



Správa o perspektívach pacientov s myelómom

Komplexná správa a odporúčania o úlohe pacientov vo výskume a
liečbe myelómu a o právnom rámci, v ktorom sa uskutočňujú

Leto 2013

Obsah

Predslov	4
Najdôležitejšie odporúčania	5
Zhrnutie	7
Metodológia	10
Myelóm a potreby pacientov	
1. O myelóme	11
2. Odporúčané postupy v liečbe a starostlivosti o pacientov s myelómom – sú dodržiavané?	23
3. Budovanie úspešného partnerstva so zdravotníckymi pracovníkmi	33
4. Potreby pacientov majú stáť v centre výskumu	39
5. Účinný právny rámec liečby a starostlivosti o pacientov s myelómom	49
6. Sila patientskej advokácie pri myelóme: ako na to	59
Na ceste k dokonalej starostlivosti – prípadové štúdie	69
PodĎakovanie	71
O MPE	72
Odkazy	73

Predslov

Správa o perspektívach pacientov s myelómom, vytvorená organizáciou Myeloma Patients Europe v spolupráci so skupinou významných európskych odborníkov, si zaslúži veľkú pozornosť nielen tých, ktorých sa myelóm priamo dotýka. Pozornosť by jej mal venovať každý, kto zaznamenal obrovskú zmenu v našich systémoch zdravotnej starostlivosti a ich nevyhnutný vývoj k starostlivosti a rozhodovaniu sústredenému na pacienta.

Správa objasňuje perspektívy pacientov pri súčasných prístupoch k liečbe a starostlivosti v Európe a úlohu pacientov vo výskume v budúcnosti. Kladie otázky o tom, do akej miery súčasné možnosti zodpovedajú potrebám pacientov, a aké prekážky a výzvy obmedzujú dostupnosť najlepšej novej liečby a starostlivosti. Odporúča, čo možno urobiť v piatich najkritickejších oblastiach pre zlepšenie dostupnosti liečby, vyššiu účasť pacientov vo výskume a efektívnejšie riešenie ich potrieb.

Najdôležitejšie sú odporúčania Správy v oblasti podielu pacientov na prijímaní rozhodnutí, ktoré ich priamo ovplyvňujú. Volá po zabezpečení rovnocenného postavenia pacientov vo výskume a formálnom ukotvení postavenia pacientov pri tvorbe pravidiel, ktoré sa ich týkajú.

Správa v skutočnosti ide ešte o krok ďalej, aby ukázala potrebu nových vzorcov spolupráce medzi pacientami, vládami, regulačnými orgánmi a orgánmi zodpovednými za hodnotenie výkonnosti zdravotníctva, zdravotníckymi pracovníkmi, akademickým prostredím a farmaceutickým priemyslom, ktoré zlepšia vyhladky pacientov s myelómom.

V ostatných 10 rokoch sa doba prežitia pri tomto zriedkavom druhu rakoviny kostnej drene zhruba zdvojnásobila. Pacienti, ktorým je oznámená diagnóza myelóm, majú pred sebou vopred neznámy počet rokov liečby, remisie, relapsu a neistoty ohľadom vývoja ich choroby. Mnohým z nich je diagnóza stanovená neskoro a/alebo nemajú prístup k najlepšej dostupnej liečbe a najvyšším štandardom starostlivosti.

Správa reprezentuje hlas pacientov s myelómom v Európe, široký konsenzus o tom, aké by mali byť priority v rámci myelómu, aby sa zmenil *status quo*. Je veľmi potrebnou mapou pre presadzovanie záujmov pacientov s myelómom.

Pre svojich čitateľov, či už nimi sú členovia vlád, zdravotnícky pracovníci, ľudia z výskumu alebo priemyslu, by sa Správa mala stať zdrojom informácií, ktoré nemožno ignorovať v nijakej súčasnej ani budúcej diskusii o myelóme.

Dr. Faith Davies
akademička na Institute of Cancer Research (ICR), Londýn
hematologička v nemocnici The Royal Marsden, Londýn

Najdôležitejšie odporúčania

Myeloma Patients Europe a všetci, ktorí podporujú a schvaľujú odporúčania tejto Správy, by mali v spolupráci s kompetentnými štátnymi orgánmi, zdravotníckymi a výskumnými pracovníkmi, vzdelávacími inštitúciami a farmaceutickým priemyslom vypracovať plán svojho postupu, v ktorom uchopia päť oblastí kritických pre zlepšenie perspektívy pacientov v Európe:

1) Definovať najlepší postup v liečbe a starostlivosti o myelóm

- Pracovať na príprave jednotných Európskych štandardov liečby myelómu a snažiť sa o definovanie najlepších praktických štandardov holistickej liečby vrátane medicínskej a psychologickéj podpory
- Zvyšovať informovanosť o symptómoch myelómu medzi všeobecnými lekármi a ortopédmi a tým zabezpečiť včasnejšie stanovenie diagnózy a odoslanie na špecializované pracovisko
- Prehľbovať znalosti a možnosti hematológov a ostatných odborníkov prichádzajúcich do kontaktu s myelómom v oblasti pomoci pacientom pri budovaní stratégie zvládania komplikácií, vedľajších účinkov liečby a psychologického dopadu myelómu

2) Budovať úspešné partnerstvo so zdravotníckymi pracovníkmi

- Povzbudzovať pacientov v nadobúdaní vedomostí a sebaistoty potrebnej na partnerstvo s lekárom pri rozhodovaní o liečbe, diskusii o odporúčaníach, a pri zisťovaní druhého názoru
- Presadzovať, aby vzdelávanie zdravotníckych pracovníkov obsahovalo aj tréning komunikačných zručností, a aby sa v ňom venovala pozornosť nielen fyzickým, ale aj emočným potrebám pacientov

3) Dať potreby pacientov do centra výskumu

- Uprednostniť také klinické štúdie, u ktorých je pravdepodobnejšie, že zlepšia perspektívy pacientov v klinickej liečbe
- Podporovať spoluprácu vo výskume, napr. prostredníctvom spoločných projektov, výskumných asociácií a spojení financovaných EÚ, akou je Inovátna medicínska iniciatíva EÚ
- Využiť pohľad pacientov pri vytváraní konceptu, obsahu a cieľov klinických výskumov, ako aj v procese prijímania a rozširovania jeho výsledkov

4) Zabezpečiť efektívny právny rámec liečby a starostlivosti o pacientov s myelómom

- Vytvoriť národné plány pre boj s myelómom (minimálne v rámci národných plánov boja proti rakovine alebo boja proti zriedkavým chorobám) a v rámci nich stanoviť jasné ciele v oblasti diagnostiky, liečby a zvládania myelómu
- Vytvoriť národné expertné centrá a európske referenčné siete na zabezpečenie kvalitnej špecializovanej starostlivosti pre všetkých pacientov s myelómom
- Prehodnotiť európske a národné pravidlá určovania cien a spôsobu úhrady nových liekov, a tam kde je to potrebné zabezpečiť, aby prístup k nim nebol obmedzený alebo zamedzený pre ich nákladnosť

* Holistická liečba berie do úvahy všetky vlastnosti a okolnosti liečebného procesu, spája tradičné a alternatívne liečebné metódy. Pozn. prekladateľky

5) **Využiť silu patientskej advokácie (t. j. presadzovania záujmov pacientov)**

- Identifikovať, informovať a nadviazať spoluprácu s kľúčovými osobnosťami, ktoré môžu ovplyvniť názory ľudí a spôsobiť zmenu v kvalite služieb dostupných pacientom s myelómom
- Povzbudzovať a školiť jednotlivých pacientov, schopných obhajovať záujmy iných pacientov a aktívne sa zúčastňovať na práci komisií zodpovedných za tvorbu klinických štandardov a klinických štúdií a prijímanie rozhodnutí v oblasti zdravotnej politiky a financovania zdravotníctva

Odporúčania tejto správy presadzujú:

Amen Israeli Myeloma Patient Foundation (Amen)

Arbeitsgemeinschaft Plasmozytom/Multiples Myelom (APMM)

Asociación Española de Afectados por Linfoma, Mieloma y Leucemia (AEAL)

Associação Portuguesa Leucemias e Linfomas (APLL)

Association of myeloma patients of Serbia (AMPS)

Cancer and Stemcell Organization - Coordination Association (KOKDER)

Contactgroep Myeloom en Waldenström Patiënten (CMWP)

Contactgroep Myeloom en Waldenström Patiënten Vlaanderen vzw (CMP vzw)

Društvo bolnikov z limfomom (DBL)

Ege Uni tip fak

Suomen syöpöpotilaat-myelooma potilasverkosto

Foundation for the Advancement of Bone Marrow Transplantation Switzerland (SFK)

Leukaemihilfe RHEIN-MAIN e.V. (LHRM)

Multiples Myelom Selbsthilfe Oesterreich (MMSOe)

Myelom Kontaktgruppe Schweiz (MKgS)

Myeloma Euronet Romania (MER)

Myeloma UK (MUK)

MyMu Wallonie-Bruxelles (MyMu)

Slovak Myeloma Society (SMYS-KP)

Slovensko Združenje Bolnikov Z Limfomom In Levkemijo L&L

Society for Assistance to Patients with Oncohaematological Diseases

Udruga Za Podršku Oboljelima Od Multiplog Mijeloma (Mijelom CRO)

Centro de Histocompatibilidade do Norte (CHN)

Klub pacientů mnohočetný myelom (KPMM)

Zhrnutie

Táto Správa bola vytvorená so zámerom zosumarizovať množstvo komplexných problémov, ktorým čelia pacienti s myelómom. Každá kapitola prináša argumenty podporujúce najdôležitejšie odporúčania Správy, ktoré môžu slúžiť ako podklad pre patientske organizácie pri presadzovaní zmien potrebných v jednotlivých krajinách, ako aj v celej Európe na zlepšenie perspektívy pri myelóme.

Výzva menom myelóm

Myelóm je zriedkavý typ rakoviny vyvierajúci z plazmatických buniek, ktoré sa nachádzajú v kostnej dreni. Široká expertná skupina Orphanet Europe[†] presadzuje názor, že táto choroba postihuje menej ako 2 osoby z 10 000¹. Pre odlišnosti v zbere štatistických údajov však môže byť skutočné číslo omnoho vyššie. Liečba myelómu za ostatných päť rokov zaznamenala veľký progres, väčšina najnovších liekov však nie je v rámci Európy rovnako dostupných.

Pacienti s myelómom zažívajú kostnú bolesť, anémiu a únavu, majú zvýšené riziko infekcie, čelia náročnej emočnej skúške. V priebehu pomerne krátkeho času musia prijať veľa rozhodnutí týkajúcich sa liečby. Niektorí môžu požadovať najagresívnejšiu liečbu bojujúcu s myelómom, iní sa rozhodnú pre miernejšiu liečbu a zachovanie lepšej kvality života. Je preto veľmi dôležité, aby bola zdravotná starostlivosť pacientom poskytovaná adresne s ohľadom na ich individuálne potreby.

Pacientova cesta myelómom prináša opakujúce sa výzvy:

- Včasná diagnóza je kľúčová – iba málokedy sa však podarí, keďže lekári prvého kontaktu zriedka narazia na myelóm. Mnoho pacientov čaká na správnu diagnózu až dva roky.
- Typický priebeh zahŕňa viacero cyklov liečby, striedanie období remisie a relapsu, trvalú neistotu a úzkosť
- Univerzálny prístup k najnovšej liečbe je ideálom, realita je taká, že najmä vo Východnej Európe nie sú nové lieky dostupné kvôli prísnyim finančným obmedzeniam. Tieto môžu dokonca brániť v prístupe k liekom schváleným Európskou liekovou agentúrou (EMA), ktoré majú byť rovnako dostupné vo všetkých členských štátoch EÚ. Pacienti zo štátov, ktoré nie sú členmi EÚ nemôžu ani využívať pravidlo EÚ, podľa ktorého má občan jedného členského štátu nárok na úhradu liečby v inom členskom štáte
- Mnoho pacientov, nemá nijakú možnosť participácie na klinických štúdiách, ktoré by im mohli ponúknuť lepšiu liečbu so znesiteľnejšími vedľajšími účinkami
- Dobrá kvalita života – cieľ väčšiny pacientov – sa odvíja od optimálnej úľavy od bolesti, zvládania únavy a liečby prinášajúcej dlhšiu remisiu
- Mnoho liekov má veľmi nepríjemné vedľajšie účinky, ktoré znižujú kvalitu života a často nútia pacientov vzdať sa účinnej liečby ešte pred dosiahnutím optimálnych výsledkov. Myelómové bunky si tiež budujú odolnosť. Oba faktory spôsobujú, že sú neustále potrebné nové možnosti liečby
- Psychologická a emočná podpora by mala byť súčasťou liečby, no pacienti z celej Európy uvádzajú, že tomu tak nie je. Podpora je obzvlášť dôležitá vtedy, keď sa myelóm vracia hoci reagoval na predchádzajúcu liečbu (relaps) alebo keď myelóm odoláva predchádzajúcej alebo prebiehajúcej liečbe (refraktérny myelóm)
- Paliatívna starostlivosť je dôležitou súčasťou liečby a starostlivosti a mala by byť k dispozícii už od stanovenia diagnózy, nie až v posledných dňoch života

[†] Orphanet je internetový portál venovaný zriedkavým chorobám a ich liečbe. Je dostupný na www.orpha.net.
Pozn. prekladateľky

- Počas posledných dní života potrebujú pacienti najmä účinnú úľavu od bolesti a citlivú emočnú podporu pre seba a svoje rodiny

Významné bariéry lepšej liečby a starostlivosti

Vyššie spomenuté problémy, rovnako ako ekonomické obmedzenia, regionálne rozdiely a nedostatok jednotných štandardov diagnostiky a liečby, limitujú dostupnosť optimálnej liečby a starostlivosti. Významnou bariérou je neadekvátna transpozícia relevantnej legislatívy EÚ, ktorej príkladom je odlišná implementácia smernice EÚ o cezhraničnej zdravotnej starostlivosti, znevýhodňujúca pacientov s obmedzenými finančnými zdrojmi.

