fileadmin/user_upload/pdf/Powszechna_Deklaracja_Praw_Czlowieka.pdf), 19.01.2023 r., g. 8:10.
3. Pakt Praw Gospodarczych, Społecznych i Kulturalnych, uchwalony w 1966 r. przez Zgromadzenie Ogólne Narodów Zjednoczonych, wszedł w życie w 1976 r. Paktem związane są 164 państwa (czerwiec 2015 r.). Polska ratyfikowała Pakt w 1977 r.
4. Konstytucja Światowej Organizacji Zdrowia z 22 lipca 1946 r. (Dz.U. z 1948 r. Nr 61, poz. 477 ze zm.).
5. Europejska Karta Społeczna (Dz.U. 1999 Nr 8 poz. 67), dalej jako: EKS.
6. Konwencja o ochronie praw człowieka i podstawowych wolności, sporządzona w Rzymie dnia 4 listopada 1950 r., zmieniona następnie Protokołami nr 3, 5 i 8 oraz uzupełniona Protokołem nr 2 (Dz.U. 1993 Nr 61, poz. 284), dalej jako: EKPC.
7. Ustawa 6 listopada 2008 r. o prawach pacjenta i Rzeczniku Praw Pacjenta.
8. Ustawa z dnia 15 marca 2019 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych
9. Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych.

Orzeczenia

10. Wyrok ETPC z 31 lipca 2001 r. w spr. Refah Partisi (Partia Dobrobytu) i in. przeciwko Turcji, skargi Nr 41340/98, 41342/98, 41343/98 i 41344/98, pkt 43, HUDOC.
11. Wyrok ETPC z 4.12.2003 r. w spr. Gündüz przeciwko Turcji, skarga Nr 35071/97, pkt 40, HUDOC.
12. Wyrok ETPC z: 4 maja 2000 r. w spr. Powell przeciwko Zjednoczonemu Królestwu, skarga Nr 45305/99; 13 września 2001 r. w spr. Trzapałko przeciwko Polsce, skarga Nr 25124/09, HUDOC.
13. Wyrok ETPC z 9 kwietnia 2013 r. w spr. Mehmet Sentürk i Bekir Sentürk przeciwko Turcji, skarga Nr 13423/09, HUDOC.
14. Wyrok Trybunału Konstytucyjnego z 7 stycznia 2004 r. (K 14/03, OTK-A 2004, Nr 1, poz. 1).
15. Wyrok Trybunału Konstytucyjnego z TK z 28 maja 1997 r. (K 26/96, OTK 1997, Nr 2, poz. 19).
16. Wyrok Trybunału Konstytucyjnego z 7 stycznia 2004 r. (K 14/03, OTK-A 2004, Nr 1, poz. 1).
17. Wyrok Trybunału Konstytucyjnego z 24 marca 1999 r., K 2/98, OTK 1999, Nr 3, poz. 38;
18. Uchwała Składu Siedmiu Sędziów Sądu Najwyższego - Izba Cywilna z dnia 19 marca 2019 r., III CZP 80/18.
19. Wyrok Sądu Najwyższego z 13 stycznia 2005 r., III CK 143/04.
20. Wyrok Sądu Najwyższego z 10 lutego 2010 r., V CSK 287/09.
21. Wyrok Sądu Najwyższego z 25 października 2019 r., IV CSK 656/18.
22. Wyrok Sądu Najwyższego z 3 kwietnia 2019 r., II CSK 96/18.
23. Postanowienie Sądu Najwyższego z 5 marca 2019 r., III CSK 229/18.
24. Wyrok SA w Warszawie z 4 marca 2015 r., IACa 515/14.
25. Wyrok SA w Szczecinie z 27 czerwca 2013 r. I ACa 174/13.
26. Wyrok SA w Katowicach z 23 maja 2014 r., I ACa 795/12.
27. Wyrok Sądu Najwyższego z 26 marca 2014 r. V CSK 284/13.
28. Wyrok Naczelnego Sądu Administracyjnego z dnia 8 grudnia 2020 r., II OSK 562/20.

