



BIULETYN STOWARZYSZENIA POMOCY CHORYM NA GIST

NASZA PODRÓŻ

ROK IV

ISSN 1898-1887 NR. 3/2008

Choroba jest podróżą w czasie, a my jej uczestnikami. W chorobie i życiu szukamy bezpiecznej przystani.



Stowarzyszenie jest członkiem: Europejskiej Koalicji Pacjentów Nowotworowych – ECPC i światowej Organizacji Pacjentów chorych na GIST – GIST Global Network



Global GIST Network
Crossing Borders to Unite Against GIST

Szanowni Państwo,



to już ostatni biuletyn w tym roku. Przez cały rok staraliśmy się rozwiązywać bieżące problemy naszych członków, udzielać pomocy, interweniować u władz, brać udział w życiu stowarzyszeń pacjentów onkologicznych, wydawać biuletyny, wydaliśmy także poradnik dla chorych na GIST w postaci książkowej. Mieliśmy okazję zapoznać z naszymi problemami szerokie forum mediów i wierzymy, że współpraca z nimi będzie przynosiła owoce.

Z perspektywy mijającego roku widzimy, jak wielu spraw nie udało się nam rozwiązać. Nie dokonaliśmy także niestety przełomu w programie lekowym w terapii GIST. Wspólnie z chorymi na przewlekłą białaczkę szpikową i chorymi na raka nerek zdołaliśmy wprowadzić zapobieg wcieleniu do praktyki złego rozporządzenie prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia. To rozporządzenie, wprowadzone do praktyki, spowodowałoby przedwczesną śmierć wielu chorych. Pani minister zdrowia zareagowała bardzo szybko i skutecznie. Nie znaczy to jednak, że dokonał się znaczący przełom. Nie zmieniliśmy złych praktyk w niektórych ośrodkach ani nie mamy wpływu na tworzone nowe przepisy. Te przepisy dotyczą nas - pacjentów, ale wcale nie oznacza to, że są podejmowane w naszym interesie.

Głos pacjentów, nawet jeśli biorą udział w naradach, nie jest brany pod uwagę. Nasza obecność ma znaczenie czysto dekoracyjne.

W sytuacji gdy na nowotwory zapadnie co trzeci obywatel naszego kraju, a co czwarty umrze z tego powodu, brak wyraźnych działań ze strony władz nie znajduje żadnego usprawiedliwienia. To jest zamykanie oczu na rzeczywistość i pobożne życzenie, że problemy same znikną lub że to następcy będą je rozwiązywali.

W dalszym ciągu brakuje nam chętnych do pomocy w pracach Zarządu Stowarzyszenia. Dziękuję Paniom Teresie Zielińskiej i Lucynie Królikowskiej, które podjęły trud wysyłki biuletynów i poradnika pacjentów. To była bardzo cenna pomoc. Przecież to jest każdorazowo kilkaset kopert. Nasze materiały wysyłamy do licznych lekarzy, ośrodków i szpitali oraz naszych członków.

Potrzebujemy jednak np. kogoś, kto będzie dbał o naszą zaniebawaną stronę internetową. Nie mam już czasu na systematyczne przesyłanie aktualności, a strona to jest nasza wizytówka.

Trzeba uaktualniać i wysłać materiały do administratora. To tak na początek... Mam nadzieję, że taka osoba znajdzie się po tym apelu. To nie będzie zbyt absorbujące zajęcie.

Wyjaśnienie

Poprzedni numer naszego biuletynu był obarczony licznymi błędami redakcyjnymi. Przepraszam, ale wysłałem do składu materiały sprzed korekty. Skorygowane zostały „w domu”.

Uwaga! Prosimy o uregulowanie zaległych składek członkowskich. Nieuregulowanie ich, zgodnie ze statutem, będzie skutkowało skreśleniem z listy członków Stowarzyszenia

Stanisław Kulisz

Spokojnych Świąt!

*Z okazji Świąt Bożego Narodzenia i Nowego Roku 2009
mamy przyjemność złożyć Państwu
najserdeczniejsze życzenia zdrowia, wszelkiej pomyślności
w życiu osobistym oraz sukcesów w pracy zawodowej.
Niech szczęście i optymizm nigdy Państwa nie opuszczają,
a wiara dodaje sił w codziennej walce z przeciwnościami,
których oby było jak najmniej.*

życzy Stowarzyszenie pomocy Chorym na GIST



Onko - Bieg



W dniu 7 września br. w Warszawie na terenie Centrum Onkologii odbył się Onko-Bieg. Była to impreza zorganizowana przez nasze bratnie Stowarzyszenia Sarkoma. Jej otwarcia dokonał burmistrz dzielnicy Ursynów Pan Tomasz Mentina i kierownik Kliniki Nowotworów Miękkich i Kości Pan docent Włodzimierz Ruka. Było to niezwykle wydarzenie, które zgromadziło kilkuset uczestników, z których ok. 250 wzięło udział w biegach; bieg na 2,5 km dla dzieci i starszych oraz na 5 km dla dorosłych. Niezwykle był udział chorych, na protezach, którzy dzielnie zmagali się z dystansem. Towarzyszyły temu możliwości zbadania ciśnienia krwi.

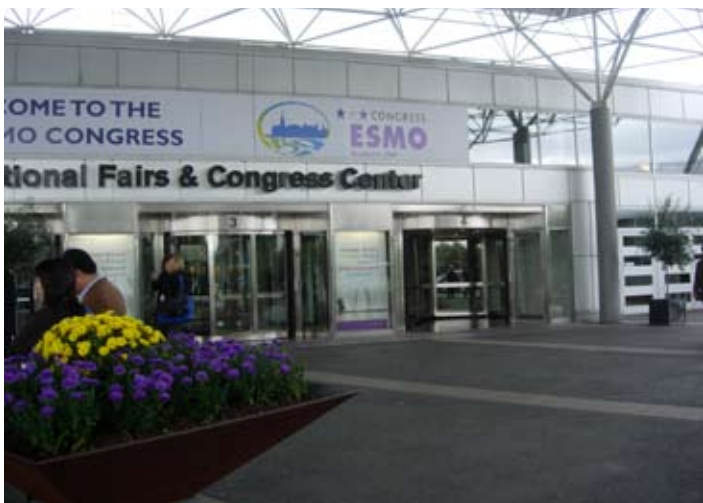
Uczestnicy zostali poczęstowani owocami i słodyczami. Impreza miała zabezpieczenie medyczne, a bezpieczeństwo zapewniała specjalna straż. Po biegu odbył się koncert rockowy.

Składamy organizatorom wyrazy najgłębszego uznania za tak wspaniale zorganizowaną imprezę.

Europejska Konferencja ESMO Seminarium pacjentów

W dniach 13-14 września 2008 r. odbyło się w Sztokholmie siódme seminarium pacjentów w ramach europejskiej konferencji ESMO. Wyjątkowo nieliczna grupa pacjentów z Europy wzięła udział w tym spotkaniu. Obecne były przede wszystkim organizacje reprezentujące często występujące nowotwory. Szczególnie dużo uwagi poświęcono nowotworom piersi, prostaty, jelita grubego, płuc i nowotworom hematologicznym.

Jak zawsze nie zabrakło doniesień o nowych badaniach klinicznych i nadziejach z nimi związanych. Ciekawe były referaty mówiące o perspektywach dla pacjentów, perspektywach medycznych i politycznych.



Omawiano aspekty towarzyszące chorowaniu i terapii, takie jak: medyczne, społeczne, psychologiczne, rehabilitację itp. Szczególnie terapia jest wciąż pełna niewiadomych i jeden z referentów nazwał ją tańcem z diabłem.