Veľmi dôležitá je aj efektívna komunikácia medzi lekárom a pacientom, v rámci ktorej sa lekár a pacient dohodnú na realistických, krátkodobých cieľoch, ktoré potom priebežne prehodnocujú, berúc stále do úvahy emočný stres spojený s chorobou. Na začiatku potrebuje pacient predovšetkým informácie, tie však musia byť primerané a správne načasované práve pre konkrétneho jednotlivca. Nácvik komunikačných zručností nie je súčasťou vzdelávania na lekárske fakultách, preto sa schopnosti jednotlivých lekárov v tomto smere líšia. Bolo by veľmi prospešné, ak by bol v európskych krajinách takýto tréning súčasťou celoživotného vzdelávania. V ideálnom prípade by nácvik komunikačných zručností mohol byť priamo súčasťou výučby na zdravotníckych školách.

Pacienti potrebujú posilniť svoju pozíciu, nadobudnúť vedomosti a sebaistotu potrebnú pri hľadaní druhého názoru alebo žiadaní o presunutie na špecializované pracovisko. Myelóm je v rámci prvého kontaktu veľmi zriedkavý, preto je dôležité, aby sa pacienti dostali ku všetkým informáciám a mali podporu patientskych organizácií a mohli tak zohrávať aktívnu úlohu pri zvládaní svojho myelómu. Tradičnejšia kultúra, v ktorej majú pacienti tendenciu akceptovať lekárov názor bez pýtania, je zrejme jedným z dôvodov, pre ktoré sa v nových členských krajinách EÚ objavuje menej nových prípadov myelómu.

Úloha pacientov vo výskume

Pacienti by mali byť informovaní o aktuálnych klinických štúdiách a mali by mať možnosť participovať na štúdiách, ktoré sú pre nich vhodné.

Pokračovanie vo výskume myelómu je veľmi potrebné, najmä pre obmedzený časový rámec, v ktorom sa pacienti pohybujú. Dlhodobé prežitie sa obmedzuje na malé množstvo zvyčajne mladších pacientov. Prenesenie pozitívnych výsledkov výskumu myelómu do klinickej praxe je dôležité aj pre minimalizáciu vedľajších účinkov. Výskum je však stále veľmi rozdrobený, preto je potrebná väčšia koordinácia, ktorá zabráni duplicitě a umožní rýchlejšie napredovanie. Veľmi užitočným by mohlo byť väčšie sústredenie na potreby pacientov, napríklad na určenie alternatív ku súčasným liekom s najhoršími vedľajšími účinkami.

V dnešných časoch ekonomických obmedzení, patientske organizácie môžu byť nápomocné pri dosahovaní optimálneho stavu tým, že definujú priority a ciele a vytvoria tlak na adekvátne, prednostné financovanie výskumných projektov súkromným a verejným sektorom.

Mohli by tiež upozorňovať štátne orgány na najslubnejšie výsledky klinických štúdií, ktoré by tak mohli byť rýchlejšie zapracované do liečebných štandardov, ktorých je mnoho a v rámci Európy sa líšia.

Pacienti a ich zástupcovia by tiež mohli byť cenným prínosom k práci etických komisií a k tvorbe protokolov pre klinické štúdie a procedúram schvaľovania liekov pre trh.

Plány boja proti myelómu v Európe

Väčšina členských štátov EÚ má národný program boja proti rakovine. EÚ tiež odporúča členským štátom vytvoriť v roku 2013 národný plán boja proti zriedkavým chorobám (ktorou je aj myelóm). Členské štáty majú podporovať národné a regionálne expertné pracoviská a referenčné siete a zlepšiť tak všeobecnú dostupnosť diagnózy a kvalitnej zdravotnej starostlivosti pre všetkých pacientov, ktorých zdravotný stav si vyžaduje osobitnú koncentráciu finančných prostriedkov alebo expertných vedomostí. Tento cieľ bol posilnený smernicou EÚ o práve pacientov na cezhraničnú zdravotnú starostlivosť. EÚ tiež odporučila zlepšenie prístupu k liekom na zriedkavé ochorenia a podporu výskumu týchto liekov a zriedkavých chorôb.

Klinické smernice pre diagnostikovanie, liečbu a zvládanie chorôb sú založené na najnovších poznatkoch. V praxi sa však často líšia kvôli zriedkavému výskytu myelómu a rozdielmi medzi rôznymi odporúčaniami. Vytvorenie jednotných európskych štandardov by pacientom s myelómom umožnilo rovnaký prístup ku kvalitnej starostlivosti v celej Európe.

Ďalšími cieľmi, z ktorých by mali pacienti s myelómom úžitok, sú podpora medicínskeho vzdelávania a informovanosti o myelóme, takže všeobecní lekári postrehnú, že ide o zriedkavú diagnózu myelómu, a širšie možnosti pre pacientov zúčastňovať sa na práci etických a regulačných komisií v oblasti výskumu a schvaľovania liekov pre trh.

Základný rámec pre zlepšenie prístupu v EÚ už máme. Potrebujeme, aby organizácie združujúce pacientov v celej Európe zvyšovali povedomie o myelóme medzi kompetentnými štátnymi orgánmi a zdravotníckymi pracovníkmi.

Úlohy patientskej advokácie

Pacientske organizácie už majú za sebou kus práce v oblasti pomoci pacientom, zvyšovania ich informovanosti a obhajovaní ich záujmov. Limity, ktorým čelia v súčasnosti, pramenia zo zvyšovania očakávaní pacientov na strane jednej a ekonomických škrtov súčasnosti na strane druhej, ako aj z nutnosti, aby ich dobrovoľnícka práca dosahovala profesionálnu úroveň. Musia sa sústrediť na zvyšovanie vedomostí svojich zamestnancov a dobrovoľníkov, školiť ich v presadzovaní záujmov pacientov, aby sa stali profesionálnejšími. Medzi patientskymi organizáciami a ostatnými subjektami účastnými na liečbe myelómu, od vedeckých spoločností, cez vlády až po farmaceutický priemysel, by malo byť vybudované kvalitnejšie strategické partnerstvo.

MPE, podporovaná svojimi členskými organizáciami z celej Európy a ďalšími subjektami, pracuje na presadzovaní odporúčaní tejto Správy. Naším cieľom je poskytnúť "myelómovej komunite" všetky zdroje informácií potrebných na zabezpečenie efektívnejšej implementácie záujmov pacientov a zvyšovanie miery účasti pacientov na tvorbe rozhodnutí týkajúcich sa myelómu.

Metodológia

Informácie v tejto Správe boli skompilované z rešerší literatúry a iniciatív štátnych orgánov, zdravotníckych pracovníkov a patientskych organizácií, doplnených sériami rozhovorov s pacientami trpiacimi myelómom.

Správa neprináša porovnanie jednotlivých krajín a neobsahuje vyčerpávajúci prehľad názorov pacientov. Je mienená ako východiskový bod budúcej práce MPE a jej členov.

Správa bola pripravená za pomoci Vydavateľskej skupiny MPE a širšej poradnej rady zloženej zo špecialistov rozličných odborov, výskumných pracovníkov, pacientov a ich zástupcov.

Záveru tejto Správy sú preto informačne bohaté a všeobecne akceptované.



1. O myelóme

Myelóm a potreby pacientov

1. O myelóme

Myelóm – zriedkavá forma rakoviny kostnej drene – je medzi verejnosťou pomerne málo známa. Všeobecný lekár sa počas svojej praxe pravdepodobne stretne s najviac dvomi prípadmi myelómu. Táto kapitola skúma povahu tejto zriedkavej rakoviny, čo ju spôsobuje, a ako sa lieči. Najmä sa však venuje všetkým komplexným fyzickým a emočným vplyvom myelómu na pacienta – a aká liečba, podpora a iné aktivity by mu najviac pomohli vyrovnáť sa s týmto zničujúcim ochorením.

Najdôležitejšie informácie

- Neexistuje liek, ktorý by myelóm vyliečil
- Cieľom liečby je zabrániť rozvoju choroby, navodiť remisiu a zlepšiť kvalitu života
- Je to veľmi individuálna rakovina, komplikácie a reakcie na liečbu sa veľmi líšia od pacienta k pacientovi, a preto sa myelóm ťažko lieči
- Efektívne zvládanie myelómu si vyžaduje spoluprácu odborníkov viacerých špecializácií
- Diagnóza a liečba kladie pred pacientov vážne emočné výzvy
- Liečba sa za ostatných päť až desať rokov dramaticky zlepšila, vyhliadky pacientov však zostávajú skromné – ešte je potrebné veľa urobiť
- Náklady na liečbu myelómu sa v ostatných desiatich rokoch dramaticky zvýšili a tento trend bude pravdepodobne pokračovať

Čo je myelóm?

Myelóm, tiež známy ako mnohopočetný myelóm, je druh rakoviny kostnej drene, vyvierajúci z plazmatických buniek, ktoré sa normálne nachádzajú v kostnej dreni. Plazmatické bunky sú súčasťou imunitného systému.

Normálne plazmatické bunky vytvárajú protilátky (tiež nazývané imunoglobulíny), ktoré pomáhajú bojovať s infekciou. Pri myelóme abnormálne plazmatické bunky vypúšťajú iba jeden typ protilátky, nazývaný paraproteín alebo M-proteín, ktorý nemá nijaký úžitok. Meranie hodnoty tohto paraproteínu často umožní diagnostikovanie a monitorovanie myelómu.

Kostná dreň je "špongiovitá" hmota, ktorá sa nachádza v strede väčších kostí tela. Je domovom plazmatických buniek a centrom tvorby krvných buniek (červených krviniek, bielych krviniek a doštičiek).

Pri myelóme je DNA plazmatických buniek poškodená, čím sa stáva malígnou alebo rakovinotvornou. Tieto abnormálne plazmatické bunky sa volajú myelómové bunky. Na rozdiel od mnohých iných druhov rakoviny, myelóm nemá formu hrčky alebo nádoru. Namiesto toho sa myelómové bunky vytvárajú a šíria v rámci kostnej drene.

Myelóm ovplyvňuje mnoho miest v tele, kde je kostná dreň u dospelého normálne aktívna, t.j. v kostiach chrbta, lebky, panvy, rebier a v oblastiach okolo pliec a bokov. Konce tela - dlane, chodidlá a spodná časť rúk a nôh zvyčajne nie sú zasiahnuté a ich funkčnosť zostáva spravidla úplne zachovaná.

Väčšina medicínskych problémov spojených s myelómom je spôsobená tvorbou myelómových buniek v kostnej dreni a prítomnosťou paraproteínu v krvi alebo v moči. Častými ťažkosťami sú bolesti kostí, zlomeniny kostí, únava (spôsobená anémiou), opakované alebo pretrvávajúce infekcie (najmä infekcie hrudníka a močového mechúra), poškodenie obličiek a hyperkalcémia (zvýšenie hladiny kalcia v krvi).

U niektorých ľudí sa myelóm vyvinie po tom, ako boli diagnostikovaní na MGUS (Monoklonálnu gamapatiu nejasného významu). Tento pojem označuje stav zvýšeného abnormálneho proteínu charakteristického pre myelóm (paraproteínu), ale bez prítomnosti ostatných znakov myelómu (menej ako 10% plazmatických buniek v kostnej dreni bez znakov myelómovej choroby kostí). Pri MGUS je hodnota M-proteínu nižšia ako 30g/L.

Riziko prechodu MGUS do aktívneho myelómu je veľmi nízke, šanca je iba 1% za každý rok trvania tohto stavu. Dokonca aj vtedy, keď sú myelómové bunky na vyššej hodnote ako 10-30% z kostnej drene a hladina M-proteínu presahuje 30g/L, rýchlosť rastu môže byť veľmi malá a bez symptómov. Takýto stav sa označuje ako tlejúci myelóm.

Tak MGUS, ako aj tlejúci myelóm sa môžu počas mnohých rokov vyvíjať veľmi pomaly a nevyžadovať nijakú aktívnu liečbu. Je veľmi dôležité stanoviť správnu diagnózu, odlíšiť MGUS a tlejúci myelóm od aktívneho alebo symptomatického myelómu, ktorý je potrebné liečiť.

Veľmi malá časť pacientov s myelómom (1 - 4%) progreduje do plazmocelulárnej leukémie, vyznačujúcej sa vysokými hodnotami plazmatických buniek cirkulujúcich v krvi² a kratšou dobou prežitia.

Stručné fakty o myelóme

- Myelóm je zriedkavý, predstavuje zhruba 1% všetkých rakovín
- Trpí ním viac ako 84 000 ľudí v Európe
- Ide o druh rakoviny kostnej drene prameniáci z plazmatických buniek v kostnej dreni
- Zasahuje mnoho častí tela kde je kostná dreň aktívna
- Častejšie sa vyskytuje u ľudí afrického pôvodu
- Postihuje viac mužov ako žien
- Obvykle ním trpia ľudia starší ako 60 rokov
- Býva nazývaný aj "neznáma rakovina", pretože nepoznáme dôvod jeho vzniku
- Najčastejšími symptómami a vedľajšími účinkami sú bolesť kostí, zlomeniny kostí, únava, opakované alebo pretrvávajúce infekcie, poškodenie obličiek a hyperkalcémia
- Štvrtina pacientov, ktorým diagnostikujú myelóm, zomrie v priebehu jedného roka
- Myelóm vždy zrelabuje – nie je vyliečiteľný

Čo spôsobuje myelóm?