Piśmiennictwo

29. D. Bach-Golecka, Mobilny pacjent, s. 392–393; A.M. Świątkowski, Prawo socjalne, s. 166–174.
30. B. Banaszak, Konstytucja, 2012, s. 351; P. Winczorek, Komentarz, 2008, s. 165.
31. D. Wąsik, 3. Aktualny stan wiedzy medycznej w świetle odpowiedzialności karnej za błędy medyczne [w:] Metodyka prowadzenia postępowania przygotowawczego w sprawach o błędy medyczne, Warszawa 2021.
32. J. Szepietowski, Z. Adamski, G. Chodorowska, A. Kaszuba, W. Placek, L. Rudnicka, A. Reich Leczenie łuszczycy – rekomendacje ekspertów Polskiego Towarzystwa Dermatologicznego. Część II: łuszczycyca umiarkowana do ciężkiej [w:] Przegl Dermatol 2014, 101, 455–472.
33. W. Owczarek w Termedia: „Chorzy na łuszczycę i ŁZS”, 21 grudnia 2022 r.
34. M. Owczarek, Problem bezprawności względnej, s. 37, choć spotyka się też nazywanie bezprawności, jak i winy, wymiennie zasadami lub przesłankami odpowiedzialności odszkodowawczej.

4. Unmet needs w zakresie nowych terapii.

Nowe terapie stanowią jedną z najważniejszych innowacji we współczesnej medycynie. Mechanizm ich działania często jest wynikiem selektywnych interwencji na poziomie molekularnym w różne etapy reakcji immunologicznych. Możliwość ich zastosowania może wpływać na codzienną praktykę i podnosić skuteczność stosowanych *terapii*. Na świecie dostępne są już nowe leki, nie objęte refundacją w Polsce, jak również oczekuje się, że w niedalekiej przyszłości pojawią się kolejne *innowacyjne terapie* pozwalające na zwiększenie efektywności leczenia łuszczycy. Wskazuje się, że plan postępowania terapeutycznego powinien być opracowany indywidualnie, z uwzględnieniem postaci choroby, stopnia jej rozległości i aktywności oraz ewentualnych chorób współistniejących. Optymalne leczenie powinno zapobiegać zmianom ogólnoustrojowym poprzez kontrolowanie objawów choroby. Wiedza na temat wpływu leczenia ogólnego na hamowanie różnych elementów uogólnionego zapalenia w przebiegu łuszczycy nadal wymaga uzupełnienia. Wyniki prowadzonych badań pozwalają na wprowadzenie leków o odmiennych mechanizmach działania, jak również postęp w obrębie już istniejących celów terapii. Ocena leków w trakcie badań daje możliwość wprowadzenia ich do praktyki klinicznej a wykazywane selektywne działanie przekłada się nie tylko na skuteczność, ale i bezpieczeństwo terapii. W terapii łuszczycy rola predyktorów odpowiedzi klinicznej na większość terapii nadal pozostaje nieznaną i wymaga dalszych badań. Genetyczna różnorodność może być przyczyną odmiennego obrazu klinicznego i przekładać się na odmienności immunologiczne u poszczególnych chorych. Wskazuje się, że heterogenność grupy przekłada się na skuteczność terapii lub jej brak u chorych. Z tego powodu istnieje potrzeba rozwijania grupy leków w tym wskazaniu. Postęp w terapii dotyczy zarówno leków biologicznych jak i małych cząsteczek. Zdolność do neutralizacji cytokin oraz możliwość blokady receptorów stała się podstawą do wykorzystania przeciwciał monoklonalnych w terapii łuszczycy. Nowym lekiem biologicznym wprowadzonym do terapii jest Bimekizumab. Bimekizumab to humanizowane przeciwciało monoklonalne IgG1, które neutralizuje zarówno IL-17A, jak i IL-17F. Profile bezpieczeństwa i skuteczności bimekizumabu oceniano w czterech badaniach klinicznych fazy III, w których porównywano bimekizumab z placebo i ustekinumabem (BE VIVID), z placebo (BE READY), z adalimumabem (BE SURE) i z secukinumabem (BE RADIANT). W badaniach wykazano, że Bimekizumab jest lekiem o porównywalnym profilu bezpieczeństwa do innych terapii. Stwierdzono również, że charakteryzuje go szybki początek odpowiedzi klinicznej (4. Tydzień) i wyższa skuteczność (PASI90, PASI100) w porównaniu z adalimumabem, ustekinumabem i sekukinumabem. Wskazuje się, że za korzystne efekty kliniczne może odpowiadać mechanizm dodatkowego hamowania IL-17F. Niedawne badania wykazały dużą homologię strukturalną (około 50%) między IL-17A i IL-17F,. Może to być przyczyną stwierdzanego nakładającego się mechanizmu działania. Drugi z kierunków dotyczy zastosowania małych cząsteczek hamujących aktywności kinaz janusowych w leczeniu łuszczycy. Kinazy janusowe należą do rodziny [kinaz tyrozynowych](#) mających udział w wewnątrzkomórkowej [transdukcji sygnału w szlaku](#) JAK-STAT. W trakcie transdukcji sygnału połączenie cytokiny z receptorem błonowym prowadzi do zmian konformacyjnych w jego