Gospodarze „chwalili” się swoim systemem opieki zdrowotnej ze szczególnym uwzględnieniem leczenia chorób nowotworowych. Nawet i tam mają oni jednak pewne problemy wynikające głównie z rozproszenia populacji. Oczywiście chętnie zamienilibyśmy nasze kłopoty na te, które oni odczuwają.

Konferencja medyczna ESMO, która odbywała się równoległe z tą dla pacjentów, zgromadziła ogromną liczbę lekarzy. Mówiono o liczbie 9000. Byli liczni lekarze z Polski, ale najliczniejsi z Chin. To nowość w praktyce konferencji.

Konferencja poświęcona leczeniu GIST

W dniu 3 października br. odbyła się w Warszawie konferencja medialna poświęcona tematyce leczenia GIST. Liczny był w niej udział stacji telewizyjnych, stacji radiowych i dziennikarzy piszących. Tematyką konferencji było:

GIST Model Nowoczesnego Leczenia Nowotworów.

Konferencję poprowadził Pan docent Włodzimierz Ruka, a referaty wygłosili: dr Piotr Rutkowski, dr Czesław Osuch i piszący te słowa, a reprezentujący pacjentów Stanisław Kulisz.

Nasi lekarze mają wszelkie powody do dumy ze swych osiągnięć w leczeniu GIST. Wypracowano skuteczne modele leczenia, wprowadzono nowoczesne leki, zaist-

niała współpraca pomiędzy ośrodkami w kraju i na świecie. Wyniki leczenia przełożone na czas przeżywalności są na poziomie światowym. Mamy modelowe zespoły multidyscyplinarne w wielu ośrodkach, istnieje Rejestr Kliniczny GIST. Jestem przekonany, że te wyniki zostały zauważone przez przedstawicieli mediów. Niezależnie od osiągnięć omówiono też nie-



dardowych, na niedopuszczalne różnice w opiece leczniczej chorych na GIST w różnych ośrodkach. To jest sprawa życia lub śmierci pacjentów. Niestety, chorzy w tzw. dobrych ośrodkach mają o wiele większe szanse na przedłużenie życia niż ci w tych gorszych. To

dostatki w systemie, głównie związane z brakiem kompleksowego i satysfakcjonującego programu lekowego NFZ.

Mówiąc o sytuacji chorych, położyłem szczególny nacisk na trudności w refundacji terapii niestan-

absurdalne, ale szanse na życie zależą od tego, gdzie się mieszka i gdzie się leczy, mimo że żyjemy w tym samym kraju.



Warsztaty Edukacyjne



20 października 2008 odbyły się Ogólnopolskie Warsztaty Edukacyjne organizowane przez Polską Unię Onkologii.

Program Warsztatów.

Część 1. Siła organizacji, czyli jak zbudować pozycję stowarzyszenia

Prowadził pan Jerzy Szablewski, prezes Stowarzyszenia Wszechstronnego Rozwoju „Puenta”.

Gośćmi specjalnymi byli Pani Krystyna Barbara Kozłowska dyrektor Biura Praw pacjenta przy Ministrze Zdrowia, Aleksandra Piątek rzecznik Praw Pacjenta przy NFZ.

Część 2. Prowadził pan Marcin Kluś

z kancelarii radców prawnych Budzowska, Fiutowski i Partnerzy. Temat: „Siła argumentu, czyli jak stowarzyszenie może dbać o prawa pacjenta”.

Program był ciekawy i poruszał bardzo istotne sprawy związane z funkcjonowaniem stowarzyszeń jako organizacji i roli lidera w grupach. Istotne są: dobra współpraca pomiędzy członkami zespołów, kontakt otoczeniem i rozwój organizacji. Lider i członkowie zespołu są ambasadorami organizacji. To co mówią

na forum publicznym ma wpływ na wizerunek stowarzyszenia. Nie ma i nie będzie Stowarzyszenia bez lidera i wspierających go członków.

Obecna była i notowała Krystyna Takahashi.



Zespół MSK odkrywa nową rzadką mutację

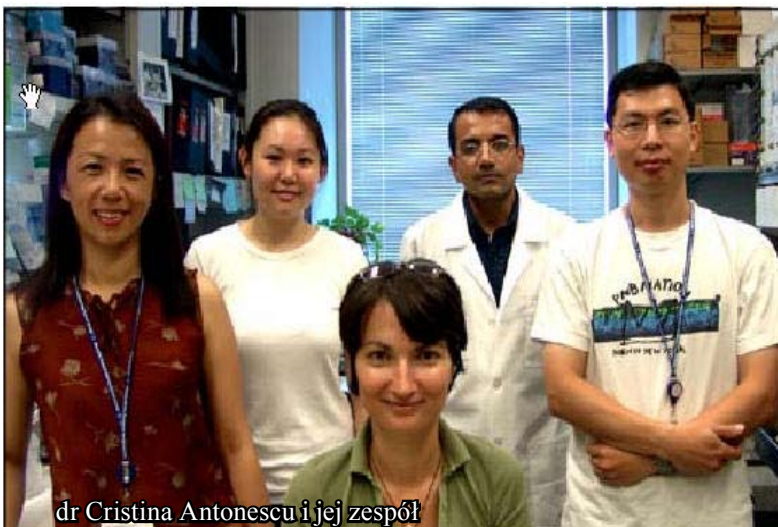
GIST jest wciąż modelowym nowotworem, zwłaszcza gdy weźmie się pod uwagę liczbę prac naukowych poświęconych zagadnieniu związanych z tą chorobą. Najsilniejsze ośrodki na świecie starają się możliwie szybko i skutecznie odpowiadać na pojawiające się wyzwania. To jest niezmiernie imponująca sytuacja. Nie od rzeczy będzie tu odnotować także prace polskich naukowców. Artykuł ten polecam uwadze licznych i zaangażowanych polskich lekarzy. Miałem okazję spotkać wielu z nich i jestem mile zaskoczony ich postawą. Gdyby takich lekarzy było więcej, to życie chorych byłoby o wiele łatwiejsze. Niestety rzeczywistość widziana z perspektywy Stowarzyszenia bywa niekiedy traumatyczna.

Naukowcy z Memorial Sloan-Kettering Cancer Center (MSKCC) w Nowym Jorku odkryli rzadką mutację w niektórych GIST. Wśród 61 pacjentów z GIST typu „wild” znaleziono trzech (5%) z mutacjami w genie BRAF. Identyczne zjawisko, czyli mutacja punktowa V600E w 15 eksonie genu BRAF, często występuje w przypadku czerniaków. Naukowcy odkryli ponadto identyczną mutację u jednego z 28 chorych z GIST, którzy wykazywali oporność na Glivec.

Przewodniczącą grupy badawczej była dr Cristina Antonescu, jeden z członków zespołu badawczego LRG.