Za príčinu myelómu býva označovaná kombinácia genetických faktorov a faktorov prostredia. Napriek veľkému počtu štúdií venovaných nájdeniu novej príčiny vzniku myelómu, žiadna takáto príčina nebola preukázateľne zistená. Faktormi, u ktorých sa najčastejšie predpokladá, že by mohli viesť k vzniku myelómu sú:

- **Starnutie.** Keďže myelóm je bežnejší v neskorších štádiách života, panuje názor, že s vekom sa môže zvýšiť citlivosť a klesať efektívna funkcia imunity alebo že myelóm pramení z celoživotnej akumulácie toxínov alebo antigénnych faktorov
- **Vystavenie niektorým chemikáliám, radiácií a oslabený imunitný systém.** Je pravdepodobné, že myelóm sa vyvinie, keď je citlivý jedinec vystavený jednému alebo viacerým takýmto potenciálne spúšťacím faktorom
- **Obezita a nadváha** taktiež môžu zvyšovať riziko, na takýto záver je však potrebný ďalší výskum
- **Genetika.** Zriedkavo sa stáva, že sa v jednej rodine vyskytne viacero prípadov myelómu. Pravdepodobnosť, že k tomu dôjde, je veľmi nízka, v súčasnosti ani nie sú k dispozícii nijaké testy umožňujúce merať genetickú predispozíciu na myelóm. Ak sa aj myelóm vyskytne v jednej rodine viac ako raz, môže to byť skôr spôsobené faktormi prostredia

Ako myelóm ovplyvňuje život pacientov?

Myelóm je komplexnou rakovinou, ktorá postihuje pacienta tak fyzicky, ako aj emočne. Nasledujúci zoznam obsahuje najčastejšie (nie však všetky) fyzické a emočné dôsledky myelómu.

Fyzické:

- **Únava.** Je obvyčajne spôsobená anémiou. Únava vedie k obmedzeniu nezávislosti, zníženiu pracovnej spôsobilosti a finančným problémom.
- **Bolesť**
- **Zlomeniny**
- **Problémy s mobilitou**
- **Neplodnosť.** Tú môžu ako problém pociťovať mladší pacienti, najmä v súčasnosti, keď nové liečby vedú predĺžiť život na viac ako päť rokov
- **Riziko infekcie.** Neustála potreba znížiť každodenné riziko infekcie kvôli oslabenému imunitnému systému často spôsobuje ťažkosti s udržiavaním aktívneho spoločenského života

Emočné/Psychologické:

- **Úzkosť a depresia.** Pocit stigmy, pocit izolácie a strach z možného relapsu prispievajú k úzkosti a depresii
- **Prehľbovaný emočný dopad.** Okrem toho, že myelóm je nevyliciteľný, je aj veľmi zriedkavý a označovaný za "neznámu" rakovinu, čo prehľbuje emočné bremeno
- **Pokles libida.** Niektoré druhy liečby majú negatívny vplyv na sexuálne zdravie a libido. Tieto problémy sú v komunikácii medzi pacientom a lekárom často prehliadané, no môžu prispievať k depresii.

Pocit vylúčenia a strata sebadôvery:

- **Môže dôjsť k strate priateľov,** ak nie sú schopní porozumieť pacientovej situácii
- **Strata vlasov** po chemoterapii zväčša spôsobuje pocit vylúčenia
- Život s vedomím myelómu nezriedka prináša **pocit osobnej straty** – času a príležitostí
- Všetky tieto faktory prispievajú k **strate sebadôvery**

Príbeh Judy – Dopad myelómu

Keď bola Judy stanovená diagnóza, mala 33 rokov, dve malé deti a pracovala na plný úväzok ako investičná maklérka. Bola zvyknutá veľa pracovať, no začala trpieť častými infekciami. Krvné testy a biopsia kostnej drene odhalili tlejúci myelóm.

Odišla z práce a bola pod dohľadom odborníkov. Po piatich rokoch začali mať lekári strach, že stúpajúce hodnoty paraproteínu a nízky hemoglobín môžu znamenať prechod do aktívneho myelómu, čo negatívne ovplyvní kvalitu Judinho života. Judy sa na svoju žiadosť podrobila transplantácii kmeňových buniek a dostala sa do dobrej čiastočnej remisie.

Paraproteín sa začal opäť zvyšovať po štyroch rokoch od transplantácie, Judy však pomerne dobre zareagovala na liečbu. Po ďalšom roku a pol začala cítiť bolesť v boku, ktorá sa v nasledujúcich mesiacoch zintenzívnila. Na MRI bolo vidieť, že kosť bola signifikantne zasiahnutá myelómom. Druhá úspešná transplantácia Judy umožnila viesť do značnej miery pohodový život. Hlavným problémom je jej imunitný systém, ktorý bol zasiahnutý myelómom a po liečbe sa zhoršil. Judy musí byť veľmi opatrná, vyhýbať sa cestovaniu lietadlom a navštevovaniu zaľudnených priestranstiev, rizikových z hľadiska infekcie.

Myelóm a jeho liečba znamenajú tiež obrovskú mentálnu a emočnú záťaž. „Je to ako žiť po väčšinu času na okraji priepasti. Aj pre optimistu môže byť dosť únavné nevedieť, kedy príde ďalší relaps, a či potrebné lieky budú vo vašej krajine dostupné. Pri niektorých druhoch rakoviny ste po piatich rokoch považovaný za vyliečeného, s myelómom je to naopak - viete, že vždy zrelabuje.“ Judy tiež hovorí, že má pocit viny pre úzkosť, ktorú jej choroba vyvolala v rodine. Vie, že mala šťastie, že jej choroba bola diagnostikovaná tak rýchlo, no na druhej strane zažívala dlhé obdobie neistoty s tlejúcim neliečeným myelómom. Je rada, že má dobrý prístup k informáciám a pomoci. Cíti však, že iba málo lekárov úplne chápe, aká liečba by bola najlepšia pre jednotlivých pacientov, nie vždy berú do úvahy, ktorý pacient je vysoko a ktorý nízko rizikový, alebo či sa mu míňajú možnosti liečby. Tiež si myslí, že každé centrum kde sa liečia pacienti s myelómom, by im malo byť schopné poskytnúť informáciu o možnostiach participácie na klinických štúdiách.

**Judy Dewinter,
Pacientka s myelómom, Veľká Británia**

„Je to ako žiť po väčšinu času na okraji priepasti. Aj pre optimistu môže byť dosť únavné nevedieť, kedy príde ďalší relaps a či potrebné lieky budú vo vašej krajine dostupné.“ Judy

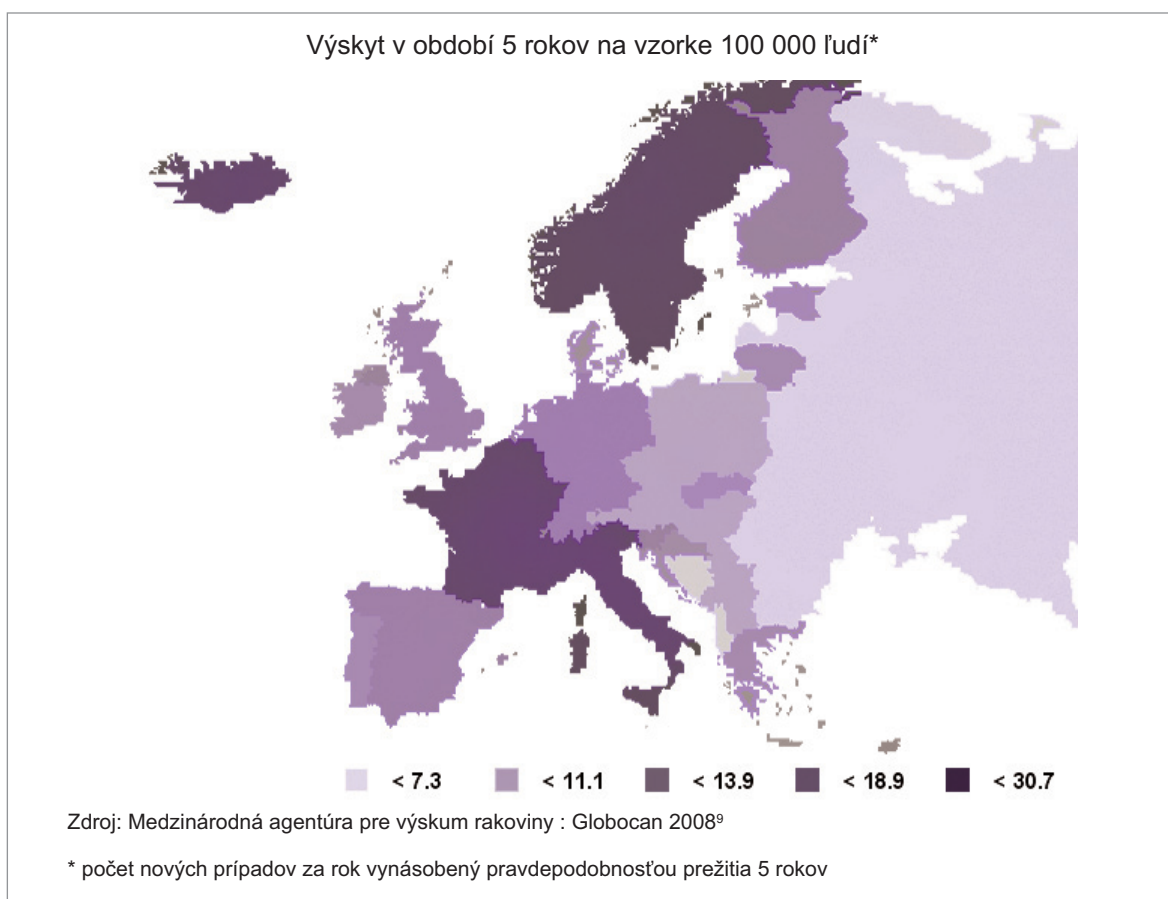
Dostane to mnoho ľudí?

Myelóm je relatívne zriedkavá rakovina:

- Myelóm je vzácny[‡], predstavuje zhruba 1% všetkých rakovín u belochov⁶ a 15% všetkých krvných rakovín⁷
- Je druhou najčastejšou krvnou rakovinou po non-Hodginovom lymfóme
- Myelóm je častejší u osôb afrického pôvodu a menej častý u Aziatov^{6,8}
- Zasahuje viac mužov ako ženy a spravidla postihuje ľudí starších ako 60 rokov

V roku 2008 bolo v 27 štátoch Európskej únie cca 73 000 pacientov s myelómom, v celej Európe viac ako 84 000[§]. Presný počet pacientov s myelómom môže byť väčší, keďže tieto čísla zahŕňajú iba pacientov, ktorí žijú s diagnózou aspoň päť rokov. Iba v samotnom roku 2008 bolo diagnostikovaných skoro 37 000 nových pacientov⁹.

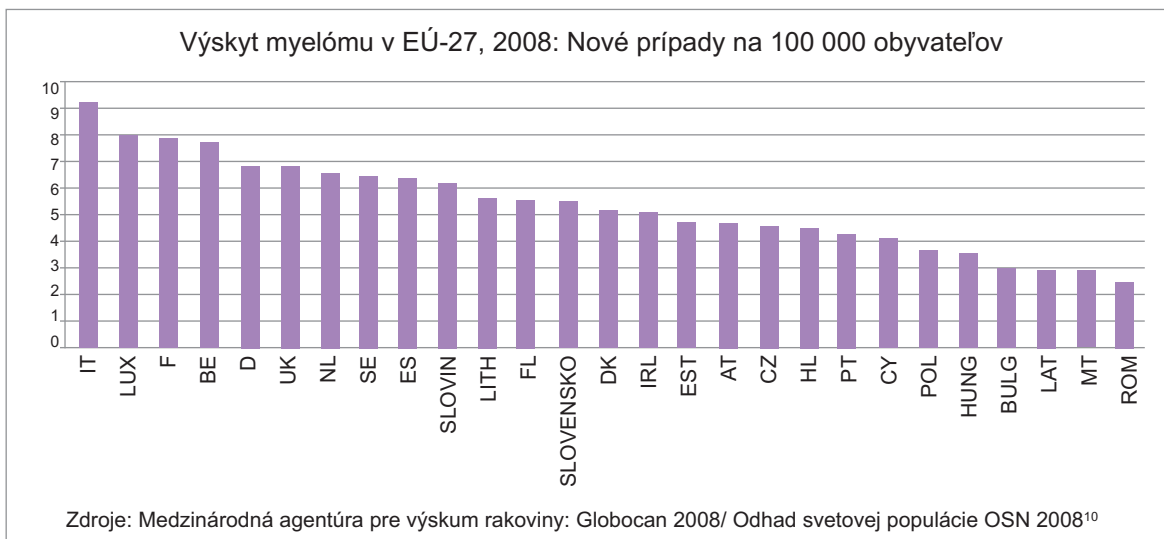
Ak porovnáme celú Európu, väčší počet pacientov s myelómom je v Západnej Európe ako vo Východnej Európe. Toto zistenie však môže byť čiastočne aj dôsledkom horšej diagnostiky alebo odlišných metód zberu údajov.