obrębie i utworzenie aktywnego kompleksu uruchamiającego m.in. ścieżkę sygnałową związaną STAT3 (*signal transducer and activator of transcription*). Sekwencja ta uruchamia wewnątrzkomórkową kaskadę przekazywania sygnałów. Proces ten jest wynikiem autofosforylacji w obrębie kinazy JAK. Aktywacja białek STAT powoduje dalszą transmisję sygnału do jądra komórkowego i uruchamia proces transkrypcji białek. W jądrze komórkowym STAT3 łączy się z odpowiednią sekwencją DNA i wpływa na ekspresję genów. Hamowanie kinaz istotnie zmniejsza ekspresję prozapalnych cytokin i wpływa na modulację odpowiedzi immunologicznej. W tej grupie mamy obecnie tylko jeden lek zatwierdzony do stosowania u dorosłych z łuszczycą plackowatą o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego przez Amerykańską Agencję ds. Żywności i Leków tj. deukrawacytynib. deukrawacytynib to doustny, selektywny inhibitor kinazy tyrozynowej 2 (TYK2). Skuteczność i bezpieczeństwo deukrawacytynibu oceniono w badaniach klinicznych fazy 3 POETYK PSO-1 i POETYK PSO-2. W badaniach stwierdzono, że deukrawacytynib ma wyższą skuteczność niż placebo i apremilast.

Terapie innowacyjne, w tym leki biologiczne, są obecnie alternatywą dla klasycznych metod leczenia. Nowoczesne metody terapeutyczne umożliwiają uzyskanie wyższej, od klasycznych leków ogólnych, skuteczności przy podobnym lub lepszym profilu bezpieczeństwa. Wskazaniem do leczenia innowacyjnego jest łuszczycza plackowata o nasileniu umiarkowanym i ciężkim. W programie lekowym B.47 jest również możliwość stosowania takich leków u chorych ze zmianami zajmującymi okolice stygmatyzujące. Postęp w zakresie nowych terapii jest niezbędny dla personalizacji terapii chorych. Umożliwia ona dopasowanie leku do chorego i pozwala zwiększyć skuteczność stosowanej terapii. Personalizacja terapii przewlekłych chorób zapalnych, do których zalicza się łuszczycza, przekłada się natomiast na korzyści ekonomiczne, i dlatego wszyscy powinniśmy być zainteresowani rozwojem terapii innowacyjnych.

1. Ruggiero A, Potestio L, Camela E, Fabbrocini G, Megna M [Bimekizumab for the Treatment of Psoriasis: A Review of the Current Knowledge](#). . *Psoriasis (Auckl)*. 2022 Jun 8;12:127-137. doi: 10.2147/PTT.S367744. eCollection 2022.
2. Gordon KB, Foley P, Krueger JG, et al. Bimekizumab efficacy and safety in moderate to severe plaque psoriasis (BE READY): a multicentre, double-blind, placebo-controlled, randomised withdrawal phase 3 trial. [published correction appears in *Lancet*. 2021 Mar 27;397(10280):1182]. *Lancet*. 2021;397(10273):475–486. doi: 10.1016/S0140-6736(21)00126-4