Najczęstsze mutacje w GIST występują w genie KIT i po raz pierwszy zostały zauważone przez dr. Seiichiego Hirotę z Hyogo College of Medicine w 1998 r. Mutacje KIT mają miejsce w ok. 80% przypadków zachorowań na GIST. Pozostałe 20% przypadków określono mianem „wild-type” GIST, co miało oznaczać, że KIT pozostał w swojej pierwotnej postaci, nie zmieniony. W 2003 r. badacze odkryli, że w ok. jednej trzeciej tych GIST typu „wild” przyczyną choroby były mutacje w PDGFRA. Odkrycie to było skutkiem wspólnego wysiłku doktorów Jonathana Fletchera z Brigham & Women's Hospital, George'a Demetri z Dana-Farber Cancer Institute oraz doktorów Michaela Heinricha i Christophera Corlessa z Oregon Health and Science University. Również dr Hirota doniósł o mutacjach PDGFRA mniej więcej w tym samym czasie. Pozostaje więc od 12 do 15% dorosłych chorych na GIST, u których mechanizm mutacji jest wciąż nieznanym. W 2005 r. dr Antonescu i pracownicy jej labora-

torium odkryli, że wystąpiła nadmier- na ekspresja niektórych genów u dzieci z GIST, w tym genu IGF-1R. W większości przypadków u dzieci wykryto GIST typu „wild”. Doktor Andrew Godwin z Fox Chase Cancer Center w 2008 r. potwierdził nadekspresję genu IGF-1R u dzieci oraz stwierdził jej występowanie również u dorosłych z GIST typu „wild”.



dr Cristina Antonescu i jej zespół

W 2007 r. doktorzy P. Aidan Carney, Constantine Stratakis i ich współpracownicy z Carney-Stratakis Dyad Consortium odkryli mutacje w genie SDH powodujące rzadką odmianę rodzinnego GIST, noszącego nazwę zespół Stratakisa. Trzy przypadki mutacji BRAF, znalezione wśród 61 pacjentów z GIST typu „wild” nigdy nie zażywiających preparatu Glivec, miały podobne cechy. Były to trzy pacjentki w średnim wieku (od 49 do 55 lat) z pierwotnymi guzami w jelicie cienkim. W przeciwieństwie do nich, nie stwierdzono żadnych mutacji u 5 młodych ludzi (powyżej 18. i poniżej 30. roku życia) oraz u 15 dzieci (poniżej 18 roku życia).

Oprócz mutacji w genie BRAF, stwierdzonych u pacjentów z GIST typu „wild”, zespół MSK odkrył identyczną mutację u pacjenta z wtórną opornością na

Glivec. Przebadano 28 guzów u 26 pacjentów wykazujących oporność na Glivec, której mechanizm jest nieznanym. Pacjent z wtórną mutacją genu BRAF był 66-letnim mężczyzną z pierwotnym guzem w żołądku i mutacją genu PDGFRA w 18 eksonie (delecja czterech aminokwasów o numerach 842-845). Białko BRAF to jeden z elementów szlaku sygnalizacyjnego, aktywowane przez wiele receptorów, w tym przez KIT. Wspomniana mutacja występuje w połowie przypadków zachorowań na czerniaki. Klinicznie dostępny lek Nexavar (sorafenib) przeszedł testy kliniczne w leczeniu czerniaków. Nexavar blokuje kilka różnych celów, w tym BRAF, KIT, VEGFRs, CRAF i PDGFRB. Pomimo że Nexavar in vitro wykazuje aktywność skierowaną przeciwko mutacji V600E genu BRAF, to w próbach klinicznych prawie nie oddziałuje na czerniaka. Przyczyny takiego stanu rzeczy są wciąż niejasne. Czy dzieje się tak dlatego, że Nexavar nie jest zdolny do wystarczającej blokady BRAF

czy też dlatego, że istnieje inny ważny czynnik odpowiedzialny za powstawanie czerniaka, na który Nexavar nie ma wpływu? Nawet jeśli kliniczna aktywność Nexavaru względem mutacji genu BRAF pozostaje do końca niejasna, preparat ten wykazał się znaczną aktywnością w odniesieniu do innych istotnych czynników, w tym zmutowanego KIT (zwłaszcza gdy chodzi o wtórną mutację w obrębie 14 eksonu T670I) i KIT typu „wild”. Nexavar znajduje się w drugiej fazie prób dla GIST opornych na działanie leków Glivec i Sutent. Inne, silniejsze inhibitory BRAF są w stadium rozwoju. W przypadku pacjentów GIST z mutacjami genu BRAF kilka pytań wciąż pozostaje bez odpowiedzi. Czy KIT nadal jest aktywowany i/lub odgrywa istotną rolę? Co jest ważniejsze: mutacja BRAF czy aktywacja KIT? Czy dla uzyskania odpowiedzi na leczenie wystarczy inhibicja aktywacji BRAF, czy będzie też niezbędna jeszcze inhibicja KIT? Biorąc pod uwagę rzadkość występowania tej mutacji, uzyskanie odpowiedzi na postawione pytania może nastęrczać trudności. Pozostaje ponadto pytanie o to, kiedy/czy dla wybranych pacjentów z GIST zostanie zalecone testowanie mutacyjne.

*Jerry Call - naukowy koordynator LRG
(październik 2008)*

Znaleziono nowy cel molekularny dla GIST dziecięcego i GIST typu „wild”

Brak mutacji (dzika mutacja) to zjawisko w chorobie GIST, które jest przedmiotem szczególnej troski i uwagi badaczy. Występuje ono szczególnie często w GIST-ach dziecięcych, ale też (rzadziej) u chorych dorosłych. Brak pewnej i skutecznej terapii w tych przypadkach od lat spędza sen z powiek naukowcom. Jak państwo mogą się zorientować z poniższego artykułu, prace nad rozwiązywaniem problemów są bardzo zaawansowane. W Polsce nasi lekarze, mają do czynienia z takimi przypadkami i intensywnie poszukują możliwie najlepszych procedur w walce z chorobą.

GIST typu „wild”, występujący bez mutacji któregośkolwiek z dwóch genów, w których zazwyczaj zachodzi mutacja w przypadku GIST, przeważnie słabo reaguje na Glivec. Wydaje się, że doktor Andrew Godwin z Fox Chase Cancer Center oraz inni naukowcy znaleźli główną przyczynę powstawania tego typu guzów. Dr Godwin zaprezentował rezultaty swoich badań na spotkaniu Amerykańskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej (ASCO), które się odbyło 31 maja 2008 r. w Chicago. Jego praca miała ukazać się drukiem 1 czerwca 2008 r. w Biuletynie Narodowej Akademii Nauk USA (Proceedings of the National Academy of Sciences).

Skuteczne leki celowane, takie jak Glivec, działają na zasadzie hamowania szlaków sygnałowych, kluczowych dla konkretnego typu raka. Glivec blokuje nieprawidłową transdukcję sygnału, spowodowaną przez mutacje KIT i PDGFRA (choć niektóre z tych mutacji są odporne na Glivec). Mutacje w obrębie KIT występują w ok. 80% przypadków GIST, a mutacje PDGFRA są powodem od 5% do 8% zachorowań na GIST. Pozostałe 10%-15% GIST, w których nie występuje mutacja KIT bądź PDGFRA, noszą nazwę GIST typu „wild”.

Mutacje powodujące zmianę kształtu i funkcji białek są jedną (ale nie jedyną) z przyczyn zaburzenia przenoszenia sygnału w komórkach rakowych. Niekiedy w komórkach nowotworowych jest zbyt dużo (albo zbyt mało) białka (podwyższona ekspresja). Godwin i jego współpracownicy z Fox Chase odkryli, że GIST typu „wild” ma dodatkowe kopie receptora genu insulinopodobnego czynnika wzrostu 1 (IGF1R) i to one wytwarzają za dużo białka IGF1R.

Dwie grupy naukowców – dr Cristina Antonescu i jej współpracownicy z Memorial Sloan-Kettering Cancer Center oraz dr Godwin ze swoimi współpracownikami – wykazały, że IGF1R cechuje nadmierna ekspresja również w GIST występującym u dzieci (inny rodzaj GIST typu „wild”).

W wywiadzie udzielonym Michaelowi Smithowi z Medpage Today, dr. Godwin powiedział: „Jesteśmy naprawdę podekscytowani, ponieważ uważamy, że właśnie odkryliśmy czynniki onkogeniczny, odpowiedzialny za powstawanie GIST typu „wild”. Właśnie teraz prowadzimy rozmowy z firmami odnośnie możliwości przeprowadzenia prób klinicznych”.