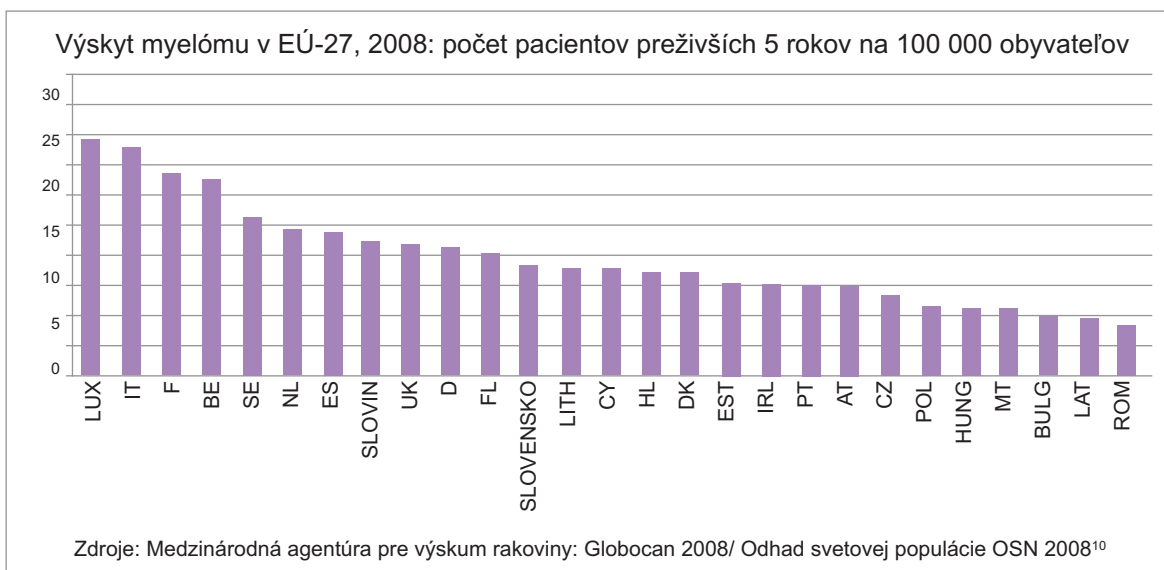
[‡] Zriedkavá choroba je definovaná ako choroba postihujúca nie viac ako 5 z 10 000 ľudí (podľa definície Európskeho akčného programu pre zriedkavé choroby 1999-2003), v iných oblastiach sveta sa môžu definície mierne líšiť.

[§] Odvodené z ostatného výskumu pacientov prežívajúcich 5 rokov Globocan 2008, Medzinárodná agentúra pre výskum rakoviny. Údaje z celej Európy zahŕňajú 27 štátov EÚ plus Bielorusko, Chorvátsko, Moldavsko, Ruskú federáciu, Ukrajinu, Island, Nórsko, Albánsko, Bosnu a Hercegovinu, Macedónsko, Čiernu horu, Srbsko a Švajčiarsko.

Niektoré z krajín EÚ majú buď väčší výskyt pacientov s myelómom alebo vedia myelóm efektívnejšie diagnostikovať. Počet nových prípadov sa medzi 27 krajinami EÚ líši viac ako trojnásobne.



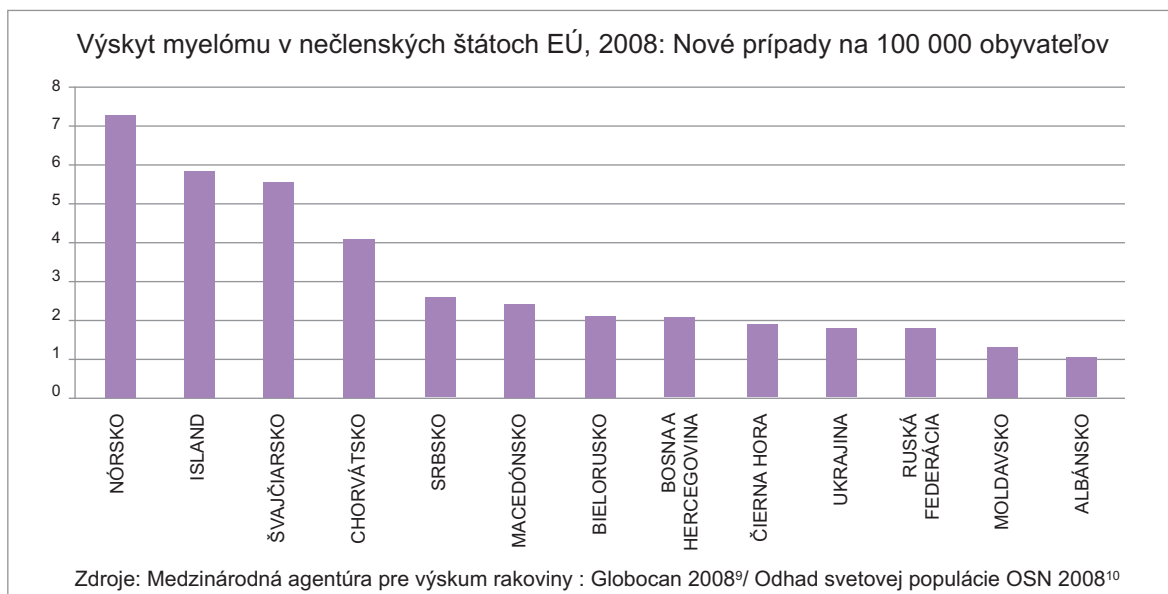
Aj tak sú v týchto krajinách najvyššie hodnoty prežívšich po piatich rokoch 4,5 násobne väčšie ako hodnoty najhoršie.



Výskyt myelómu a miera prežitia po piatich rokoch sú najvyššie v Luxembursku, Taliansku, Francúzsku a Belgicku. S výnimkou Slovinska sú najnižšie hodnoty v oboch sledovaných ukazovateľoch vo východoeurópskych členských štátoch.

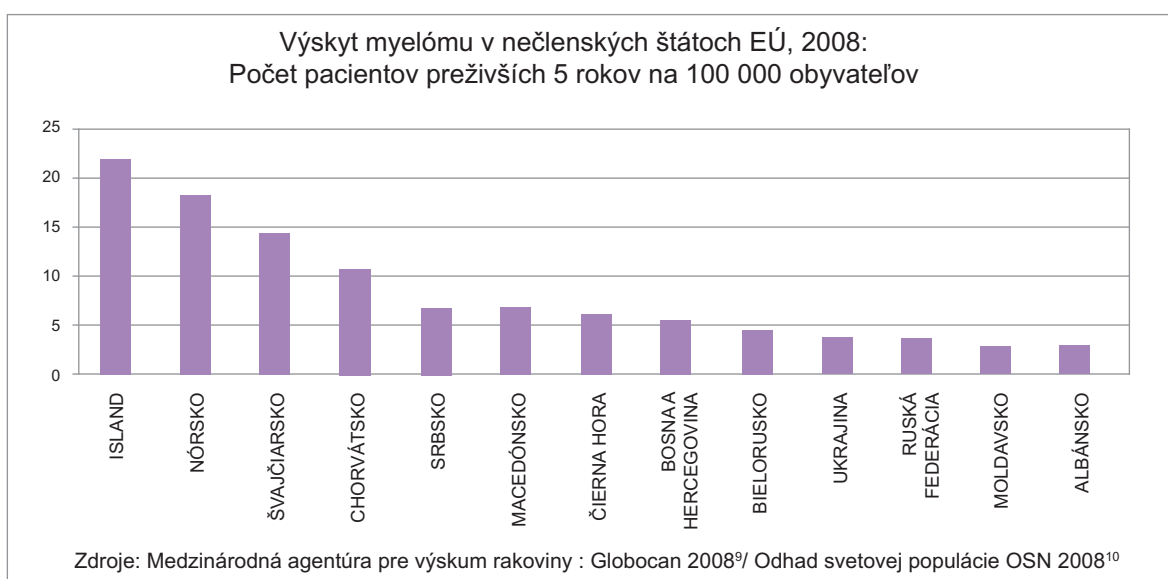
Iné zdroje uvádzajú, že prežitie viac ako päť rokov dosahuje v európskych krajinách od 23,1% po 46,7% pacientov s myelómom³. Všetky takéto závery však treba používať opatrne, keďže môžu byť ovplyvnené odlišnými metódami spracovania údajov. Je pravdepodobné, že v krajinách s veľkým výskytom myelómu sú niektorí pacienti s MGUS diagnostikovaní na myelóm, čo by vysvetlilo aj vysoké hodnoty v prežití a naopak, nízky výskyt môže znamenať, že pacienti neboli diagnostikovaní.

V európskych krajinách, ktoré nie sú (alebo ešte nie sú**) členmi EÚ možno vybadať niektoré charakteristiky:



- S výnimkou Nórska, Islandu, Švajčiarska a Chorvátska je v nich výskyt výrazne nižší ako vo väčšine krajín EÚ
- Najnižší zaznamenaný výskyt (v Moldavsku a v Albánsku) je iba 16% z najväčšieho výskytu v nečlenskom štáte EÚ (Nórsko) a 13% v členskom štáte EÚ
- Porovnanie oboch skupín údajov naznačuje, že významne nižší počet diagnostikovaných prípadov je vo väčšine nečlenských štátov EÚ a vo východoeurópskych členských štátoch EÚ (s výnimkou Slovinska)
- Hodnoty 5-ročného prežitia v Islande, Nórsku, Švajčiarsku a Chorvátsku sú výrazne lepšie ako v iných nečlenských štátoch EÚ a pre väčší počet výskytu tieto štyri krajiny konkurujú západoeurópskym krajinám EÚ s lepšími výsledkami

Pokiaľ ide o ďalšie európske krajiny, výskyt myelómu napr. v Turecku je 7,1/100 000 mužov a 4,5/ 100 000 žien. Tieto údaje však nie sú oficiálne a mali by byť interpretované opatrne^{††}.



** V čase vyhotovenia Správy – Chorvátsko sa stalo členom EÚ 1. júla 2013.

†† KANKO – Koalícia zaoberajúca sa rakovinou v Turecku

Ako sa myelóm lieči?

Napriek tomu, že myelóm nemožno vyliečiť, vo veľkej väčšine prípadov ho možno liečiť. Liečebné možnosti zaznamenali v ostatných desiatich rokoch veľký pokrok. V súčasnosti je dostupná široká škála liekov a ich kombinácií, pričom presný liečebný plán by mal byť navrhnutý individuálne pre každého pacienta.

Ciele liečby

Po stanovení diagnózy nastupuje úvodná liečba, zameraná na zníženie počtu myelómových buniek, zmiernenie symptómov a komplikácií, predĺženie života pacienta a zlepšenie jeho kvality⁷. Po období remisie prichádza v mnohých prípadoch relaps a liečbu je potrebné obnoviť s novými liekmi. Pacienti často zažívajú striedanie obdobia remisie s relapsom. Napokon už nie je dostupná žiadna liečba, ktorá by zastavila postup rakoviny.

Liečba myelómu

- Voľba liečby závisí od:
 - o Štádia a rizikovosti myelómu
 - o Zdravotného stavu konkrétneho pacienta a jeho individuálnych preferencií
 - o Rovnováhy medzi prospechom, ktorý možno získať z liečby a jej vedľajších účinkov
 - o Predĺženia života
 - o Dosiahnutia čo najlepšej kvality života pacienta
 - o Logistickej náročnosti dostupnej liečby
- Liečba a zvládanie myelómu sú komplikované a vyžadujú si spoluprácu odborníkov rôznych medicínskych odvetví, vrátane ortopéda, neurológa, nefrológa a algeziológa
- To, čo je vhodné pre jedného pacienta, nemusí byť vhodné pre druhého
- Výber liečby sa odvíja aj od smerníc klinickej liečby vydaných národnými zdravotníckymi orgánmi alebo organizáciami a zodpovedá právnomu rámcu vytváraného EMA a pravidlami financovania liečby vydanými príslušnými štátnymi orgánmi
- Mnohorakosť štandardov liečby a rôzna dostupnosť liekov spôsobujú významné rozdiely v liečbe v rámci Európy

Dostupná liečba

Pacienti s diagnózou myelóm sú liečení v závislosti od povahy a štádia choroby, veku, zdravotného stavu a svojich preferencií. Pacienti s diagnózou MGUS a tlejúci myelóm nepotrebujú liečbu. Vo všeobecnosti platí, že mladší a/alebo celkovo zdravší pacienti najprv dostanú kombinovanú liečbu, po ktorej nasleduje intenzívna liečba, pozostávajúca z vysokých dávok chemoterapie, ktorá má zničiť myelómové bunky. Nadväzuje podanie zdravých kmeňových buniek prostredníctvom transplantácie kmeňových buniek, vlastných alebo od vhodného darcu.

Starší pacienti (70 rokov a viac) a/alebo pacienti v celkovo horšom stave, alebo pacienti, ktorí by horšie zvládali vedľajšie účinky intenzívnej liečby, budú liečení podobnou kombináciou liekov (spravidla v iných dávkach), avšak bez vysokých dávok chemoterapie a bez transplantácie kmeňových buniek.

Typická kombinácia liekov bude pravdepodobne obsahovať

- Chemoterapiu, ktorá maximálne redukuje myelómové bunky (cyklofosfamid, melphalan alebo doxorubicin)
- Steroid na potlačenie zápalu (dexametazon alebo prednisolon)

- Novšie anti-myelómové liečby obsahujúce thalidomid (Thalidomide Celgene®), lenalidomid (Revlimid®) a bortezomib (Velcade®). Tie môžu zlepšiť účinok chemoterapie a brániť prežitiu myelómových buniek
- Lieky proti bolesti, ak sú potrebné, zvyčajne nesteroidné protizápalové lieky (NSAIDy) alebo v neskorších štádiách morfín

Rádioterapia je niekedy prvou liečbou špecifických oblastí poškodených myelómom, keďže prináša úľavu od bolesti rýchlejšie ako chemoterapia alebo lieky proti bolesti. Ničí myelómové bunky, ale zároveň aj zdravé plazmatické bunky, takže sa používa iba na liečbu malých oblastí spôsobujúcich veľké ťažkosti¹².