3. Reich K, Papp KA, Blauvelt A, et al. Bimekizumab versus ustekinumab for the treatment of moderate to severe plaque psoriasis (BE VIVID): efficacy and safety from a 52-week, multicentre, double-blind, active comparator and placebo controlled phase 3 trial. *Lancet*. 2021;397(10273):487–498. doi: 10.1016/S0140-6736(21)00125-2
4. Papp KA, Merola JF, Gottlieb AB, et al. Dual neutralization of both interleukin 17A and interleukin 17F with bimekizumab in patients with psoriasis: results from BE ABLE 1, a 12-week randomized, double-blinded, placebo-controlled phase 2b trial. *J Am Acad Dermatol*. 2018;79(2):277–286.e10. doi: 10.1016/j.jaad.2018.03.037
5. Lé AM, Puig L, Torres T. [Deucravacitinib for the Treatment of Psoriatic Disease.](#)
6. [Am J Clin Dermatol. 2022 Nov;23\(6\):813-822. doi: 10.1007/s40257-022-00720-0.](#)
7. Armstrong AW, Gooderham M, Warren RB, Papp KA, Strober B, Thaçi D, Morita A, Szepietowski JC, Imafuku S, Colston E, Throup J, Kundu S, Schoenfeld S, Linaberry M, Banerjee S, Blauvelt A. [Deucravacitinib versus placebo and apremilast in moderate to severe plaque psoriasis: Efficacy and safety results from the 52-week, randomized, double-blinded, placebo-controlled phase 3 POETYK PSO-1 trial.](#) *J Am Acad Dermatol*. 2023 Jan;88(1):29-39. doi: 10.1016/j.jaad.2022.07.002.

5. Podsumowanie

Łuszczyca plackowata stanowi chorobę o podłożu zapalnym, która dotyka znaczącej części populacji polskiej. Jej skuteczne leczenie jest istotne z punktu widzenia samych chorych, jak i systemu ochrony zdrowia, gdyż determinuje ono prawidłowe funkcjonowanie tych chorych w przestrzeni społecznej i zawodowej.

Dane przedstawione w niniejszym opracowaniu wskazują, że Program lekowy B.47, podobnie jak i inne Programy lekowe dotyczące leczenia chorób autoimmunologicznych w ostatnich latach uległy korzystnym zmianom. W przypadku aktualnie obowiązującego Programu dotyczącego leczenia łuszczycy plackowatej wydaje się, że do osiągnięcia oczekiwanych, przedstawionych powyżej korzyści niezbędne jest wprowadzenie już tylko kilku zmian. **Przed wszystkim zniesienie administracyjnego ograniczenia czasu terapii dla wszystkich leków oraz dostosowanie kryteriów kwalifikacji chorych do leczenia biologicznego do zapisów wytycznych klinicznych i wskazań rejestracyjnych poszczególnych leków stosowanych w ramach Programu lekowego (zmiana zapisów dotyczących wcześniejszego leczenia systemowego innego niż biologiczne, poszerzenie możliwości leczenia chorych z umiarkowanym nasileniem choroby o pozostałe inhibitory interleukin) jak również objęcie finansowaniem nowych, skutecznych leków.**

Rozpoczęcie terapii lekami biologicznymi na wcześniejszym etapie procesu terapeutycznego oprócz niewątpliwych korzyści klinicznych będzie wiązało się z określonym wpływem na wydatki płatnika publicznego. Wraz jednak z systematycznie malejącym w czasie średnim rocznym kosztem ponoszonym na jednego chorego przyjmującego terapię biologiczną wydatki te powinny zostać zneutralizowane.

Całokształt omówionych w opracowaniu działań jest niezbędny do tego, aby chorzy na łuszczycę plackowatą byli w Polsce leczeni w sposób optymalny, zgodny z aktualną wiedzą medyczną. Wprowadzenie omówionych zmian umożliwi osiągnięcie możliwie najkorzystniejszych efektów leczenia większej grupie chorych, co jak jednoznacznie udowodniono, przekłada się wprost na poprawę jakości życia chorych w stopniu umożliwiającym stwierdzenie braku wpływu choroby na codzienne funkcjonowanie oraz uzyskanie korzyści społecznych i ekonomicznych.