Zespół Godwina przetestował inhibitor IGF1R, NVP-AEW541 (Novartis)

IC50 for wild-type KIT	
Nilotinib	35 nmol/L
Sunitinib	245 nmol/L
Dasatinib	316 nmol/L
Sorafenib	910 nmol/L
Imatinib	3,132 nmol/L



na odpowiadających na Glivec oraz opornych na Glivec komórkach guzów i odkrył, że powodował on cytotoksyczną odpowiedź w monoterapii oraz silną odpowiedź cytotoksyczną w połączeniu z preparatem Glivec.

W wywiadzie dla strony internetowej Medpage Today Godwin powiedział, że Fox Chase przeprowadza obecnie testy na mutacje w obrębie KIT i PDGFRA oraz przygotowuje testy, które będą wykorzystywane w praktyce klinicznej do pomiaru poziomu IGF1R w GIST.

Chociaż Godwin odkrył, że IGF1R cechuje wysoka nadekspresja w GIST typu „wild” w porównaniu z GIST, gdzie występują mutacje KIT lub PDGFRA, odnotował on w swojej prezentacji dla ASCO również ten fakt, że IGF1R znajduje się w stanie pobudzenia zasadniczo we wszystkich rodzajach GIST. C. Bracconi i jego współpracownicy wykazali, że receptor IGF1 (IGF1R) i dwa czynniki wzrostu IGF (ligandy) mogą ulegać nadekspresji w niektórych GIST i że wyższe poziomy ekspresji IGF1 i IGF2 korelują z szybszym nawrotem choroby po resekcji pierwotnych guzów. Nasuwa się zatem pytanie, czy lek blokujący IGF1R będzie skuteczny również w leczeniu GIST z mutacjami KIT lub PDGFRA, czy też nie.

W artykule opublikowanym 15 maja 2008 r. w Clinical Cancer Research, dr Cristina Antonescu potwierdziła swoje wcześniejsze odkrycie, że nadekspresja IGF1R występuje w GIST dziecięcym, opowiadając się tym samym za stosowaniem leku blokującego IGF1R w leczeniu GIST typu „wild” oraz GIST występujących u dzieci. Ponadto dr Antonescu przetestowała kilka najczęściej stosowanych inhibitorów KIT na komórkach zmodyfikowanych w taki sposób, by wykazywały zależność od aktywności kinazowej KIT typu „wild” (nie zmutowanego). Wśród owych pięciu najbardziej popularnych inhibitorów KIT Glivec okazał się najmniej skuteczny w blokowaniu nie zmutowanego KIT (zob. tabelę). Pomimo że w GIST typu „wild” nie występuje mutacja KIT, wiadomo, że białko KIT ulega silnej aktywacji i dotychczas było celem molekularnym numer jeden w leczeniu GIST typu „wild”, w tym GIST występujących u dzieci. Czas pokaże, czy lekiem, którego celem molekularnym będzie zarówno KIT, jak i IGF1R, okaże się niezbędny w zwalczaniu GIST typu „wild”.

Nowe odkrycia i możliwość nowych prób klinicznych są źródłem nowej nadziei zarówno dla dzieci, jak i dorosłych z GIST typu „wild”.

(czerwiec 2008)

Nowe sposoby leczenia przypadków z mutacją D842V

Skuteczne leki na metastatyczny GIST pojawiły się w 2000 roku, kiedy to Glivec zmienił podejście do leczenia GIST. Leczenie za pomocą preparatu Glivec przyniosło znaczącą poprawę w przypadku 85% pacjentów z GIST, co spektakularnie przewyższało dotychczasowy wskaźnik w wysokości 5%. Na te 15% pacjentów nie reagujących na Glivec składa się kilka grup, w tym niektórzy pacjenci z GIST typu „wild” (brak wykrywalnej mutacji w KIT lub PDGFRA, dwóch genach najczęściej ulegających mutacji w przypadku GIST). Inną dużą grupę pacjentów o tendencji do braku odpowiedzi na Glivec stanowią pacjenci z najczęściej spotykaną mutacją w PDGFRA – mutacją D842V w eksonie 18. Mutacja ta nie jest podatna również na leczenie za pomocą preparatu Sutent. Pacjenci z mutacją D842V w PDGFRA stanowią od 4 do 5% wszystkich pacjentów z GIST. Maria Debiec-Rychter, M.D, Ph.D., z Katolickiego Uniwersytetu w Leuven, Belgia, oraz jej współpracownicy ostatnio zidentyfikowali dwa leki, które hamują mutację PDGFRAD842V i reprezentują obiecujące nowe sposoby leczenia pacjentów z taką mutacją. Barbara Dewaele jest pierwszym autorem pracy, która została niedawno opublikowana w Clinical Cancer Research. Debiec-Rychter jest członkiem ekipy badawczej LRG i badania te zostały częściowo sfinansowane przez Life Raft Group.

Ekipa naukowców z Leuven odkryła, że dasatinib i IPI-504 są skutecznymi inhibitorami mutacji PDGFRAD842V w warunkach laboratoryjnych. Przeprowadzono eksperymenty na komórkach Ba/F3 (komórki odpowiednio spreparowane do testowania specyficznych mutacji) oraz na komórkach nowotworowych pobranych od pacjenta z mutacją PDGFRAD842V. Dasatinib okazał się niezwykle

skuteczny dla opornych na Glivec przypadków przewlekłej białaczki szpikowej (CML) i został zatwierdzony do jej leczenia w USA oraz innych krajach. Dasatinib jest produkowany przez Bristol-Myers Squibb, a jego nazwa handlowa w USA brzmi Sprycel, natomiast w okresie próbnym jest/był nazywany BMS-354825. Po powolnym rozwoju pierwszej fazy prób, obejmującej 18 pacjentów z GIST, obecnie odżywa zainteresowanie dasatinibem, gdy chodzi o leczenie GIST – przynajmniej w odniesieniu do niektórych niezbadanych dotąd populacji. W Szwajcarii otwarto drugą fazę prób dla pacjentów z GIST nigdy nie leczonych Glivekiem (tzw. leczenie pierwszego rzutu bądź pacjenci „Gleevec-naive”: nie stykający się dotąd z preparatem Glivec). Oporni na Glivec pacjenci z GIST są wybierani również do drugiej fazy próby dasatinibu w przypadku zaawansowanych nowotworów złośliwych w USA. IPI-504 też skutecznie hamuje mutację PDGFRAD842V w warunkach laboratoryjnych, działając przy tym inaczej niż dasatinib.

Podczas gdy dasatinib hamuje sygnał PDGFRA, nie niszcząc jednocześnie białka [produkowanego przez] PDGFRA, leczenie za pomocą IPI-504 powoduje zniszczenie tego białka. IPI-504 jest inhibitorem HSP90 produkowanym przez Infinity Pharmaceuticals. Znajduje się w trzeciej fazie prób dla pacjentów z GIST wykazujących się opornością na Glivec i Sutent.

Life Raft Group



prof. M. Debiec-Rychter

Deklaracja

Proszę o przyjęcie mnie w poczet Stowarzyszenia Pomocy Chorym na Gist

Nazwisko i imię

PESEL

Adres zamieszkania.....

Adres do korespondencji.....

Telefony

Adres e-mail

choruje na Gist Tak Nie

Placówka prowadząca leczenie.....

.....

Podpis i data

Testy osocza

– dlaczego jest to ważne i jak to robić

Life Raft Group wiele mówiła ostatnio o testach [poziomu leku w] osoczu. Wielu pozostałych przy życiu pacjentów z GIST oraz ich opiekunów zadawało pytania na temat znaczenia i wagi takiego testowania oraz procedur z nim związanych. W tej publikacji mamy nadzieję nieco naświetlić ten proces. Obecny artykuł autorstwa Jerry'ego Calla, Naukowego Koordynatora LRG, wyjaśni jego znaczenie oraz omówi prezentację dra George'a Demetri na sympozjum na temat raków żołądkowo-jelitowych, które odbyło się w roku 2008.