Zároveň s liečbou samotného myelómu, je dôležité aj brániť myelómu spôsobiť ďalšie škody na kostiach. Slúži na to bisfosfonátová liečba – zoledrónová kyselina (Zometa®) pamidronát (Aredia®) alebo klodronát (Bonefos®, Loron®).

Reakcia na liečbu

Ak je liečba úspešná, počet myelómových buniek v kostnej dreni sa zredukuje na nízku hodnotu umožňujúcu regeneráciu kostnej drene. Ak je myelóm stabilný, hovoríme, že je v remisii⁷.

Postup liečby sa zisťuje pravidelnými testami krvi a moču, merajúcimi hodnotu paraproteínu, ktorá by sa pri liečbe mala znižovať. Pacient by mal tiež pociťovať zmiernenie bolestí kostí, anémie a celkové zlepšenie zdravia⁷.

Výber dostupnej liečby

Odborník na liečbu myelómu vyberie vhodnú liečbu pre jednotlivého pacienta a jeho chorobu, zvažujúc úžitok a vedľajšie účinky liečby. Cieľom je predĺžiť život pacienta a zabezpečiť mu čo najvyššiu možnú kvalitu. Pomáhajú pri tom špecialisti s ďalších medicínskych odvetví, predovšetkým ortopéd, neurológ a nefrológ, ktorí sledujú a liečia mnohé komplikácie a symptómy myelómu.

Liečba myelómu kladie pred lekárov a pacienta zložité voľby pri výbere liekov, trvaní liečby, sledovania pacienta a výbere správnej podpornej starostlivosti. Voľba správna pre jedného pacienta nemusí vyhovovať druhému, ktorý má iné osobné preferencie, vek, genetiku, celkový zdravotný stav a ďalšie faktory.

Štandardy klinickej liečby

Výber optimálnej liečebnej stratégie môže byť podporený aj z štandardami optimálnej liečby a starostlivosti o pacientov s myelómom vydanými príslušnými štátnymi orgánmi alebo zdravotníckymi organizáciami v tej ktorej krajine.

Odporúčania v nich obsiahnuté je naozaj potrebné chápať ako odporúčania – skôr ako o súbor pravidiel ide o rady, ktoré vychádzajú z právneho rámca vytváraného Európskou liekovou agentúrou a štátnymi orgánmi danej krajiny, a v kontexte tohto právneho rámca sú aj používané.

Smernice v jednotlivých štátoch, napr. smernice vydané vo Veľkej Británii Myelómovým fórom Veľkej Británie a Britskou komisiou pre štandardy v hematológii alebo talianskou Hematologickou spoločnosťou, vychádzajú z liekov dostupných a hrađených v danej krajine^{13,14,15,16,17}. USA majú vlastné štandardy^{18,19,20}.

Širšie koncipované smernice venované špecifickým aspektom má tiež Medzinárodná pracovná skupina myelómu, pôsobiaca v rámci Medzinárodnej myelómovej nadácie (IMF)²¹ a Európska spoločnosť pre medicínsku onkológiu²².

Klinické smernice odporúčajú postupy, ktoré najväčšmi preukázali svoju účinnosť alebo sú výsledkom konsenzu expertov. Ich cieľom je podporiť a usmerniť zdravotníckych pracovníkov, nie však nahradiť ich skúsenosti a kvality²³. V ideálnom prípade by smernice mali obsahovať najlepšie a najaktuálnejšie odporúčania o možnostiach liečby, založené na aktuálnych a overených výsledkoch výskumu²⁴. Ich používanie by uchovávalo profesionálnu autonómiu a racionalizovalo narastajúce množstvo poznatkov do relatívne jednoznačných odporúčaní, čím by zároveň lekárov chránilo pred kritikou či dokonca prípadnými žalobami²⁵.

Nie je však možné pripraviť odporúčania pre všetkých pacientov a všetky možnosti liečby, ani nie je možné zabrániť tomu, aby mali niektorí lekári za každých okolností vlastný názor. V praxi sa preto smernice nie vždy dodržiavajú – mnohokrát úplne odôvodnene.

Veľký počet smerníc a rozdiely v dostupnosti konkrétnych liekov v jednotlivých krajinách vedú k odlišnostiam v liečbe a starostlivosti v rámci Európy.

Najnovší pokrok vo výskume

Mnohé nové poznatky o liečbe a zvládaní myelómu z posledných niekoľko rokov majú významný dopad na spôsob, akým je liečený. Výskum prináša stále nové lieky a možnosti využívania existujúcich liekov lepším a účinnejším spôsobom. Liečba myelómu môže veľmi efektívne brániť jeho rozvoju, kontrolovať symptómy a zlepšovať kvalitu života.

Nové liečby umožnili dosiahnutie úplnej reakcie¹¹ (t. j. kontrolu myelómu a stabilnú remisiu) u väčšieho množstva pacientov ako v minulosti. Myelóm sa tak u niektorých pacientov stáva chronickým stavom.

Myelóm je veľmi komplexnou a plynule sa vyvíjajúcou rakovinou. V jeho jadre sa nachádzajú genetické zmeny, ktoré na seba navzájom pôsobia, spôsobujú tak progres myelómu, ktorý sa napokon stáva odolným na liečbu. Štúdiom genetických modifikácií vyskytujúcich sa pri myelóme je zásadným pre pochopenie biologických a bunkových zmien, ktoré vedú k rakovine. Najdôležitejším sa stalo rozpoznanie množstva genetických zmien, ktoré ovplyvňujú pacientovu prognózu. Aktuálny pokrok v cytogenetických a fluorescenčných technológiách a génová profilácia v súčasnosti umožňujú detekciu týchto zmien. V nasledujúcich 5 – 10 rokoch zrejme budeme svedkami eskalácie týchto objavov a ich prenesenia do klinických štúdií, umožňujúcim prispôbiť liečbu jednotlivým pacientom.

Je liečba myelómu drahá?

V minulosti bola liečba myelómu v drivej väčšine prípadov relatívne lacná. Príchod nových liekov však spôsobil dramatický nárast nákladov na liečbu, a to nielen pokiaľ ide o cenu týchto liekov, ale aj nákladov na spôsob, ktorým sú aplikované.

Dôsledkom je, že náklady na liečbu myelómu patria medzi najvyššie spomedzi všetkých rakovín²⁶. Novšie lieky ako bortezomib (Velcade®) alebo lenalidomid (Revlimid®) stoja niekoľko tisíc eur mesačne. Tieto náklady sú neustále prísne prehodnocované, najmä s ohľadom na to, akú pridanú hodnotu prinášajú.

Zhrnutie

Myelóm je veľmi komplexná rakovina, ktorej ešte úplne nerozumieme. Dostupné liečby môžu priniesť uspokojivý úžitok. Platí to najmä pre novšie lieky, ktoré zlepšujú účinok chemoterapie. Vytvárajú sa genetické technológie sú príslubom do budúcnosti. Stále je však pravdou, že po kolobehu remisie a relapsu nie je možné vyliečiť sa, takže pacienti zažívajú veľkú neistotu.

Kvôli všetkým týmto okolnostiam je veľmi dôležité zaujať k pacientovi a jeho liečbe holistický prístup – taký, ktorý sa sústreďí rovnako na človeka, ako na rakovinu.

Mikov príbeh – aj po 25 rokoch sa cítim stále dobre

Keď mal Mika 20 rokov, oznámili mu, že mu zostávajú tri roky života. Bolo to pred 25 rokmi a teraz sa má dobre, je šťastný a schopný robiť temer všetko čo chce (okrem hrania basketbalu). Nedávno stretol svojho lekára, pre ktorého je stále najmladším pacientom s myelómom.

Ako mladý muž bol Mika vojakom fínskej armády. Pri behu začal pociťovať bolesť v nohe. Pri chôdzi dolu po schodoch si zlomil stehennú kosť. „Môj život ani nezačal, keď mi lekár povedal, že mám rakovinu.“ Zlomenina bola spôsobená plazmocytómom. V tom čase (polovica 80-tych rokov) bolo veľmi ťažké získať informácie, keďže neexistovali myelómové organizácie alebo internet. Mika chodil na kurz pre pacientov s rakovinou, no ani tam sa o svojej zriedkavej chorobe nedozvedel nič konkrétne. Bolo preňho ťažké klásť otázky lekárom a sestram.

Mika podstúpil operáciu na odstránenie plazmocytómu, po ktorej nasledovala rádioterapia, v roku 2000 sa kolotoč zopakoval. V roku 2008 dostával chemoterapiu na myelóm a jeho kmeňové bunky boli zamrazené na transplantáciu, ktorá však nakoniec nebola potrebná. „Viem a dúfam, že jedného dňa mi transplantácia umožní žiť ďalej a je fajn vedieť, že moje kmeňové bunky sú k dispozícii a nebudem potrebovať darcu.“ Má pocit, že liečba myelómu vo Fínsku je výborná, chýba mu ale psychologická podpora. Spoločenská a emočná pomoc a informácie ako zvládať každodenný život prichádzajú najmä od dobrovoľníckych organizácií pre boj s rakovinou. Plán fínskej vlády na rok 2011 však obsahoval aj vytvorenie národného centra pre rakovinu, ktoré bude pomáhať organizáciám pacientov.

Mika začal pracovať na plný úväzok pre patientsku organizáciu a sám seba považuje za šťastného človeka. Ostatným pacientom s myelómom hovorí: „Ak o svojej chorobe viete veľa, veľmi vám to pomôže. Lepšie pochopenie choroby môže pomôcť zvládať neistotu a zmierniť nepodložené obavy. Myslím, že byť pozitívny je jediná cesta ako žiť. Snažím sa mať normálny život, chodiť do práce, byť s mojou ženou a mojimi priateľmi.“

Mika Peltovaara
Pacient s myelómom, Fínsko

„Lepšie pochopenie choroby môže pomôcť zvládať neistotu a zmierniť nepodložené obavy.“ Mika



2. Odporúčané postupy v liečbe a starostlivosti o pacientov s myelómom – sú dodržiavané?

2. Odporúčané postupy v liečbe a starostlivosti o pacientov s myelómom – sú dodržiavané?

Ľudia s komplexnou rakovinou, akou je myelóm, potrebujú špecifickú pomoc od celého radu rôznych subjektov, tvoriacich spolu komplexný multi-disciplinárny tím. Táto kapitola prináša prehľad o týchto potrebách a o najväčších nedostatkoch v ich napĺňaní v mnohých európskych krajinách.

Dostupnosť najlepších štandardov starostlivosti limitujú najmä neskorá diagnóza a obmedzený prístup k najnovšej liečbe, dostatočným informáciám, klinickým štúdiám a psychologickú podporu, ako aj rozdiely vyplývajúce z geografickej polohy, veku a spoločensko-ekonomických faktorov.

Najdôležitejšie informácie

- Štatistické údaje o dĺžke prežitia pacientov odrážajú možné rozdiely v diagnostike, liečbe a starostlivosti medzi európskymi krajinami
- Najväčšími bariérami optimálnej starostlivosti sú:
 - o neskorá diagnóza
 - o zlý prístup ku schválenej liečbe
 - o mrhanie zdrojmi
 - o regionálne rozdiely
 - o odlišnosti v úhrade nákladov na zdravotnú starostlivosť
- Starší pacienti sú náchyľnejší na ďalšie zdravotné problémy popri myelóme
- 5-ročné prežitie je častejšie u mladších pacientov
- Horšiu perspektívu majú najmä ľudia s nižšími príjmami, nižším vzdelaním, perspektívu ovplyvňuje aj to, v ktorej krajine pacient žije
- Kultúrne tradície v danom štáte tiež môžu mať vplyv na prístup pacientov k liečbe a pomoci. Pre mnohých ľudí je ťažké klásť otázky, a tým pádom aj nachádzať informácie o najnovších liekoch, klinických štúdiách a/alebo psychologickú podporu.

Čo by mali pacienti očakávať od liečby a starostlivosti?

V tomto zozname sa nachádzajú najdôležitejšie (nie však nevyhnutne všetky) predstavy pacientov o tom, čo spoluvytvára najlepšiu starostlivosť a liečbu.

Najnovšia liečba

Za ostatných desať rokov došlo k významnému pokroku v liečbe myelómu. Dostupnými sa stali nové inhibítory proteázy, ako je carfilzomib a imunomodulačné lieky, napríklad pomalidomid. Tieto nové lieky sľubujú výrazne lepšie výsledky ako tradičná liečba. Keďže myelóm relabuje a vracia sa, a zostáva pritom nevyliciteľný, pacienti potrebujú mať prístup k tým najlepším liekom, aké im vie výskum ponúknuť.

Informácie

Úvodný šok a otupenosť z diagnózy môžu byť zmiešané s hnevom (prečo ja?), odmietaním alebo úľavou, že dosiaľ nevysvetliteľné symptómy, ktoré pacient pociťoval, majú svoj dôvod. Ako prvé potrebuje pacient informácie, ktoré by mali byť zrozumiteľné (a teda nie príliš odborné) a aktuálne.