Bibliografia

1. Abuabara K., Azfar R.S., Shin D.B. i in., Cause-specific mortality in patients with severe psoriasis: a population-based cohort study in the U.K., *Br J Dermatol.* 2010, 163(3): 586-92
2. Amatore F., Villani A.P., Tauber M. i in., French guidelines on the use of systemic treatments for moderate-to-severe psoriasis in adults, *Journal of the European Academy of Dermatology and Venereology* 2019, 33: 464–483
3. Analiza weryfikacyjna AOTMiT nr OT.4231.41.2022 dla leku Skyrizi (ryzankizumab) w leczeniu umiarkowanej i ciężkiej postaci łuszczycy plackowatej (ICD-10: L40.0)
4. Barszczewska 2020, <https://power.aotm.gov.pl/static/Materialy/12.%20Leczenie%20C5%82uszczycy%20w%20programie%20B.47%20%E2%80%93%20analiza%20zmian%20wysoko%20C5%9B%20limitu%20finansowania%20refundowanych%20substancji%20czynnych.pdf>
5. Bhosle M.J., i in., Quality of life in patients with psoriasis. *Health Qual Life Outcomes*, 2006. 4: p. 3
6. Bhosole M. J., Kulkarni A., Feldman S. R. i in., Quality of life in patients with psoriasis, *Health and Quality of Life Outcomes* 2006, 4:35
7. Boehncke W.H., Schön M.P., Psoriasis, *Lancet* 2015, 386 (9997): 983-94
8. Borzęcki A., Koncewicz A., Raszewska-Famielec M. i in., Epidemiologia łuszczycy w Polsce w latach 2008-2015, *Przegląd Dermatologiczny* 2018; 105:693-700
9. Burgos-Pol, R., et al., The Cost of Psoriasis and Psoriatic Arthritis in 5 European Countries: A Systematic Review. *Actas Dermosifiliogr*, 2016. 107(7): p. 577-90.
10. Brzezińska O., Łuczak, A., Małecki, D., i in., Ocena dolegliwości ze strony układu mięśniowo-szkieletowego wśród pacjentów z łuszczycą. *Alergia Astma Immunologia-przegląd kliniczny* 2018, 23(1), 46-53.
11. Charakterystyka Produktu Leczniczego Cimzia®, https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/cimzia-epar-product-information_pl.pdf (data dostępu: 22.06.2022 r.)
12. Charakterystyka Produktu Leczniczego Cosentyx®, http://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2015/20150115130444/anx_130444_pl.pdf (data dostępu: 22.06.2022 r.)
13. Charakterystyka Produktu Leczniczego Enbrel®, https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/enbrel-epar-product-information_pl.pdf (data dostępu: 22.06.2022 r.)
14. Charakterystyka Produktu Leczniczego Humria®, https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/humira-epar-product-information_pl.pdf (data dostępu: 22.06.2022 r.)
15. Charakterystyka Produktu Leczniczego Ilumetri®, https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/ilumetri-epar-product-information_pl.pdf (data dostępu: 22.06.2022 r.)

16. Charakterystyka Produktu Leczniczego Remsima®,
https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2015/20151210133721/anx_133721_pl.pdf?msclkid=b8646ef7cf8c11ecb5dc4881df1fd97b (data dostępu: 22.06.2022 r.)
17. Charakterystyka Produktu Leczniczego Skyrizi®,
https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/skyrizi-epar-product-information_pl.pdf (data dostępu 22.06.2022 r.)
18. Charakterystyka Produktu Leczniczego Stelara®,
https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/stelara-epar-product-information_pl.pdf (data dostępu: 22.06.2022 r.)
19. Charakterystyka Produktu Leczniczego Taltz®,
https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/taltz-epar-product-information_pl.pdf (data dostępu: 22.06.2022 r.)
20. Charakterystyka Produktu Leczniczego Tremfya®,
https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/tremfya-epar-product-information_pl.pdf (data dostępu: 22.06.2022 r.)
21. Claudepierre P., Lahfa M., Levy P. i in., The impact of psoriasis on professional life: PsoPRO, a French national survey, *J Eur Acad Dermatol Venereol.* 2018, 32(10): 1702-1709
22. Dane publikowane na stronie NFZ - Komunikaty DGL
<https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/>
23. European S3-Guidelines on the systemic treatment of psoriasis vulgaris Update 2015 EDF in cooperation with EADV and IPC,
<https://onlinelibrary.wiley.com/doi/abs/10.1111/jdv.13354> (data dostępu: 22.06.2022 r.)
24. Feldman, S.R., M. Malakouti, and J.Y. Koo, Social impact of the burden of psoriasis: effects on patients and practice. *Dermatology online journal*, 2014. 20(8)
25. Gottlieb A. B., Leonardi C., Kerdel F., i in., Efficacy and safety of briakinumab vs. etanercept and placebo in patients with moderate to severe chronic plaque psoriasis, *British Journal of Dermatology* 2011, (165): 652-660
26. Haidari W., Pona A., Feldman S.R., Management of Residual Psoriasis in Patients on Biologic Treatment, *J Drugs Dermatol.* 2020, 19(2): 188-194
27. Hong, J., B. Koo, and J. Koo, The psychosocial and occupational impact of chronic skin disease, *Dermatologic therapy*, 2008. 21(1): p. 54-59
28. Jankowiak B., Kowalewska B., Krajewska-Kułał E. i in., Stigmatization and Quality of Life in Patients with Psoriasis, *Dermatol Ther (Heidelb)*, 2020; 10:285–296
29. Kamiya K., Kishimoto M., Sugai J., i in., Risk factors for the development of psoriasis, *International Journal of Molecular Sciences* 2019, 20(18), 4347.
30. Kim W.B., Jerome D., Yeung J., Diagnosis and management of psoriasis. *Can Fam Physician.* 2017;63(4):278-285.

