



Szanowny Pan Maciej Miłkowski  
Podsekretarz Stanu  
Ministerstwo Zdrowia

Szanowny Panie Ministrze,

Zespoły mielodysplastyczne (MDS) to grupa nowotworów układu krwiotwórczego, która charakteryzuje się dysplazją (nieprawidłowością w budowie) i hiperplazją (rozrostem) szpiku kostnego oraz niedoborem jednej lub większej liczby rodzajów komórek we krwi obwodowej i tendencją do transformacji w ostrą białaczkę szpikową.

Nieefektywna produkcja zdrowych krwinek czerwonych (RBC), białych krwinek i płytek krwi u chorych na MDS może prowadzić między innymi do niedokrwistości. Podstawowym celem terapeutycznym leczenia MDS z grupy niższego ryzyka jest ograniczenie regularnego przetaczania KKCz lub doprowadzenie do uniezależnienia transfuzji u chorych z niedokrwistością. Przetoczenia powodują przemijającą poprawę stanu zdrowia ale stosowane przewlekłe niosą ze sobą szereg negatywnych skutków min. przeładowanie organizmu żelazem co powoduje uszkodzenie organów wewnętrznych - wątroby, serca, stawów, powoduje upośledzenie odporności, skraca czas do wystąpienia ostrej białaczki i skraca czas przeżycia. Obecnie w Polsce chory musi pozostać w szpitalu 24 od przetoczenia KKCz, co prowadzi do przeciążenia oddziałów hematologicznych oraz internistycznych.

W pierwszej linii leczenia MDS niższego ryzyka można skutecznie stosować czynniki stymulujące erytropozę (ESA) . W przypadku chorych, u których zastosowanie czynników stymulujących erytropoezę jest niemożliwe, gdyż leki te nie będą skuteczne (np. z powodu wysokiego stężenia endogennej erytopetyny) lub u chorych, którzy utracili odpowiedź na leczenie ESA obecnie w Polsce niedostępne jest żadne skuteczne leczenie prowadzące do uniezależnienia lub ograniczenia przetoczeń KKCz.

Jedynym lekiem zarejestrowanym w leczeniu MDS niższego ryzyka z obecnością pierścieniowatych syderoblastów, u których wystąpiła niedostateczna odpowiedź na leczenie erytropoetyną, lub którzy nie kwalifikują się do takiego leczenia jest luspatercept.

Zgodnie z wynikami badania MEDALIST zastosowanie leku luspatercept pozwoliło na uzyskanie uniezależnienia się od przetoczeń KKCz na okres co najmniej 8 tygodni u 47% pacjentów, a dłuższe obserwacje potwierdziły utrzymywanie się korzystnego efektu leczenia. Zastosowanie luspaterceptu przełożyło się jednocześnie na ograniczenie negatywnych skutków przetoczeń KKCz, w szczególności związanych z przeładowaniem żelazem. Uniezależnienie od przetoczeń KKCz lub znaczące zmniejszenie zapotrzebowania o 50% (zmniejszenie zapotrzebowania na przetoczenia KKCz osiągnięto u 50,3% chorych otrzymujących luspatercept vs 14,5% w grupie placebo).

**STOWARZYSZENIE POLSKIEJ GRUPY  
DS. BIAŁACZEK U DOROSŁYCH**

ul. Wybrzeże Armii Krajowej 14  
44-100 Gliwice  
tel.: 32 278 85 28  
e-mail.: palg@io.gliwice.pl  
www.palg.pl



Zmniejszenie liczby przetoczeń KKCz oprócz ograniczenia zagrożeń wspomnianych powyżej, oznacza także poprawę jakości i komfortu życia – zamiast częstych, trwających co najmniej dobę pobyków w szpitalu, lek może być podawany w warunkach ambulatoryjnych w postaci iniekcji. **W Polsce chorych na zespoły MDS niższego ryzyka z obecnością pierścieniowatych syderoblastów jest aktualnie około 120 osób. Ten typ zespołów mielodysplastycznych należy zaliczyć do grupy chorób rzadkich.**

Luspatercept jest rekomendowany do stosowania m.in. w wytycznych klinicznych PALG, PTOK, NCCN i ESMO. Był również umieszczony w lutym 2021 r. w wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności. Jednak wobec negatywnej opinii Prezesa AOTMiT polscy pacjenci nie mają już możliwości stosowania leku w ramach procedury RDTL, mimo wyraźnej potrzeby klinicznej.

Lekarze zajmujący się chorymi na MDS w praktyce klinicznej mieli już możliwość zastosowania tej terapii w ramach RDTL u kilku pacjentów w Polsce. Pacjenci uzyskiwali uniezależnienie od przetoczeń KKCZ, przestali wymagać częstych hospitalizacji i jakość ich życia znacznie się poprawiała.

Historia każdego pacjenta dotkniętego chorobą onkologiczną, to nie tylko ogromne wyzwanie i codzienny trud dla niego, ale także jego bliskich. Jeżeli mamy możliwość ułatwić chorym tę nierówną walkę, powinniśmy zrobić wszystko, aby to osiągnąć. Lek luspatercept daje pacjentom realne szanse na poprawę stanu zdrowia.

Dlatego w imieniu własnym, sekcji MDS PALG oraz wszystkich ekspertów walczących codziennie o zdrowie i życie pacjentów, chciałbym zaapelować o refundację luspaterceptu.

Z poważaniem,

W imieniu Sekcji ds. Zespołów Mielodysplastycznych  
**Polskiej Grupy ds. Leczenia Białaczek u Dorosłych(PALG)**

*Prof. dr hab. n. med. Jadwiga Dwilewicz-Trojaczek*  
PRZEWODNICZĄCA SEKCJI

*Dr n. med. Krzysztof Mądry*  
WICEPRZEWODNICZĄCY SEKCJI