Informácie týkajúce sa priamo konkrétneho jednotlivca a jeho konkrétneho myelómu pacientovi umožňujú lepšie porozumieť svojej chorobe, zohrávať informovanú úlohu pri prijímaní rozhodnutí o liečbe a cítiť tak väčšiu kontrolu nad svojim stavom. Nie každý pacient však chce všetky dostupné informácie, dôležité je, aby mal toľko informácií, koľko potrebuje²⁸.

Život s myelómom – chcem o tom vedieť všetko

„Verím, že je dôležité, aby novo diagnostikovaným pacientom, snažiacim sa prekonať prvotný šok z diagnózy, nemocnica pomohla nadviazať kontakt s tými, ktorí už podstúpili transplantáciu kmeňových buniek a vedú niekoľko rokov normálny život bez potreby ďalšej liečby. Po stanovení mojej diagnózy pred dvanástimi rokmi som si vytýčil dva ciele – rozhodol som sa zbaviť sa tejto rakoviny a porozumieť jej povahe a možnostiam liečby. Nevedel som nič o hematológii, no začal som študovať najnovšie publikácie na internete a zúčastnil som sa mnohých seminárov o myelóme. Vedomosti, ktoré som získal, sa stali mojim cenným spojencom v boji s myelómom, a po mnohých rokoch štúdia ma mnohí považujú za pacienta – odborníka.“

Stewart McRobert

Pacient s myelómom, Veľká Británia

*„Rozhodol som sa zbaviť sa tejto rakoviny a porozumieť jej povahe a možnostiam liečby.“
Stewart*

Efektívna komunikácia

Pacienti potrebujú nielen informácie, ale aj efektívnu komunikáciu s lekárom a dostatok času na zváženie svojich možností. Aj v prípade, že nie je potrebné robiť nič iné, len pacienta pravidelne sledovať, je dôležité, aby pacient rozumel, prečo je to pre neho vhodné a nemal pocit, že sa nerobí nič, aby sa mu pomohlo.

Psychologicko - sociálna podpora

Pacienti sú náchylní na depresiu, a preto by mali mať prístup k pravidelnému hodnoteniu psychického stavu, psychologickému podpore a poradenstvu. Je dobre známe, že emočná podpora zo strany partnera, rodiny, priateľov a ďalších osôb pomáha pacientom prispôbiť sa situáciám a zvládať ju. Partner a ďalšie blízke osoby sú kľúčovými nositeľmi dôvodov, prečo má pacient bojovať²⁹ (čo v ňom však často vyvoláva aj veľký stres). Ideálne by bolo, ak by nemocnica prijala praktické opatrenia na zabezpečenie pravidelnej účasti orgánov sociálnych služieb na liečbe a pomoci a úplnú dostupnosť relevantných nástrojov sociálneho zabezpečenia.

Presný prehľad o dostupnosti psychologickému, sociálnej a emočnej podpory možno získať len ťažko, z informácií, ktoré sú dispozíciou vyplýva, že takáto podpora je zriedkavá, a to predovšetkým vo Východnej Európe.

Aj blízki potrebujú podporu

Emočná záťaž kladená na ľudí, starajúcich sa o pacienta s myelómom, čo je často partner alebo iný člen rodiny, je niekedy dokonca väčšia ako bremeno samotného pacienta⁵. Aktuálna štúdia v štyroch britských nemocniciach preukázala, že temer polovica partnerov pacientov s myelómom (48,8%), uvádza príznaky úzkosti a 13,6% má príznaky depresie⁵.

Títo ľudia potrebujú rovnaké informácie o myelóme a jeho liečbe ako samotní pacienti, okrem toho však majú aj ďalšie potreby, ktoré pacienti nemusia zdieľať, a o ktorých nemusia chcieť vedieť. Zdravotnícky pracovníci by sa preto mali uistiť, že opatrovatel' pacienta a členovia jeho rodiny majú podporu, ktorú potrebujú, aby zvládali pretrvávajúce vedľajšie účinky alebo komplikácie, či prípadný nedostatok potrebných zdravotníckych služieb v mieste bydliska a vyrovnali sa so zmenami, ktoré myelóm spôsobuje pacientovi⁵.

Pacientske organizácie v mnohých európskych krajinách poskytujú takýmto ľuďom potrebnú podporu, najmä tým, že vytvárajú fóra pre vzájomnú výmenu informácií. Napríklad Holandská myelómová spoločnosť^{††} poskytuje vyčerpávajúce a špecifické informácie pre pacientov a pre ich blízkych.

Prístup k odborným stanoviskám v rámci multi-disciplinárneho tímu

Tak ako pacienti potrebujú, aby špecialista – hematológ navrhol vhodnú liečbu myelómu samotného a prípadných ortopedických a nefrologických komplikácií, potrebujú aj pomoc od rôznych ďalších odborníkov, členov tzv. multi-disciplinárneho tímu. Jeho členmi by mala byť špeciálna myelómová alebo hematologická sestra, rádiológ, ortopéd, nefrológ, fyzioterapeut, dietológ a odborník na paliatívnu liečbu.

Špeciálna myelómová sestra

Špeciálne sestry sú veľmi dôležité pre budovanie potrebnej dôvery²⁹ v rámci multi-disciplinárneho tímu. Pacienti uvádzajú, že sa im ľahšie komunikuje so sestrou ako s lekárom, kvôli menšiemu časovému tlaku a lepšiemu porozumeniu dopadom myelómu na každodenný život. Špeciálna sestra im tiež môže pomôcť s praktickými úkonmi.

Prístup k potrebnej liečbe

Rozhodnutie či liečiť alebo neliečiť je veľmi dôležité. Liečba, v prípade, že je potrebná, sa odvíja od štádia myelómu, výskytu alebo absencie symptómov a komplikácií, a od celkového zdravotného stavu. Ideálom je liečba šitá na mieru jednotlivcovi podľa jeho veku, kondície a ďalších medicínskych aspektov. V budúcnosti bude možno naozaj reálne ponúknuť pacientovi personalizovanú liečbu, zohľadňujúcu jeho genetický profil.

Príležitosť participovať na výskume

Mnohí pacienti vítajú šancu zapojiť sa do klinických štúdií nových liekov. Tie ponúkajú pacientom dvojaký úžitok spočívajúci jednak v možnosti byť liečený liekom budúcnosti a rovnako aj v prínose intenzívneho sledovania zdravotného stavu počas trvania štúdie.

Spoločné prijímanie rozhodnutí

Je dôležité, aby pacienti cítili, že ich postoje a preferencie sú brané do úvahy pri prijímaní rozhodnutí o liečbe. Liečba sa môže vyvíjať rôzne, mnohokrát je potrebné hľadať rovnováhu medzi úžitkom z liečby a jej vedľajšími účinkami. Efektívna komunikácia a zdieľanie informácií medzi lekárom a pacientom umožní zvážiť všetky medicínske a psychologické faktory a zvoliť najlepší možný smer liečby.

Posledné dni života

Príde čas, kedy myelóm postúpi natoľko, že nebude možná liečba³⁰. Vtedy je úlohou lekára veľmi citlivo vysvetliť túto situáciu pacientovi. Starostlivosť o pacienta by mala zodpovedať jeho želaniam a zdravotníci poskytujúcu paliatívnu starostlivosť aj tí, ktorí sa o neho starali predtým, sledujú fyzické a emočné potreby pacienta a jeho rodiny. Nepotrebná liečba by mala byť ukončená a hlavné symptómy, najmä bolesť, by mali byť zvládané tak, aby mal pacient čo najväčší možný komfort¹⁴.

^{††} CMWP – Contactgroep Myeloom en Waldenström Patiënten

Je mnoho spôsobov, ako pacienti prežívajú posledné dni života. Kým niektorí pacienti čerpajú útechu z nádeje, duchovna, podpory rodiny²⁹, iní môžu byť odmietaví, vzdialení, ľútostiví³⁰. Tieto reakcie môžu prameniť z neschopnosti prijať fakt konca života, alebo z nespôsobilosti otvorene hovoriť s rodinou a želanie chrániť ju. Členovia rodiny sa niekedy sústredia na prítomnosť namiesto budúcnosti, ktorá je príliš znepokojivá³⁰. Pacienta a jeho rodina potrebujú emočnú podporu a efektívnu komunikáciu³⁰.

Christin príbeh – pozitívny postoj je najviac

Presne pred siedmimi rokmi bol Christe diagnostikovaný myelóm. Odvtedy podstúpila rad liečob, vedúcich do remisie a následného relapsu, znova a znova. Najprv bola liečená dvomi transplantáciami vlastných kmeňových buniek, ktoré ju priviedli do čiastočnej remisie a mohla sa na viac ako rok vrátiť do práce. No po relapse Christini lekári nevedeli zozbierať kmeňové bunky. Liečba thalidomidom v nej vyvolávala extrémnu únavu a smútok, namiesto neho je bol preto nasadený Velcade®, s ktorým dosiahla dobrú remisiu.

Po ďalšom relapse Christa súhlasila s alogénnou transplantáciou kmeňových buniek od svojej sestry, ktorá bola našťastie vhodnou dárkyňou. Obdobie po transplantácií bolo zo všetkých najťažšie, Christa nevedela, či transplantácia prinesie želané výsledky, nebola schopná jesť, nemohla ísť medzi ľuďi kvôli riziku infekcie. Pomáhali jej však niektoré homeopatiká, joga, meditácia a dýchacie techniky, a aj šport – keď sa už cítila opäť dobre. „Najdôležitejšie bolo, že som sa naučila, že rakovinové bunky nie sú mojimi nepriateľmi. Považujem ich za svojich priateľov, ktorí sa mi snažia niečo povedať, a ja mám zistiť, čo to je. Musela som trochu zmeniť svoju osobnosť a snažiť sa žiť uvedomelejšie, pretože každý deň môže byť môj posledný. Myelóm nie je vyliečiteľný, takže musíte o tom premýšľať, mne pomohlo, že som si prečítala veľa o filozofii.“

Christa spolupracovala so svojpomocnými skupinami v rámci organizácie myelómových pacientov už krátko po svojom diagnostikovaní. Než sa k nim pridala, mala pocit, že počula “príliš veľa zlých vecí“, za veľmi prínosnú však považuje výmenu skúseností s ostatnými pacientmi. Po udžiavacej liečbe lenalidomidom Christa zrelabovala a v pečeni sa jej vyvinul solídny plazmocytóm, ktorý sa podarilo eliminovať rádioterapiou. „Je to nekonečný príbeh“, hovorí. „Každý prípad myelómu je iný. Moja rada pre každého pacienta znie – informujte sa“.

**Christa Kolbe-Geipert,
Pacientka s myelómom, Nemecko**

„Každý prípad myelómu je iný. Moja rada pre každého pacienta znie - informujte sa“. Christa

Čo chýba v liečbe a starostlivosti o pacientov s myelómom? Pohľad pacientov

Výskum preukázal, že mnohí pacienti s myelómom majú nižšiu kvalitu života ako pacienti s inými formami rakoviny krvi^{5,31}. V aktuálnej štúdii vo Veľkej Británii⁵ jedna štvrtina zo zúčastnených pacientov uviedla, že ich potreby v oblasti starostlivosti nie sú napĺňané. Rovnaké potreby popisujú aj ich blízke osoby - opatrovatelia, ktorí sú snád' ešte vyčerpanejší ako samotní pacienti.

Medzi potrebami pacientov a ich opatrovateľov dominujú⁵:

- Potreby súvisiace so zdravím, napr. bolesť ovplyvňujúca každodenný život, zhoršená fyzická výkonnosť, únava, vedľajšie účinky liečby
- Emočné/psychologické potreby, napr. úzkosť ohľadom liečby a vedľajších účinkov, úzkosť ohľadom záťaže pre blízke osoby, úzkosť ohľadom refraktérneho myelómu alebo relapsu, depresia
- Praktické potreby, napr. prístup na nemocničné parkovisko
- Finančné, napr. prístup k životnému poisteniu
- Sociálne, napr. nedostatok informácií a porozumenia o myelóme medzi väčšinou populácie

Okrem týchto potrieb boli v štúdií popísané aj ťažkosti s účasťou pacienta na rozhodovaní lekára o liečbe.

Čo bráni pacientom s myelómom dostávať najlepšiu liečbu a starostlivosť?

Je zrejmé, že nie každý pacient v Európe dostáva najlepšiu možnú liečbu a starostlivosť. Hlavnými bariérami sú:

Oneskorená diagnóza

Keďže má myelóm taký devastačný fyzický dopad, včasná diagnóza je kľúčová pre efektivitu liečby a predĺženie života v akceptovateľnej kvalite. V niektorých krajinách EÚ pacienti čakali na stanovenie správnej diagnózy až dva roky. Počas tohto obdobia pociťovali únavu, bolesť, úzkosť, kvalita ich života bola znížená. Všeobecní lekári a ortopédi sa často stretnú so symptómami myelómu, akým je napríklad bolesť chrbta. Ako však ukázal prieskum v Belgicku, všeobecný lekár sa počas 30 ročnej praxe pravdepodobne stretne s najviac dvoma prípadmi myelómu. Oneskorenie spôsobí, že stav pacienta je v čase stanovenia diagnózy horší a pravdepodobnejšími sú zlomeniny kostí, nefrologické problémy alebo infekcie, ktoré sťažujú podávanie chemoterapie.

Všeobecní lekári a ortopédi by mali vedieť, že malé množstvo ľudí trpiacich bolesťami chrbta, môže mať v skutočnosti myelóm a mali by byť upozorení na ďalšie príznaky myelómu. Ľudia s podozrením na myelóm by mali byť urýchlene odoslaní špecialistovi, ktorý stanoví diagnózu.