31. Lin, P.T., S.H. Wang, and C.C. Chi, Drug survival of biologics in treating psoriasis: a meta-analysis of real-world evidence. *Sci Rep*, 2018. 8(1): p. 16068.
32. Mapy potrzeb zdrowotnych 2019, Baza Analiz Systemowych i Wdrożeniowych, BASiW - 52_epidemiologia_MPZ2020 (mz.gov.pl) (data dostępu: 22.06.2022)
33. Martínez-García E., Arias-Santiago S., Valenzuela-Salas I., i in., Quality of life in persons living with psoriasis patients. *Journal of the American Academy of Dermatology* 2014, 71(2), 302-307.
34. Martínez-Ortega, J.M., et al., Quality of life, anxiety and depressive symptoms in patients with psoriasis: A case-control study. *J Psychosom Res*, 2019. 124: p. 109780
35. Medycyna praktyczna, łuszczyca – przyczyny, objawy, leczenie, <https://www.mp.pl/pacjent/dermatologia/choroby/chorobyskory/74363,luszczyca> (data dostępu: 22.06.2022 r.)
36. Menter A., Gottlieb A., Feldman S. R. i in., Guidelines of care for the management of psoriasis and psoriatic arthritis,. *J Am Acad Der matol* 2008; (58): 826-850
37. Menter A., Strober B.E., Kaplan D.H. i in., Joint AAD-NPF guidelines of care for the management and treatment of psoriasis with biologics, *J Am Acad Dermatol* 2019, Vol. 80, No. 4: 1029-72
38. Naneman-Hirsh A., Aspekty kliniczne i epidemiologiczne zaburzeń ogólnoustrojowych chorych na łuszczycę, Rozprawa doktorska, Poznań 2011
39. Nast. A., Smith C., Spuls P. I., i in., EuroGuiDerm Guideline on the systemic treatment of Psoriasis vulgaris, *Journal of the European Academy of Dermatology and Venereology* 2022
40. No, D.J., et al., Drug survival of biologic treatments in psoriasis: a systematic review. *J Dermatolog Treat*, 2018. 29(5): p. 460-466.
41. Nojszewska E., Ocena całkowitych społeczno-ekonomicznych "kosztów występowania łuszczycy i łuszczycowego zapalenia stawów z perspektywy gospodarki państwa." Raport Instytutu Innowacji i Odpowiedzialnego Rozwoju Innowo 2019.
42. Obarska I., Nierówności w dostępie do leczenia biologicznego w chorobach autoimmunizacyjnych w Europie. Refundacja apteczna szansą na poprawę efektywności leczenia w Polsce, Polski Związek Pracodawców Przemysłu Farmaceutycznego, Warszawa 2022
43. Obwieszczenia MZ <http://dziennikmz.mz.gov.pl/keywordbrowse/4>
44. Owczarczyk-Saczonek A., Placek W., Związki łuszczycy z otyłością i nadwagą. *Advances in Hygiene & Experimental Medicine/Postepy Higieny i Medycyny Doswiadczalnej* 2017, 71.
45. Pickard A.S., Gooderham M., Hartz S., i in., EQ-5D health utilities: exploring ways to improve upon responsiveness in psoriasis, *J Med Econ*. 2017 Jan;20(1):19-27
46. POZ 2022: Termedia, Personalizacja leczenia w chorobach autoimmunologicznych, <https://www.termedia.pl/mz/Personalizacja-leczenia-w-chorobach-autoimmunologicznych-,45642.html> (data dostępu: 02.06.2022 r.)