Korelacja poziomów stężenia imanitibu w osoczu pacjentów z GIST

Wyższa koncentracja preparatu Glivec we krwi jest wprost proporcjonalna do lepszych rezultatów klinicznych – tak uważa George Demetri, M.D., z Dana-Farber Cancer Institute. W wywiadzie z Peggy Peck zamieszczonym na stronie internetowej Medpage Today dr Demetri powiedział, że poziom stężenia imatinibu w osoczu nie ma związku z wiekiem, płcią, zakresem zmian chorobowych czy masą ciała. „Do określenia stężenia imatinibu testowanie farmakokinetyczne jest naprawdę niezbędne ze względu na brak innych wskazówek”, poinformował dr Demetri na sympozjum. Odkrycie to sugeruje, że „mogliśmy podawać niektórym pacjentom zbyt małe dawki”, powiedział Demetri. Jego sprawozdanie bazuje na analizie danych farmakokinetycznych,

pochodzących z początku drugiej fazy próby leku Glivec na grupie chorych z GIST (B2222), rozpoczętej w lipcu 2000 roku. Określono poziomy stężenia leku w osoczu (osocze jest jednym ze składników krwi) u 73 ze 147 pacjentów biorących udział w próbie, po 29 dniach podawania im preparatu Glivec. Te poziomy stężenia zgrupowano w kwartyle zgodnie z najniższym poziomem stężenia imatinibu (IM) w osoczu (chodzi o poziom stężenia leku we krwi w jego najniższym punkcie w ciągu dnia, bezpośrednio przed zażyciem przez pacjenta dziennej kapsułki Glivecku). Stężenia leku w osoczu oraz wskaźniki odpowiedzi na lek, zaobserwowane w tych grupach, podano w poniższej tabeli. Autorzy doszli do wniosku, że „osiągnięcie adekwatnego stężenia imatinibu wydaje się korelować z kliniczną korzyścią; pacjenci z najniższym stężeniem imanitibu wykazują naj-

niższą obiektywną odpowiedź i najkrótszy czas dzieli ich od progresji. Wyniki te sugerują, że monitorowanie farmakokinetycznych/farmakodynamicznych zależności może dostarczyć nowych markerów predykcyjnych oraz że pozyskanie adekwatnego najniższego poziomu koncentracji imatinibu w osoczu (>1,110 ng/mL) jest istotne dla uzyskania optymalnej odpowiedzi klinicznej”.

Relacja wideo jest dostępna na stronie www.liferaftgroup.org/library_videos.html. Dr Demetri wyjaśnił, że „kiedy się podaje Glivec bądź jakikolwiek inny inhibitor kinazy [białkowej] grupie pacjentów, ich reakcje będą bardzo zróżnicowane: niektóre osoby będą miały wysokie poziomy stężenia leku, inne będą miały niskie poziomy... Istotne jest tu pytanie, czy przez lata nie podawaliśmy pacjentom zbyt małych dawek leku i czy należy wprowadzić praktykę testów krwi dla sprawdzenia poziomów stężenia leku we krwi pacjentów w celu uzyskania większej pewności, że ów poziom stężenia jest poziomem terapeutycznym”. Demetri kontynuował wyjaśnienia: „jest możliwe, że po wykonaniu tego badania niczego nie wykryjemy, ale faktycznie dostrzegliśmy coś niepokojącego, gdy chodzi o pacjentów z najniższymi poziomami stężenia leku”. Zdaniem Demetriego, następnym krokiem będzie „...dyskusja z naszymi kolegami, podjęcie decyzji, na ile taki projekt jest wart realizacji, oraz ustalenie, w jaki sposób zorganizować próbę na szeroką skalę”.

Plasma levels and response rates

	Objective Response	Median Time to Progression	Objective Response Exon 11 patients
Quartile 1 <1,110 ng/ml	44%	11.3 months	55.6%
Quartile 2+3) >1,110 ng/ml - <2,040 ng/ml	67%	30.6 months	94.1%
Quartile 4) >2,040 ng/ml	74%	33.1 months	92.3%

Rutynowe testy mutacyjne i testy osocza krwi

Nadszedł już czas

Nasi amerykańscy koledzy przywiązują dużą wagę do testów osocza krwi, upatrując w nich sposobów zintensyfikowania skuteczności terapii. W Europie podejście do tego jest sceptyczne. Ocenę racji stron pozostawiam Państwu.

Testowanie mutacyjne

Zalecanie rutynowych testów mutacyjnych w trakcie diagnozowania pacjentów z GIST wydaje się naglące dla pacjentów i pewnej liczby specjalistów w dziedzinie GIST, którzy zaczęli wprowadzać je do swojej medycznej praktyki. Nadal prowadzi się dokumentację zależności pomiędzy stanem mutacji a leczeniem GIST za pomocą imatinibu, sunitinibu i innych leków. Wydaje się na przykład bezsporne, że sunitinib był skuteczny w przypadku pacjentów ze zmutowanym eksonem 11, a ponadto, że pacjenci z mutacją w eksonie 9, którym podawano imatinib, lepiej reagowali na większe dawki. Mimo że wzrasta nasza wiedza na ten temat oraz że testy mutacyjne dostępne są w małej lecz ciągle rosnącej liczbie laboratoriów, większości pacjentów z GIST wciąż nie wykonano takiego testu, a większość stosowanych praktyk leczenia nadal nie traktuje testu mutacyjnego jako rutynowej części procesu oceny stanu pacjenta. Testowanie mutacyjne dla pacjentów z GIST po raz pierwszy przedstawiono w 2000 roku w oparciu o badania naukowe i obecnie, po 8 latach, testowanie to wciąż pozostaje w dużej mierze na etapie badań.

Dla pacjentów z GIST, którzy przeszli już zabieg chirurgiczny (czyli dla większości tych pacjentów), test wymaga przesłania próbki tkanki ze szpitala, w którym przeprowadzono operację, do jednego z laboratoriów przeprowadzających takie testy.

Testowanie osocza krwi

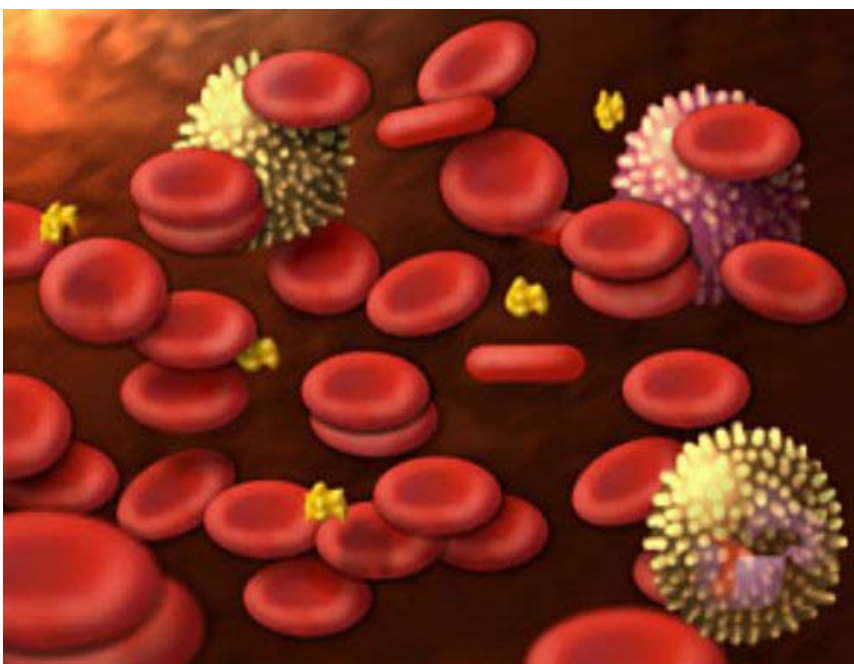
Uzasadnienie praktyki rutynowych testów osocza rozwijało się nieco wolniej, głównie za sprawą badań nad CML (przelekła białaczka szpikowa). W ubiegłym roku ukazało się kilka artykułów sugerujących istnienie zależności pomiędzy najniższymi poziomami imatinibu a pozytywnym przebiegiem leczenia chorych na GIST – przynajmniej w przypadku pacjentów ze zmutowanym eksonem 11. Istnieje przypuszczenie, że chorzy na GIST z najniższymi poziomami [imatinibu] powyżej 1100ng/ml mogą mieć dłuższy czas przeżycia bez progresji niż ci, których wskaźniki znajdują się poniżej tego poziomu. W czerwcu br. na międzynarodowym zjeździe przedstawicieli stowarzyszeń pacjentów chorych na GIST jednogłośnie przyjęto Powszechną Deklarację Stowarzyszenia Chorych na GIST, nawołującą do przeprowa-