Zlá dostupnosť schválenej liečby

Neoficiálne je preukázané, že liečba schválená Európskou liekovou agentúrou (EMA) často nie je rovnako dostupná v jednotlivých krajinách Európy alebo je jej dostupnosť spojená s obmedzeniami. Variabilita liečby v rámci jednotlivých krajín a medzi nimi, je spôsobená odlišnými preferenciami lekárov a rozdielnymi systémami zdravotnej starostlivosti, mierou financovania verejného a súkromného sektora a taktiež rôznymi pravidlami pre úhradu liečby v rámci zdravotného poistenia.

Napríklad Revlimid® bol schválený EMA ako liečba druhej línie (t. j. po prvom relapse) v kombinácii s dexametazonom. No napríklad v Belgicku bol spočiatku hrazený zo zdravotného poistenia iba ako liečba tretej línie po relapse pri liečbe s Velcade®, a iba v ôsmich cykloch. Okrem toho, ak pacient nebol v aspoň čiastočnej remisii po štyroch cykloch Revlimidu, preplácanie tejto liečby bolo zastavené. Lekári nemohli predpísať Revlimid v súlade s podmienkami jeho schválenia. Belgická patientska organizácia spolupracovala s lekármi a farmaceutickou spoločnosťou na presadení takých pravidiel pre preplácanie Revlimidu, aby belgickí pacienti mohli užívať liek v súlade s podmienkami jeho schválenia.

Pravidlá financovania liečby myelómu v niektorých krajinách Východnej Európy popisujú patientske organizácie ako "katastrofálne". V Maďarsku štát hradí iba tri cykly liečby Velcade a jeho generikami, Revlimid je iba snom. Náklady na liečbu Revlimidom z vlastného vrecka sú okolo 6 000 - 7 000 EUR, čo je pre väčšinu pacientov priveľa. Francúzsko, Nemecko, Belgicko a väčšina ostatných krajín Západnej Európy má štedrejší systém.

Odliv mozgov

Ťažkosti, ktorým čelia východoeurópski lekári pokúšajúci sa poskytovať svojim pacientom starostlivosť s menej pokrokovými liečebnými možnosťami spôsobujú, že mnohí opúšťajú svoje krajiny a odchádzajú do vyhovujúcejšieho pracovného prostredia s prístupom k väčšine najnovších liečob. Perspektívy pacientov s myelómom sa tak v mnohých krajinách ešte viac zhoršujú.

Regionálne rozdiely

Štandard dostupnej starostlivosti sa líši podľa toho, kde pacient žije. Napríklad univerzitné nemocnice majú špecialistov na liečbu myelómu, zapojených do aktuálnych štúdií, oboznámených s najnovšími poznatkami o používaní a výhodách inovatívnych liečob. Na druhej strane, pacienti vo vidieckych, lokálnych nemocniciach, sú často v starostlivosti všeobecného hematológa alebo onkológa, ktorý nemusí byť úplne informovaný o najnovších pokrokoch vo výskume, klinických štúdiách a špecifikách myelómu.

Geografia, vek, sociálno – ekonomické faktory a kultúra

Myelóm zasahuje najmä starších ľudí, s menšími možnosťami liečby a participácie na klinických štúdiách. Tí sú náchylnejší na ďalšie zdravotné problémy, zhoršujúce ich celkový stav³². Päťročné prežitie je preto omnoho častejšie u mladších pacientov³².

Johanov príbeh – som šťastný, že som nemusel platiť náklady na liečbu

Johan žije v Belgicku a myelóm má 15 rokov. Z liečob, dostupných v čase stanovenia diagnózy, bol liečený iba bisfosfonátmi. Po piatich rokoch začal s indukčnou liečbou VAD, po ktorej mala nasledovať transplantácia kostnej drene. K tej však nedošlo, keďže indukčná liečba nebola úspešná.

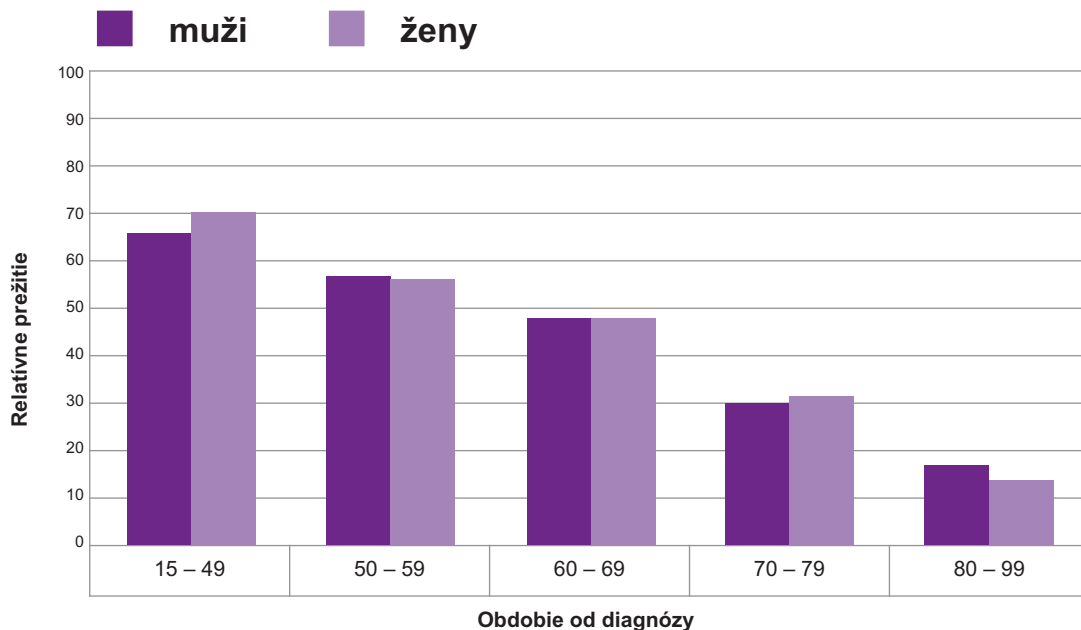
Myelóm zostával stabilný počas siedmich rokov, bola však potrebná rádioterapia dvoch plazmocytómov a neskôr aj ďalšieho, ktorý zasiahol panvovú kosť. Začalo sa s liečbou podľa schémy Velcade-dexametazon (4 cykly), nasledoval cyklofosamid, liečba rastovým hormónom a transplantácia kmeňových buniek. Po všetkých týchto liečbach nastúpila konsolidačná liečba najprv samotným thalidomidom, neskôr v kombinácii s Velcade – dexametazónom.

„Som veľmi spokojný so zdravotnou starostlivosťou, ktorú dostávam“, hovorí Johan. „Všetky liečby som podstúpil po konzultácii s mojím doktorom a ďalším plusom je, že vďaka mojej práci mám doplnkové zdravotné poistenie. Liečba myelómu a spôsob úhrady nákladov v rámci zdravotného poistenia sa v jednotlivých krajinách líšia.“

Johan Creemers
Pacient s myelómom, Belgicko

„Liečba myelómu a spôsob úhrady nákladov v rámci zdravotného poistenia sa v jednotlivých krajinách líšia.“ Johan

5 ročné prežitie vo vzťahu k veku, Anglicko, 2005 – 2009



Zdroj: Výskum rakoviny, Veľká Británia 2012³²

Počas ostatných desiatich rokov bolo zistené zvýšené riziko myelómu a horšia perspektíva u ľudí s nižšími príjmami alebo nižším vzdelaním. Štúdie v minulosti na túto skutočnosť neupozorňovali^{32,33}. Vzďialenosť od zdravotnej starostlivosti môže oneskoriť alebo odradiť vidieckych obyvateľov od hľadania diagnózy a liečby, tiež ľudia z nižších sociálno-ekonomických skupín častejšie vyhľadajú lekára až keď je ich choroba rozvinutá.

Možno sa domnievať, že príslušníci nižších sociálno-ekonomických skupín navštevujú lekára menej často a nie sú ním odoslaní na dôkladné vyšetrenia³³. Tiež bolo zistené, že starší ľudia, ženy a osoby zo sociálne znevýhodneného prostredia majú vyšší prah bolesti kĺbov³⁴. Môže to súvisieť s nižšou dostupnosťou špecializovanej zdravotnej starostlivosti, resp. s tým, že všeobecní lekári v oblastiach s prevahou sociálne znevýhodneného obyvateľstva majú väčší počet pacientov s väčším množstvom komorbidít³⁴.

Kultúrne tradície majú tiež vplyv na prístup k liečbe a pomoci. Lekári sa často tešia pozícií vzdelanej autority, o ktorej mnohí ľudia, najmä starší, menej vzdelaní a z bývalých komunistických krajín, len ťažko dokážu pochybovať. Je pre nich náročné zisťovať ďalšie informácie alebo vyhľadávať prístup k najnovším liekom, klinickému výskumu a psychologicko-sociálnej pomoci.

Nevypočuté psychologicko - sociálne potreby

Je známe, že pacienti s myelómom zvyknú trpieť bolesťou, únavou a poruchami spánku, ovplyvňujúcimi každodenný život. Tieto faktory sú často spojené s úzkosťou a depresiou. Z informácií od pacientov však vyplýva, že zdravotná starostlivosť sa sústreďuje predovšetkým na fyzické príznaky rakoviny. Iba v niektorých krajinách je snaha efektívne riešiť aj emočné a psychologicko - sociálne potreby

Zhrnutie

Je zrejmé, že európski pacienti s myelómom trpia v mnohých prípadoch aj zriedkavosťou svojej rakoviny. Zdravotný systém a rozpočet na zdravotnú starostlivosť sú neadekvátne voči ich potrebe najaktuálnejšej liečby a prístupu ku odborníkom rôznych špecializácií, ktorí by im mohli pomôcť. Veľmi dôležité je aj vzdelávať zdravotníckych pracovníkov v oblasti efektívnej komunikácie a pripomínať im, ako veľmi pacienti potrebujú informácie, príležitosť zohrávať skutočnú úlohu pri rozhodovaní o liečbe a možnosť participovať na vhodných klinických štúdiách.

Odporúčania: K lepšej starostlivosti o pacientov s myelómom v Európe

Pre lekárov, sestry a členov širších zdravotníckych tímov

- Zabezpečte, aby pacienti mali prístup k najnovšej liečbe, ktorá udrží chorobu pod kontrolou po čo najdlhšie, s optimálnou úľavou od bolesti a dobrou kvalitou života
- Navrhujte rýchle, individuálne rozhodnutia o liečbe, šité na mieru jednotlivým pacientom, berúc do úvahy ich postoje
- Uistite sa, že každý pacient má prístup k špecialistom rôznych odborností, vrátane ortopéda, nefrológa a hematológa
- Vytvárajte silnejšie prepojenie medzi primárnou starostlivosťou a špecializovanými pracoviskami
- Informujte všetkých vhodných pacientov o aktuálnych klinických štúdiách, a ak si to želajú, umožnite im zúčastniť sa na nich
- Snažte sa o efektívnu komunikáciu s pacientmi a ich rodinami a poskytnite pacientom dostatok času na dialóg
- Psychologická a sociálna pomoc a poradenstvo by mali byť dostupné pre všetkých pacientov, ktorí potrebujú pomoc s emočným dopadom myelómu a všetkými stresmi každodenného života
- Poskytnite pacientovi toľko informácií, koľko si žiada, najmä pri oznámení diagnózy. Vhodné informácie a emočnú podporu poskytujte tiež blízkym osobám pacienta

Pre tvorcov politiky zdravotnej starostlivosti

- Vytvorte a implementujte národné plány boja s myelómom a národné osvetové kampane
- Stanovte jednotné štandardy starostlivosti a pravidlá umožňujúce urýchlené schvaľovanie nových liekov
- Podporte zlepšenia vo vzdelávaní zdravotníckych pracovníkov, vrátane všeobecných lekárov, o diagnóze, symptómoch a nových možnostiach liečby myelómu
- Za svoju prioritu si vytýčte odstránenie rozdielov v dostupnosti liečby medzi vidieckym a mestským prostredím



3. Budovanie úspešného partnerstva so zdravotníckymi pracovníkmi

3. Budovanie úspešného partnerstva so zdravotníckymi pracovníkmi

Pacienti a odborníci oslovení pri príprave tejto Správy jednohlasne zdôrazňovali obrovský význam dobrej komunikácie medzi pacientami a ich lekármi a ďalšími zdravotníckymi pracovníkmi. Chabá alebo neefektívna komunikácia má veľký dopad na schopnosť pacientov zvládať svoju diagnózu. Táto kapitola objasňuje, čo všetko možno získať vďaka kvalitnej komunikácii, čo stojí v ceste obojstranne výhodnému partnerstvu, a ako vytvoriť vzťah, ktorý je na prospech všetkým zúčastneným, principiálne najviac však pacientovi.

Najdôležitejšie informácie

- Ideálom je dôverný a úprimný partnerský vzťah, plný citovej podpory a otvorenej komunikácie medzi pacientom a zdravotníkmi
- Všeobecní lekári a špecialisti by mali umožniť pacientovi účasť na prijímaní rozhodnutí a podporiť pacientov pri riadení ich liečby, ak si to želajú
- Rozhodnutia o liečbe by mali byť prijímané spoločne a mali by zohľadňovať priority a osobnosť pacienta
- Určenie realistických krátkodobých cieľov a ich časté revidovanie pomáha pacientovi zvládať situáciu
- Rozhodnutia o liečbe by mali byť prijímané až po tom, čo mal pacient čas spracovať všetky relevantné informácie a možnosti
- Pacientom má byť ponúknutá praktická podpora; v mnohých krajinách je potrebné ju zlepšiť
- Ústne podané informácie o chorobe, liečbe a vedľajších účinkoch by mali byť vhodne načasované, správne odkomunikované a nápomocné, nasledovať by mala písomná informácia

Čo očakávajú pacienti od svojich lekárov?

