

**KONSULTANT KRAJOWY
W DZIEDZINIE ONKOLOGII I HEMATOLOGII DZIECIĘCEJ**

Prof. dr hab. n. med. Jan Styczyński
Katedra Pediatrii, Hematologii i Onkologii
Collegium Medicum, Uniwersytet Mikołaja Kopernika
Szpital Uniwersytecki nr 1 im. dr Antoniego Jurasza
ul. Skłodowskiej-Curie 9; 85-094 Bydgoszcz
Tel: 52 585 4860, email: jstyczynski@cm.umk.pl

KKOHD/10/2023

Bydgoszcz, 6.02.2023r

**Pan
Maciej Miłkowski
Podsekretarz Stanu
Ministerstwo Zdrowia**

Dotyczy: negatywne stanowisko w sprawie procedury wyjazdu polskich dzieci chorych na neuroblastoma do Hospital Sant Joan De Deu w Barcelonie

Szanowny Panie Ministrze,

Działając w imieniu środowiska onkologii i hematologii dziecięcej w Polsce oraz wychodząc naprzeciw napływającym informacjom o procedurze związanym z oferowaniem rodzicom polskich pacjentów pediatrycznych, u których zdiagnozowano neuroblastoma, odpłatnego leczenia w Hospital Sant Joan de Déu w Barcelonie w sposób wprowadzający w błąd i szkodliwy dla chorych dzieci, zwracam się do Pana Ministra z uprzejmą prośbą o przyjęcie i wspieranie mojego negatywnego stanowiska w tej sprawie.

Uzasadnienie:

W ostatnim czasie docierają do mnie liczne głosy na temat działalności związanej z zachęcaniem, a nawet aktywnym wyszukiwaniem w sieci (m.in. Facebook) rodziców polskich dzieci chorych na neuroblastoma w celu zaoferowania odpłatnego leczenia tej jednostki chorobowej w Hospital Sant Joan de Déu w Barcelonie. Z uwagi na szereg niepokojących okoliczności towarzyszących podejmowanym aktywnościom, pragnę zwrócić na nie uwagę Pana Ministra.

I. Zagrożenie dobra chorujących dzieci

Nie ulega wątpliwości, że naczelnym dobrem, które należy chronić w zaistniałej sytuacji jest bezpieczeństwo oraz interes zdrowotny pacjentów pediatrycznych, które w ocenie Konsultanta Krajowego w dziedzinie onkologii i hematologii dziecięcej są w tym przypadku zagrożone.

Neuroblastoma wysokiego (HR-NBL) ryzyka jest nowotworem o bardzo agresywnym. Dzieci, u których zdiagnozowano tę postać prezentują nie tylko zaawansowany guz pierwotny, ale także przerzuty do kości, szpiku kostnego, węzłów chłonnych i wątroby, co powoduje nasilone dolegliwości i zły stan ogólny pacjentów. Przeprowadzenie wyłącznie chemioterapii standardowej pozwalało uzyskać wyleczenie u około 20% pacjentów tej grupy, a po dodaniu megachemioterapii wspomaganą autologicznym przeszczepieniem komórek krwiotwórczych (auto-HCT) u około 40%, natomiast przeprowadzenie dodatkowo swoistej immunoterapii spowodowało wzrost wyleczalności do około

60% wszystkich pacjentów z HR-NBL, a nawet do 75% pacjentów, którzy dobrze zareagowali na początkową standardową chemioterapię. Pominięcie któregośkolwiek etapu leczenia powoduje znaczne pogorszenie rokowania. **Wszystkie opisane powyżej metody dostępne są dla pacjentów w Polsce w ramach ubezpieczenia.**

Obecnie 15-20% pacjentów z HR-NBL źle odpowiada na standardową chemioterapię pierwszej linii, ma wstępnie oporną chorobę i nie kwalifikuje się do dalszych etapów leczenia, w tym wysokodawkowanej chemioterapii i auto-przeszczepienie komórek krwiotwórczych oraz immunoterapii. W trakcie immunoterapii lub po jej zakończeniu u około 25% dzieci występuje wznowa choroby. **Również dla tych pacjentów dostępne jest w Polsce skuteczne leczenie zgodne z najnowszymi standardami leczenia neuroblastoma.** Bardzo ważne jest, że leczenie to dobiera się indywidualnie, w zależności od rodzaju i czasu wystąpienia wznowy, a także obecności zmian genetycznych, które pozwalają na włączenie dodatkowo innego niż immunoterapia leczenia celowanego. Jeżeli pacjent może odnieść korzyści z takiego postępowania, możliwe jest również przeprowadzenie megachemioterapii i terapii izotopowej.

W świetle powyższego, za niedopuszczalne uznać należy wykorzystywanie dramatycznej sytuacji zarówno chorych dzieci, jak również ich rodziców, i przekazywanie im nierzetelnych informacji na temat dostępnego w Polsce leczenia, a także sugerowanie, że wyjazd za granicę i odpłatne leczenie gwarantują osiągnięcie lepszych wyników leczenia. Posługiwanie się niewiedzą rodziców chorych dzieci, a także celowe wprowadzanie w błąd, powinny spotkać się ze zdecydowaną krytyką.