dzania rutynowych testów osocza krwi u cierpiących na tę chorobę. W sierpniu br. wiodący amerykański onkolog napisał do jednego ze swoich pacjentów, że takie testy dla chorych na GIST nie są konieczne i że nie będzie korygował dawki leku na podstawie wyników takiego testu. Jego postawa prezentuje punkt widzenia, który w środowisku lekarzy nie jest odosobniony. Jaki jest powód takiej rozbieżności zdań pomiędzy rzecznikami pacjentów a środowiskiem medycznym? Zapraszam to ostatnie do wypowiedzi w najbliższym Biuletynie LRG (Life Raft Group). Z naszej strony przemawiające za tym racje mają dwójakie uzasadnienie.

Badania. Dane o stanie osocza byłyby pomocne w badaniach nad dawkami imatinibu i wyjaśnieniu różnic między najnowszymi danymi, którymi dysponuje LRG, wskazującymi na związek pomiędzy wyższymi poziomami imatinibu i ogólnym przeżyciem a danymi pochodzącymi z formalnych MetaGIST badań, z których wynika, że wspomniany wyżej związek nie istnieje. Takie dane pomogłyby ustalić, czy kluczowym wyznacznikiem ogólnego przeżycia nie jest raczej poziom imatinibu w osoczu krwi niż wysokość jego dawki. Wyjaśniłoby to, dlaczego niektórzy pacjenci GIST otrzymujący niższe dawki imatinibu nadal czują się dobrze, a inni, z większymi dawkami, mają się gorzej.

Praktyka kliniczna. Chociaż nie mamy jeszcze wystarczająco dużej wiedzy na temat stężenia imatinibu w osoczu, żeby podejmować decyzje kliniczne w oparciu wyłącznie o wyniki takich testów, założyłbym, że wiedza o stanie osocza krwi jest istotną informacją dla leczenia pacjenta i że należy niezwłocznie rozpocząć wprowadzenie takich testów do



rutynowej praktyki klinicznej. Dla każdego pacjenta będzie pożyteczne posiadanie danych o obecnym stanie jego osocza. Będzie to szczególnie korzystne dla nowo zdiagnozowanych pacjentów, rozpoczynających leczenie imatinibem.

Przeprowadzanie takich testów na poziomie rutynowym może dostarczyć lekarzowi pożytecznej informacji, nawet jeśli nie ustanowiliśmy jeszcze definitywnej zależności pomiędzy wynikami testów a długotrwałym przeżyciem. Weźmy na przykład pacjenta otrzymującego dawkę imatinibu 400 mg, u którego najniższy poziom spadł od początkowego 1600ng/ml do 400ng/ml. Czy nie należy wziąć pod uwagę, że dawka może być zbyt niska albo że pacjent nie zażywa całej zalecanej dawki leku? Spójrzmy na inny przykład: pacjent otrzymujący większą dawkę imatinibu walczy z ciężkimi skutkami ubocznymi, pomimo że najniższe poziomy mają stałą wartość 2400ng/ml. Czyż nie jest to argument na poparcie obniżenia dawki wraz z jednoczesnym monitorowaniem stanu osocza w celu zapewnienia, że stężenie leku w osoczu nie będzie zbyt niskie? Należy przyznać, że testowanie osocza jest nieco trudne od strony organizacyjnej.

Wymaga to bowiem wykonania badania krwi w bardzo krótkim czasie (od 22 do 26 godzin po ostatniej dawce imatinibu) i przetransportowanie tej krwi po jej odwirowaniu do specjalistycznego laboratorium. Jednakże obecne procedury badania krwi nie wymagają większego wysiłku ze strony pacjenta czy lekarza. Fakt, że badania te mogą być wykonane nieodpłatnie przez Avantix Laboratory, tylko zwiększa przemawiające za tym racje.

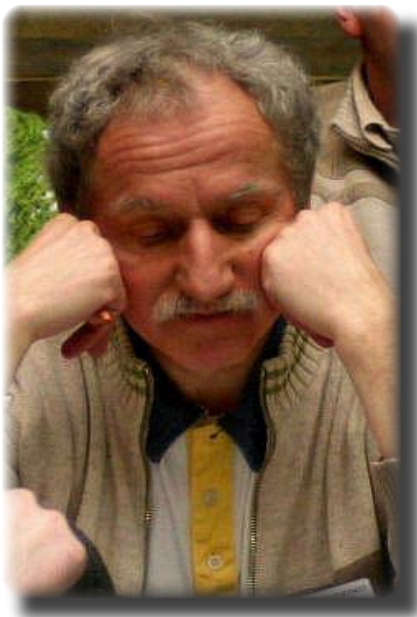
Pacjenci nie mogą dłużej tolerować skandalicznych różnic czasowych pomiędzy rozwojem testów laboratoryjnych a ich wykorzystaniem w standardowej praktyce klinicznej. Rutynowe testy mutacyjne są nieodzowne. Rozwój rutynowych testów osocza jest na tyle zaawanso-

wany, że również one mogą zostać włączone do standardowej praktyki klinicznej. W połączeniu z rutynowymi testami stanu mutacji stworzy to podstawę dla indywidualnego leczenia każdego pacjenta. Wyobraźcie sobie zakłopotanie środowiska medycznego, gdy się okaże, że przez lata zaniedbywano podstawowe działania, które mogły uratować niejedno ludzkie życie.



Z zalem przyjęliśmy wiadomość o śmierci naszego kolegi

Edwarda Niespodziewanego



Był z nami od początków istnienia Stowarzyszenia. Pamiętamy przecież wciąż Jego dobry, serdeczny uśmiech i życzliwy stosunek do otoczenia.

Zawsze brał aktywnie udział w naszych spotkaniach i imponował nam wiedzą o naszej chorobie i wydarzeniach związanych z najnowszymi badaniami.

Kiedy Jego choroba postępowała, często wymienialiśmy listy bądź rozmawialiśmy telefonicznie. Były to trudne i szczerze rozmowy.

Stał mi się bardzo bliski. Był świadomy postępów choroby i tego, co Go oczekiwało. Z wdzięcznością mówił o lekarzach, którzy się nim opiekowali. Doceniał ich wysiłki i był im za wszystko wdzięczny. Ja, mimo to, wciąż żywiłem nadzieję, że los okaże się dla niego łaskawszy.

Przyjmował los spokojnie i pożegnał się ze mną w swym ostatnim pięknym liście. Wyprzedził nas w drodze ku Przeznaczeniu, ale mam nadzieję, że Tam się znów z Nim spotkamy.

Nigdy nie chciał, aby Jego zdjęcie ukazywało się w biuletynach gdyż zmartwiłoby to Jego bliskich, którzy nie wiedzieli o Jego chorobie. Mam nadzieję, że tym razem mi wybaczy, że Go nie posłuchałem.