47. Puig L., Thom H., Mollon P, i in., Clear or almost clear skin improves the quality of life in patients with moderate-to-severe psoriasis: a systematic review and meta-analysis, *J Eur Acad Dermatol Venereol* 2017 Feb;31(2):213-220
48. PZ 2021: Polityka Zdrowotna, Konieczny równy dostęp do terapii w chorobach autoimmunizacyjnych, 2021, <https://www.politykazdrowotna.com/79199,konieczny-rowny-dostep-do-terapii-w-chorobach-autoimmunizacyjnych> (data dostępu: 02.06.2022 r.)
49. Raciborski F., Samoliński B., Raport Fundacji na rzecz Zdrowego Starzenia się pt. Konstruktywni. Zdrowi – Aktywni – Konstruktywni. Warszawa, 2015
50. Masson Regnault M., Shourick J., Jendoubi F. i in., Time to Relapse After Discontinuing Systemic Treatment for Psoriasis: A Systematic Review, *Am J Clin Dermatol.* 2022 Jul;23(4):433-447
51. Reich A., Adamski Z., Chodorowska G., I in., Łuszczyca. Rekomendacje diagnostyczno-terapeutyczne Polskiego Towarzystwa Dermatologicznego. Część 1, *Dermatology Review/Przegląd Dermatologiczny* 2020, 107(2).
52. Reich A., Adamski Z., Chodorowska G., I in., Łuszczyca. Rekomendacje diagnostyczno-terapeutyczne Polskiego Towarzystwa Dermatologicznego. Część 1, *Dermatology Review/Przegląd Dermatologiczny* 2020, 107(2)
53. Rendon A., Schäkel K., Psoriasis pathogenesis and treatment, *International journal of molecular sciences* 2019, 20(6), 1475.
54. Roczne Sprawozdania NFZ publikowane na stronie <https://www.nfz.gov.pl/zarzadzenia-prezesa/uchwaly-rady-nfz/>
55. Rosic, Psoriasis: epidemiology, natural history, and differential diagnosis. *Psoriasis: Targets and Therapy*, 2012. 2: p. 67-76
56. Samselska D., Kurowska A., Łuszczyca. Optymalizacja leczenia, Raport, Fundacja Amicus 2021
57. Smith C. H., Yiu Z. Z. N., Bale T., i in., British Association of Dermatologists' Clinical Standards Unit, British Association of Dermatologists guidelines for biologic therapy for psoriasis 2020: a rapid update. *British Journal of Dermatology* 2020, 183(4), 628-637.
58. Statystyki NFZ publikowane na stronie <https://statystyki.nfz.gov.pl/DrugPrograms>
59. Tinggaard A. B., Hjuler K. F., Andersen I. T., i in., Prevalence and severity of coronary artery disease linked to prognosis in psoriasis and psoriatic arthritis patients: a multi-centre cohort study, *Journal of Internal Medicine* 2021, 290(3), 693-703.
60. Viswanathan H.N., Chau D., Milmont C.E., i in., Total skin clearance results in improvements in health-related quality of life and reduced symptom severity among patients with moderate to severe psoriasis, *J Dermatolog Treat.* 2015 Jun;26(3):235-9
61. Warren, R.B., Kleyn C.E., Gulliver W.P., Cumulative life course impairment in psoriasis: patient perception of disease-related impairment throughout the life course, *Br J Dermatol.* 2011, 164 Suppl 1: 1-14

62. Wielowieyska-Szybińska D, Wojas-Pelc A. Przebieg i postępowanie w łuszczycy zwykłej. *Post Dermatol Alergol* 2012; XXIX, 2: 123–127
63. Wojciechowska M., McFarlane O., Żaroń A., Złożona problematyka łuszczycy wyzwaniem dla polityki społecznej i zdrowotnej. Rola zdrowia publicznego. *Medycyna Ogólna i Nauki o Zdrowiu* 2020, 26(1), 24-28.
64. Załączniki IV.3.2. do Uchwał Rady Narodowego Funduszu Zdrowia w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał w latach 2016 r. – 2021 r. oraz za II kwartał 2022 r.



Warszawa, styczeń 2023 r.