II. Dyskusyjny sposób nawiązywania kontaktu z rodzicami chorych pacjentów oraz przekaz mylących informacji

Wątpliwości budzi sposób nawiązywania kontaktu z rodzicami chorych dzieci. Z przekazanych informacji wynika, że osoby takie są aktywnie wyszukiwane w serwisach społecznościowych oraz jest z nimi podejmowany kontakt, niezależnie od ich inicjatywy i chęci.

Odnosząc się do aspektu czysto ludzkiego, co najmniej dyskusyjne jest, aby przekazywanie rodzinom śmiertelnie chorych dzieci informacji i nadziei o rzekomo bardziej skutecznych i pewnych metodach leczenia było zachowaniem akceptowalnym społecznie. Rodzicom przekazywane są zapewnienia oraz obietnice o szansie na wyleczenie ich dzieci w Barcelonie. W niektórych przypadkach odbywa się to w sposób nachalny, manipulacyjny oraz wykorzystujący reakcje emocjonalne rodziców.

W tym miejscu należy przypomnieć, że pracownicy medyczni nie mogą zobowiązać się wobec pacjenta do osiągnięcia określonego rezultatu, ani też zagwarantować całkowitego wyleczenia. Podstawową zasadą obowiązującą wszystkich przedstawicieli zawodów medycznych jest nakaz postępowania z należytą starannością, nie zaś osiągnięcie danego rezultatu. Lekarz nie może zapewnić pacjenta o skuteczności proponowanej metody terapii, jeżeli nie pozwala na to aktualny stan wiedzy medycznej. Powinien również poinformować chorego o ryzyku niepowodzenia terapii.

Zwracam też uwagę na nieścisłości co do kwestii merytoryczno-medycznej przekazywanych treści dotyczących standardu leczenia neuroblastoma w Hospital Sant Joan de Déu w Barcelonie.

Rodzicom chorych dzieci oferuje się leczenie neuroblastoma wysokiego ryzyka: finansowane ze środków własnych rodzin pacjentów, ewentualnie uzyskanych w ramach publicznych zbiórek, w leczeniu pierwszej linii często pacjentom oferowana jest identyczna lub analogiczna chemioterapia, jaką dostają w Polsce w ramach ubezpieczenia; w lepszych warunkach lokalowych i sanitarnych niż w Polsce; na etapie chemioterapii oraz w dalszych fazach leczenia; według standardu leczenia odmiennego od zaleceń światowych towarzystw naukowych; według standardu leczenia sprzecznego z opiniami kluczowych ekspertów i towarzystw naukowych, zwłaszcza w zakresie zaniechania stosowania megachemioterapii, która według aktualnej wiedzy opartej na EBM jest istotnym etapem leczenia dzieci z HR-NBL; według standardu leczenia opartego jedynie o własne badania obserwacyjne, które cechują się najwyższym poziomem subiektywności pod względem oceny oraz

najniższym poziomem rzetelności danych. Dlatego zwracam uwagę na niebezpieczeństwa wynikające z leczenia dzieci z neuroblastoma według standardu przyjętego w Hospital Sant Joan de Déu w Barcelonie.

Rodzice chorych dzieci dostają nieprawdziwą informację, że megachemioterapia stosowana we wszystkich protokołach leczenia (w Europie, Stanach Zjednoczonych i Kanadzie, Australii, Japonii) jest szkodliwa i nie poprawia wyników leczenia. Pacjenci leczeni w Barcelonie w pierwszej linii leczenia pozbawieni są tej metody leczenia, co może znacząco wpłynąć na szanse trwałego wyleczenia. Aktualne dane wskazują, że megachemioterapia nie tylko jest koniecznym elementem protokołu leczenia, ale dalsza intensyfikacja tej metody, tj. zastosowanie jej dwukrotnie, może przyczynić się do dalszej poprawy wyników, bez znamienego zwiększenia toksyczności. Ponadto, pacjenci w Hospital Sant Joan de Déu w Barcelonie w ramach tzw. leczenia konsolidującego **otrzymują w immunoterapii preparat, który nie ma rejestracji w leczeniu pierwszej linii.** W Polsce i pozostałych ośrodków europejskich współpracujących w ramach grupy SIOPEN pacjenci otrzymują preparat o skuteczności udokumentowanej w leczeniu pierwszej linii. Przeciwciała w Hospital Sant Joan de Déu w Barcelonie podawane są w ramach badań klinicznych lub „off-label”. Wynika z tego, że rodzice są zmuszani do płacenia za udział ich dzieci w badaniach klinicznych, co jest niezgodne z wszelkimi przepisami dotyczącymi prowadzenia badań klinicznych.