System opieki zdrowotnej



Roger Wilson

- model brytyjski, nie do zaakceptowania Dyskusja nad przyszłym modelem systemu opieki zdrowotnej

Tym wszystkim, którzy upatrują w brytyjskim systemie opieki zdrowotnej wzorca, polecam przeczytanie tego tekstu. Można odnieść wrażenie, że dużą część brytyjskich absurdów już obecnie mamy w naszym systemie. NIE wprowadzamy takich rozwiązań, gdyż pogorszymy jeszcze obecną sytuację pacjentów. Już teraz występujące patologie w naszym systemie opieki zdrowotnej mają swoje odpowiedniki w systemie brytyjskim. Zastąpmy nazwy instytucji brytyjskich nazwami polskich instytucji i będziemy mieli opis naszej rzeczywistości.

Nie ma więc sensu pogarszać polskiej rzeczywistości przyjmując model brytyjski. Autor, Roger Wilson, jest moim dobrym, wieloletnim znajomym i wiele czasu poświęciliśmy na dyskusje o opiece zdrowotnej w naszych krajach. Nasze Stowarzyszenie ma w jego osobie oddanego przyjaciela. Postaram się przetłumaczyć i opublikować drugą część opracowania Rogera Wilsona w pierwszym numerze biuletynu w roku 2009.

(Stanisław Kulisz)

GIST w Wielkiej Brytanii: niełatwa rzeczywistość

Tych, którzy wiedzą, że Wielka Brytania jest członkiem G8 – grupy najbogatszych państw świata – dziwić może fakt, iż w tym kraju toczy się walka o zapewnienie pacjentom z GIST leczenia, które ich lekarze (obserwując przyjętą międzynarodową praktykę kliniczną) uznają za stosowne. Pomocne w naświetleniu tej sytuacji będzie przedstawienie pewnych uwarunkowań. Za opiekę zdrowotną w Anglii odpowiada Państwowa Służba Zdrowia (National Health Service, the NHS). Ma ona na swoim koncie ok. 60 lat bezpłatnego leczenia pacjentów i opowiada się za medycyną opartą na dowodach naukowych. NHS to hierarchiczna struktura, finansowana z pieniędzy podatników. Poszczególne szpitale same zarządzają swoimi finansami (nawet jeśli ich właścicielem jest NHS) i obciążają swymi wydatkami Fundusze Podstawowej Opieki Zdrowotnej (Primary Care Trusts, PCT, w Anglii, Health Boards w Szkocji i Walii). Działalność poszczególnych PCT-ów jest koordynowana przez regionalne wydziały zdrowia (Regional Strategic Health Authorities); Rady Ochrony Zdrowia (Health Boards) zdają sprawozdania

bezpośrednio rządowi narodowemu Walii i Szkocji. PCT-y (tylko w Anglii jest ich 135) cieszą się znaczną niezależnością, ale mają określony limit finansowy dla swego rocznego budżetu. PCT-y są finansowane w taki sposób, że przekroczenie limitu wydatków w jednym roku ma zostać rozliczone w budżecie roku następnego, a ponadto wszystkie deficyty są uwidaczniane w bilansie. Taki sposób prowadzenia ewidencji wywiera znaczący wpływ na proces decyzyjny. PCT-y mają podpisane kontrakty ze swoimi lokalnymi szpitalami na leczenie powszechnie występujących chorób i wszystkie z nich są zobowią-

zane do przeprowadzenia postępowania w celu podjęcia decyzji o finansowaniu leczenia w „wyjątkowych” sytuacjach – czyli nie objętych owymi kontraktami bądź wytycznymi obowiązującymi w skali krajowej. Takie wytyczne NHS otrzymuje od Narodowego Instytutu ds. Zdrowia i Doskonałości Leczenia Klinicznego (National Institute for Health and Clinical Excellence), znanego jako NICE. PCT musi refundować leczenie, jeśli są ku temu zalecenia NICE. W jaki zatem sposób to wszystko ma wpływać na leczenie pacjentów z GIST?

W 2003/04 NICE podjął się oceny technologii medycznej imatinibu (Glivec) i doszedł do wniosku, że leczenie przerzutowych lub nieresekcyjnych GIST za pomocą dawki 400 mg/d zostało uznane za skuteczne i należy je refundować. Nie zaakceptowano zwiększonej dawki (600 mg/d lub 800 mg/d), powołując się na brak dowodów skuteczności takiej terapii. Argument o braku dowodów pojawił się na miesiąc przed ukazaniem się pierwszej publikacji (we wrześniu 2004) danych na temat dawki 800 mg/d, będących rezultatem dwóch prób przeprowadzonych na wielką skalę. Nie zaaprobowano również dawki 400 mg/d dla pacjentów z potwierdzonym przez TK rozrostem guzów. Decyzja NICE natychmiast znalazła się w sprzeczności z rosnącą liczbą danych na temat klinicznej



skuteczności imatinibu w przypadku GIST. Wynikające z owej decyzji wytyczne stały się dla PCT wiążące od listopada 2004. Ze względu na wagę danych, których liczba rosła w recenzowanych publikacjach niemal co miesiąc (pomijając już to, czego sami lekarze dowiedzieli się na temat Imatinib, lecząc nim swoich pacjentów), owe wytyczne zdezaktualizowały się, zanim jeszcze zdążyły nabrać mocy prawnej. W ciągu ostatnich trzech lat pacjenci, lekarze i adwokaci zostali postawieni przed poważnym wyzwaniem. Ponieważ w przypadku niektórych pacjentów nie było odpowiedzi na dawkę 400 mg/d, zaczęły się walki o refundowanie zwiększonej dawki. Niektóre PCT-y (przeważnie te, które nie miały problemów budżetowych) akceptują zalecenia lekarzy i nie stwarzają żadnych trudności. Inne, zazwyczaj obciążone problemami natury finansowej, są skłonne trzymać się nieaktualnych już zaleceń NICE i odmawiają refundacji. Niektóre z nich cofną swoją decyzję po odwołaniach ze strony pacjentów, inne będą nieustępliwie. Nawiążę krótko do jednej z takich historii. Jej skutkiem było coś, co w Wielkiej Brytanii jest określane mianem „loterii kodu pocztowego”. Jest rzeczą całkiem możliwą, żeby dwóch pacjentów, cierpiących na identyczne dolegliwości, mieszkających w sąsiedztwie i leczonych przez tego samego lekarza, leczyć inaczej ze względu na to, że jeden z nich mieszka na terenie PCT-u który przyznaje refundację, a inny podlega innemu PCT, który takiego leczenia nie finansuje. Pojawienie się sunitinibu (Sutent) jeszcze bardziej skomplikowało sytuację. Ogólnoświatowa próba oraz okazjonalne stosowanie sunitinibu zarówno przed jak po zakończeniu prób klinicznych (co miało miejsce na początku roku 2006) przyczyniły się do tego, że wielu pacjentów w chwili nawrotu choroby wolało sunitinib od większej dawki imatinibu. Gdy tacy pacjenci nie reagują na sunitinib, może być wskazana większa dawka imatinibu i, o ile pacjent będzie odpowiadał na leczenie, powinno być dostępne utrzymanie dawki co najmniej 400 mg/d.