Pacjenci z neuroblastoma ze wznową lub progresją choroby w Hospital Sant Joan de Déu w Barcelonie otrzymują leczenie analogiczne do leczenia prowadzonego w Polsce, z zastosowaniem chemioterapii i immunoterapii, różni się ono jedynie rodzajem podawanych przeciwciał. Według opublikowanych danych, **skuteczność obu rodzajów immunoterapii w tej grupie pacjentów jest porównywalna, ale w Polsce pacjenci lek jest refundowany przez NFZ.** Ponadto, pacjentom, u których można zastosować inne metody terapii, takie jak ponowna megachemioterapia, terapia izotopowa lub terapie celowane, w Hospital Sant Joan de Déu w Barcelonie leczenie takie nie jest oferowane.

III. Leczenie neuroblastoma dostępne w Polsce

Należy wyraźnie podkreślić, że przedstawiany proceder jest kontrowersyjny tym bardziej, że w Polsce pacjenci z neuroblastoma mają zapewnione leczenie zgodne ze światowymi standardami i jest ono finansowane jako standard w ramach ubezpieczenia zdrowotnego (chemioterapia indukcyjna, radioterapia, megachemioterapia wspomagana autologicznym przeszczepieniem szpiku kostnego) lub programu lekowego dla immunoterapii B.110 „Leczenie dinutuksymabem beta pacjentów z nerwiakiem zarodkowym współczulnym (ICD-10: C47).” **Światowe towarzystwa naukowe, w tym SIOPEN, zarekomendowały taki standard leczenia neuroblastoma jako optymalny; jest on stosowany również w naszym kraju.** Skuteczność terapii została poparta badaniami klinicznymi, w tym badaniami grupy SIOPEN w ramach protokołu HR-NBL-1/SIOPEN, w którym udowodniono skuteczność megachemioterapii i immunoterapii z zastosowaniem zarejestrowanych w Polsce przeciwciał skierowanych przeciw komórkom NBL, badaniami niemieckiej grupy GPOH jednoznacznie wykazującej w badaniu randomizowanym przewagę megachemioterapii, a także badaniami amerykańskiej grupy COG, udowadniającej w badaniach randomizowanych skuteczność megachemioterapii, podwójnej megachemioterapii oraz immunoterapii.

Leczenie neuroblastoma dostępne w Polsce prowadzone jest zgodnie z aktualnymi europejskimi i światowymi standardami, zgodnie z wiedzą medyczną opartą na faktach i zgodnie z wytycznymi międzynarodowych towarzystw onkologicznych. Pediatryczne ośrodki onkologiczne w Polsce, w odróżnieniu od Hospital Sant Joan de Déu w Barcelonie, należą do Europejskiej Grupy ds. Leczenia Neuroblastoma SIOPEN, mają prawo do stosowania jej protokołów, na bieżąco je modyfikując w zależności od aktualnych analiz statystycznych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa leczenia. NFZ zapewnia finansowanie wszystkich terapii o udowodnionej skuteczności.

Podsumowując, interes zdrowotny polskich pacjentów pediatrycznych jest zabezpieczony w ramach systemu refundacyjnego w naszym kraju. Dzieci chore na neuroblastoma mają zapewniony dostęp do leczenia innowacyjną terapią na europejskim poziomie.

IV. Dalszy los dzieci leczonych z powodu neuroblastoma w Hospital Sant Joan de Déu w Barcelonie po przyjeździe do Polski

Konieczne jest także zwrócenie uwagi na los pacjentów leczonych z powodu neuroblastoma w Hospital Sant Joan de Déu w Barcelonie po powrocie do Polski. Niestety, wbrew obietnicom składanym rodzicom chorych dzieci przed podjęciem decyzji o leczeniu w powyższym ośrodku, skuteczność terapii niejednokrotnie budzi wątpliwości.

Dzieci, które wracają do Polski, ze względu na zły stan zdrowia lub progresję choroby, nadal wymagają leczenia z powodu neuroblastoma lub terapii paliatywnej, jeżeli dalsze leczenie przyczynowe nie jest już możliwe. Co istotne, możliwości polskich lekarzy udzielenia pomocy dzieciom, które przeszły już terapię w placówce Hospital Sant Joan de Déu Barcelonie, są niezwykle ograniczone, zwłaszcza, jeśli nie otrzymały w odpowiednim czasie megachemioterapii.

Zastosowanie u polskich dzieci leczenia w Hospital Sant Joan de Déu w Barcelonie metodą odmienną od standardu rekomendowanego przez światowe towarzystwa naukowe, pozbawia ich szansy na wykorzystanie zalecanej terapii w Polsce.

Mając na uwadze zaistniały proceder oraz autorytet Pana Ministra, zwracam się z uprzejmą prośbą o przyjęcie mojego stanowiska i zabranie głosu w tej sprawie.

Z wyrazami szacunku,

Prof. dr hab. med. Jan Styczyński
Konsultant Krajowy w dziedzinie onkologii i hematologii dziecięcej
[podpis elektroniczny]