Każda z tych sytuacji przeradza się w walkę. Tutaj winien jestem uznanie naszym specjalistom onkologom w całym kraju. Ich poparcie było jak dotąd najistotniejszym czynnikiem w przybliżeniu nas do obecnego stanu rzeczy, kiedy to zaczyna być akceptowany fakt, że dawka imatinibu 800 mg/d stanowi „normę”, w przypadku gdy 400 mg/d nie skutkuje,

choć wciąż daleko nam do uzyskania zgody na stosowanie dawki 800 mg/d w leczeniu początkowym dla określonych pacjentów z GIST (terapia taka jest niezbędna z powodu występujących w ich przypadku guzów z mutacją). Obecnie największy nasz problem wiąże się z refundowaniem sunitinibu – zazwyczaj jako trzeciorzędnego leku. W niedawnej walce z jednym z PCT-ów adwokat (zdeterminowana żona

pacjenta) zdołał pozyskać informacje od stowarzyszenia GIST Support UK, od



Kidney Cancer UK (na temat ich doświadczenia w zdobywaniu funduszy na sunitinib dla pacjentów z rakiem nerki) oraz od Sarcoma UK, które miało dostęp do dokumentów dotyczących procesu podejmowania decyzji przez PCT. Sprawa, po wielu stresach i ciężkiej pracy, została wygrana w sądzie apelacyjnym na skutek

ustalenia zaistnienia wyjątkowej sytuacji. Właśnie słowa „wyjątkowy” uczymy się używać coraz częściej. GIST to rzadka choroba i jej rozumienie przez pracowników PCT jest w najlepszym przypadku ograniczone, a w większości przypadków równe zeru. PCT-y polegają na radach ekspertów oraz na własnym rozumieniu legalnych żądań właściwego postępowania, starannie zorganizowanego procesu badawczego, podejmowania rzetelnej decyzji oraz pełnego poszanowania dla ludzkich praw indywidualnego pacjenta. Tylko to ostatnie powstrzymuje ich przed utworzeniem ogólnej zasady podejmowania decyzji odmownej w finansowaniu leczenia, gdyż każda wyjątkowa okoliczność musi być rozpatrywana indywidualnie. Jedynie NICE może wydawać wytyczne o mocy prawnej. W jednym z przypadków, dotąd jeszcze nie rozstrzygniętym, PCT Bromley w południowo-wschodnim Londynie odmówił refundowania dawki imatinibu 800 mg/d latem 2006 r., kierując się opinią lekarza ogólnego, która była sprzeczna z opinią profesora Iana Judsona. Opinia owego lekarza ogólnego została sformułowana werbalnie, ponadto nie widział on dokumentów, o których wydawał opinię, nie oglądał zdjęć i nie czytał ich opisu. Opinia profesora Judsona, zgodnie z którą pacjent wykazał „jednoznaczną odpowiedź” na próbną dawkę imatinibu w wysokości 800 mg/d, została zignorowana i nie próbowano uzyskać żadnej innej opinii. Jestem przekonany, że większość czytelników wie, iż prof. Judson jest jednym z wiodących ekspertów w leczeniu GIST na skalę światową (w tym roku jest on przewodniczącym CTOS – Connective Tissue Oncology Society). Uważam to wydarzenie za skandaliczne – i czytelnicy raczej się ze mną

*Z przykrością informujemy,
że odeszli od nas pokonani przez chorobę:*

**JERZY ŚWIDEREK
JÓZEF GRAD
EDWARD NIESPODZIEWANY
MARIA PATYNOWSKA
ZBIGNIEW HANZEL**

*Czemu wciąż tak wiele rozstań?
Żegnamy Ich z żalem.*

zgodzą. Zarówno ewidentne zaniedbania procedury, jak i badanie notatek ze spotkań oraz korespondencji z PCT-ami powoduje znaczne zaniepokojenie stopniem rzetelności podejmowanych przez komitet decyzji.

Wydaje nam się, że odmowna decyzja o refundacji była z góry ustalona i że przewodniczący komitetu wymusił tę decyzję na grupie ludzi, którzy, szczerze mówiąc, nie mieli stosownych kwalifikacji do zrozumienia skomplikowanej sytuacji, o której ocenę zostali poproszeni, jak również nie mieli odwagi zaprotestować. Wszyscy byli pracownikami PCT, a zatem możliwość wymuszenia jest bardzo realna. Złożyliśmy wniosek Sekretarzowi Stanu ds. Zdrowia (odpowiedzialny minister rządu) – co jest rzeczą niełatwą – a on zwrócił się do NHS w Londynie (odnośnych władz regionalnych wydziałów) z prośbą o przeprowadzenie dochodzenia w tej sprawie. Zaczęło się ono w styczniu 2007 r., a jego echo rozbrzmiewa do chwili obecnej. Sarcoma UK musiała wykorzystać ustawę o wolności informacji, żeby uzyskać dostęp do raportów i korespondencji mających związek ze śledztwem. Nadal nie nagłośniliśmy tego, co się wydarzyło. Zarówno PCT w Bromley, jak i NHS w Londynie stwarzają trudności, najwyraźniej usiłując zatuszować niedociągnięcia i ochronić swoich pracowników przed całkowicie usprawiedliwionymi zarzutami o niedopełnienie obowiązków zawodowych. Nie tylko my wysuwamy takie

oskarżenia. Na potrzeby śledztwa zaangażowano trzech niezależnych recenzentów mających za zadanie prześledzić dokumenty, które się przyczyniły do podjęcia decyzji. Jeden z nich (lekarz) użył określenia „przerażający” tyle razy, że prawie straciło ono swoją wymowę. Inny (prawnik) wykrył co najmniej pięć naruszeń prawa.



Ostatni z nich (farmaceuta) był najwyraźniej bardzo niezadowolony z języka i tonu spotkań, odzwierciedlonych w notatkach oraz dokumentach. NHS w Londynie jak dotąd nie zapoznała PTC ze szczegółami tej rewizji. PTC w Bromley ostatecznie wydał pisemne przyznanie się do błędu, chociaż użyte w tym piśmie sformułowa-

nia można opisać jako pokrętne unikanie kwestii kluczowych. Komitet, po roku od poprzedniego posiedzenia, wznawia obrady w sprawie procedur podejmowania specjalnych decyzji o wyjątkowym leczeniu i chce ponownie przejrzeć wskazania do leczenia, osobiste i medyczne, jak również przeanalizować ramy prawne, niezbędne dla podjęcia sprawiedliwej i właściwej decyzji. Najważniejsze jest to, że ów komitet zatwierdził drugą „normatywną” opinię, która niewątpliwie poprze zalecenia profesora Judsona. Na szczęście pacjent nadal jest wśród nas. Poparcie ze strony rodziny, przyjaciół, lekarzy i szerszej społeczności onkologicznych pacjentów zapewniło właściwą kontynuację terapii. Stało się tak niezależnie od NHS – organizacji, która, jak zapewnia dumnie nasz nowy premier, umożliwi pacjentom bezpłatny dostęp do opieki medycznej, zgodnie z najlepszymi zaleceniami medycznymi. Możecie pomyśleć, że mają tu miejsce podwójne standardy. Jak mógłbym to skomentować?

W drugiej części artykułu prześledzimy to, co zostało zrobione, aby spróbować zmienić ten stan rzeczy. Stowarzyszenie pacjentów chorych na raka jest bardzo zaniepokojone „loterią kodów pocztowych”, która dotyczy wszystkich rodzajów raka. Jeśli w najbliższym czasie nie zostaną podjęte działania (przewidywanym terminem jest grudzień), osiągnięte dotąd porozumienia pomiędzy NHS, Parlamentem, onkologami i chorymi na raka, pociągające za sobą zmiany w NHS, mogą zostać zerwane.

*Roger Wilson, dyrektor Sarcoma UK
(październik 2007)*

STOWARZYSZENIE POMOCY CHORYM NA GIST

Warszawa, ul Potocka 14, domofon nr. 8

tel./fax: +48 22 832 21 03, kom: +48 503 158 624

www.gist.pl e-mail: stowarzyszenie@gist.pl

numer konta: 21 1240 1037 1111 0010 0416 4578

NIP 525 231 25 00

Redakcja Stanisław Kulisz, Teresa Zielińska, Krystyna Takahashi

Przygotowanie do druku: WYDAWNICTWO **stampa**
ul. Deotymy 41. 01-441 Warszawa wyd.stampa@interia.pl