Pacienti vnímajú pozitívne tých zdravotníckych pracovníkov, ktorí majú o nich záujem a "pýtajú sa ich tie správne veci"²⁹. Môžu sa cítiť ohrození odborným jazykom a mať obavu, aby nepôsobili hlúpo. Pre lekára je obvykle hlavným cieľom maximalizácia dĺžky a kvality života pacientov. Pri ich dosahovaní by však lekár mal byť aj profesionálnym a čestným sprostredkovateľom informácií a poskytovať pacientom emočnú podporu.

Snaha zapojiť pacienta do konverzácie, zdieľanie informácií a prehlbovanie pacientových poznatkov vedú k vytvoreniu rovnocennejšieho vzťahu a pomáhajú budovať dôveru medzi lekármi a pacientmi³⁵. Nastavenie realistických krátkodobých a často revidovaných cieľov, ich hodnotenie, prioritizácia a rozhodovanie, aké kroky na ich dosiahnutie podniknúť, sú vitálnou súčasťou procesu zvládania choroby a pomáhajú pacientom nábrať silu tvárou v tvár neistej budúcnosti³⁶.

Pacienti sa na druhej strane často oveľa viac zaujímajú o kvalitu svojho života ako o to, ako pokračuje liečba podľa hodnôt biochemických markerov. Niektoré aspekty kvality života môžu byť dokonca lepšie ako pred diagnózou, keďže tá môže viesť ľudí k uvedomeniu si toho, čo je pre nich naozaj dôležité.

Spoločné rozhodovanie

“... nikto z lekárov nepodstúpil chemoterapiu alebo transplantáciu. Preto je pri liečbe mnohopočetného myelómu pacient dôležitým zdrojom poznatkov pre lekára, rovnako ako je lekár nenahraditeľným radcom pacienta...”

Slovenská myelómová spoločnosť, Klub pacientov

Rozhodnutia o liečbe musia brať ohľad na osobnosť a priority jednotlivých pacientov. Kým jednému vyhovuje menej intenzívna a paliatívna starostlivosť, iní budú volať po “každej liečbe, ktorú máte”. Okrem toho, diagnóza môže ukončiť dlhé obdobie neistoty o možnej príčine problémov, prináša konkrétne možnosti liečby, ktorá vedie k úľave od bolesti – čo môže zlepšiť kvalitu života pacienta.

Dopad liečby myelómu na praktické aspekty života môže tiež prispievať k pocitom úzkosti a vyvolávať ďalšie otázky a témy, s ktorými pacient potrebuje pomoc presahujúcu kompetencie zdravotníckych pracovníkov.

Pacient si musí zvážiť či bude schopný pokračovať v práci, udržať si príjem, udržať si dôchodok, poistiť sa, a ako to všetko zasiahne jeho rodinu. Praktické problémy významne prispievajú k emočnej záťaži späté s myelómom. Podpora od patientskych organizácií a štátnych orgánov sociálneho zabezpečenia je pre riešenie týchto problémov kľúčová.

V mnohých krajinách je veľký priestor na jej podstatné zlepšenie.

Ešte citlivejšou je situácia dvojíc, ktoré, hoci zasiahnuté myelómom, zvažujú počatie dieťaťa. Takéto páry potrebujú ďalšie informácie, pomoc a rady o rizikách niektorých druhov liečby vo vzťahu k plodnosti, a aj o antikoncepčných metódach počas liečby thalidomidom a Revlimidom. Čo je tiež veľmi dôležité, v prípade straty člena rodiny v dôsledku myelómu, najmä straty rodiča, bude potrebná podpora a prípadne aj psychologická pomoc pre pozostalých členov rodiny.

Čo stojí v ceste efektívnej komunikácie medzi lekárom a pacientom?

Nedostatok času

Jednou z bariér úspešnej komunikácie so špecialistami je nedostatok času. Ten by však nemusel byť problémom ak by obaja, lekár aj pacient, dokázali využívať čas efektívne.

Dôvera

Dôvera pacienta k lekárovi je veľmi dôležitá²⁹. Pacient potrebuje veriť, že lekárov čas a skúsenosti sú tu pre neho a sú využívané efektívne na poskytnutie správnej miery informácií a pomoci. Poskytovanie presných informácií, zvažovanie úžitkov a rizík liečby podporuje informované prijímanie rozhodnutí, lepšie prijímanie liečby, menší stres, väčší pocit kontroly a spokojnosti s poskytovanou starostlivosťou³⁷. Pocit nadmerného zahrnutia informáciami na druhej strane vedie ku zmätku a obavám²⁹.

Zdravotníci sú zriedka školení v oblasti komunikačných zručností

Schopnosti jednotlivých lekárov komunikovať s pacientmi sa veľmi líšia. V ideálnom prípade by výcvik efektívnej komunikácie mal byť súčasťou prípravy v zdravotníckych školách. V ostatných rokoch sa stali dostupnými napr. interaktívne internetové moduly, ktoré umožňujú zdravotníckym pracovníkom zlepšovať ich komunikačné schopnosti³⁸. Pre niektoré chronické choroby bol vyvinutý celý rad pomôcok na zlepšenie komunikácie medzi lekárom a pacientom. Sú nimi napr. Indexy pohody, akým je WHO-5, ktorý pomáha určiť úroveň pacientovej spokojnosti alebo úzkosti³⁹.

Pacienti sa môžu cítiť neistí ako majú komunikovať

Nie je prekvapením, že pacienti vystavení šoku z diagnózy, neistote z budúcnosti ako celku a jednotlivým skúškam, ktoré budú musieť vydržať, sa často cítia preťažení svojou situáciou. Potrebujú tiež spracovať veľké množstvo informácií, mnoho z nich veľmi komplexných a plných neznámych slov, a to všetko v čase, keď sú minimálne schopní formulovať zmysluplné otázky a návrhy. Táto neistota sa odráža aj v rade od ľudí, ktorí už majú myelóm nejaký ten čas: zhromažďujte informácie a buďte informovaní čo najlepšie, no nie je to ľahká cesta.

Úplné partnerstvo

Profesionálna a úprimná komunikácia, posúdenie potrieb a stanovenie realistických krátkodobých a často revidovaných cieľov, sú pre diskusiu medzi pacientom a lekárom kľúčové. Takýto vzťah umožňuje vytvorenie partnerstva založeného na dôvere a rovnocennú účasť na liečbe a zvládaní rozhodnutí – životne dôležitá cesta, ktorá pacienta povedie k schopnosti zvládať svoju situáciu a nabráť silu čeliť neistej budúcnosti.

Liečime osobu, nie myelóm

Dôvera medzi pacientom a lekárom je podstatná pre množstvo rozhodnutí, ktoré je potrebné urobiť, a partnerstvo je pre prijímanie týchto rozhodnutí najlepším rámcom. Nejde iba o to, akú liečbu predpísať, lekár by mal brať do úvahy celú osobnosť chorého a to, ako pacient alebo pacientka zvláda emočný stres z myelómu.

Vo Veľkej Británii Národný inštitút zdravia k klinickej znamenitosti (NICE) odporúča, aby všetci pacienti mali možnosť vyhodnotiť svoje holistické potreby, a to v čase stanovenia diagnózy, po úvodnej liečbe a počas ďalšieho liečebného procesu⁴⁰. Pri tom má byť použitý kvantitatívny nástroj, umožňujúci pacientom hodnotiť bolesť, psychologicko - sociálne, duchovné, finančné a iné problémy za pomoci štvorbodovej verbálnej áno/nie hodnotiacej škály⁴¹, alebo za pomoci "krízového teplomera" merajúceho celkovú nepohodu na numerickej škále⁴². Pravidelné holistické meranie je ideálom, ku ktorému sa rôzne krajiny Európy rôzne približujú.

Vnímovosť k preferenciám pacientov a ich duševnému stavu je cestou dlhodobého zlepšovania komunikácie. Prehĺbenie pocitu dôvery a porozumenia prinesie tiež praktický úžitok, pacient, ktorí cítia, že mu lekár rozumie a súcíti s ním, môže napríklad lepšie zvládať liečbu. Situáciami, v ktorých je potrebná veľká miera porozumenia sú:

Načasovanie diagnózy

Mnohí pacienti zažívajú pred stanovením diagnózy mesiace nejasných symptómov únavy a bolesti kostí, pravdepodobne sprevádzané pocitom, že mrhajú lekárov čas. Keď dôjde k stanoveniu diagnózy, môžu sa cítiť oklamaní, že premrhali toľký čas bez liečby.

Diagnóza

Informácia o diagnóze je pre väčšinu pacientov extrémne traumatickou skúsenosťou a pacienti potrebujú čas, starostlivosť a vnímavosť k ich potrebám, aby túto vážnu správu spracovali. Na prvom stretnutí pacient pravdepodobne nebude schopný zapamätať si veľa detailov, takže to, čo mu lekár povie, by malo byť krátke a užitočné. Je dôležité zdôrazniť, že hoci myelóm je nevyliciteľný, je liečiteľný, že vyhliadky sa rýchlo zlepšujú, a že je nádej na dlhšie prežitie, najmä pre mladších pacientov. Informácie podané ústne musia byť vždy sprevádzané písomnými informáciami, s rozdielnym stupňom podrobnosti.

„Pacienti v našej podpornej skupine hovoria, že ich lekári sú veľmi medicínsky zdatní, no niekedy opomínajú emočnú stránku. Pacient s myelómom už nikdy nebude v poriadku - myelóm tu bude po zvyšok jeho alebo jej života. To si žiada veľmi špecifický psychologický prístup.“

Greetje Goossens, zástupkyňa belgických pacientskych skupín a členka Správnej rady MPE

Liečba musí byť tou pravou pre daného jednotlivca

Pri diskusii a rozhodovaní o voľbe liečby musí byť pacientom poskytnutý dostatok informácií o jednotlivých možnostiach, ich prínose a vedľajších účinkoch. Dôležité je, aby mali čas na spracovanie týchto informácií. Potrebujú tiež kvalitnú diskusiu o možnostiach liečby, cieľoch každej liečby a pravdepodobných vedľajších účinkoch.

Spoločné prijímanie rozhodnutí

Ak lekár nie je tej myšlienke naklonený, aj pre výborne informovaného pacienta môže byť nesmierne zložitá nastoliť rozhovor o možnostiach liečby. Vo všeobecnosti pacienti potrebujú mať silnejšiu pozíciu, nadobudnúť sebaistotu a nebať sa požiadať o druhý názor alebo žiadať o presunutie na špecializované pracovisko. Niektorí pacienti popisujú, že sa “museli cez systém prebojovať”, museli sami hľadať rôzne názory predtým, než im bola ponúknutá konkrétna liečba. Pacienti by tiež mali mať možnosť rozhodnúť sa medzi možnosťami liečby pokiaľ si to želajú. Ich názor sa môže zmeniť v závislosti od toho, ako sa vyvíja ich myelóm, napr. ak sa choroba rozvinie alebo sa menia ich osobné pomery.

Nie každý chce všetky detaily

Nie všetci pacienti sa chcú aktívne podieľať na prijímaní rozhodnutí a uprednostnia prenechanie všetkých detailov lekárovi. Tento postoj je častejší u starších pacientov a pacientov pochádzajúcich z niektorých krajín (najmä Východnej Európy) a populácií (napr. afro-karibskej a ázijskej), kde je akceptovanou tradíciou, že rozhodnutia robí lekár.

Záver

Efektívna komunikácia medzi lekárom a pacientom je dôležitá najmä preto, aby si pacient udržal čo najväčšiu kontrolu nad svojim stavom. Myelóm prináša mnohé výzvy, a ak sú tak pacient, ako aj lekár schopní zdieľať informácie a porozumieť si, významne to prispieva k duševnej vyrovnanosti pacientov a kvalite ich života.

Odporúčania: Partnerstvo s profesionálmi

Pre patientske organizácie

- Definujte očakávania a potreby pacientov pri komunikácii s ich lekármi a ostatnými zdravotníckymi pracovníkmi
- Povzbudzujte jednotlivých pacientov v rozvíjaní ich vedomostí a sebaistoty pri budovaní partnerstva s ich lekármi pri rozhodovaní o liečbe, aby boli schopní diskutovať odporúčania a štandardne vyhľadať druhý názor
- Uvedomujte si, že zmena postoja pacientov a lekárov vyžaduje čas
- Spolupracujte s orgánmi sociálneho zabezpečenia, organizátormi verejných kampaní a médiami

Pre lekárske organizácie a univerzitné nemocnice

- Sústreďte sa na viac holistickú starostlivosť o pacientov, venujte rovnakú pozornosť emočnej pohode ako liečbe fyzických príznakov
- Zlepšujte vedomosti o myelóme u mladých lekárov vstupujúcich do primárnej starostlivosti, aby sa zminimalizovali neakceptovateľné oneskorenia pri stanovení diagnózy
- Prostredníctvom Európskej hematologickej spoločnosti podporujte akreditáciu centier ponúkajúcich školenia v liečbe rakovín krvi a umožnite implementáciu najnovších liečob a štandardov
- Venujte väčšiu pozornosť vzdelávaniu lekárov, vrátane celoživotného vzdelávania, v oblasti rozvoja komunikačných zručností, najmä pri oznamovaní diagnózy, relatívnych rizík a prínosov liečby a poskytovaní vhodnej miery informácií individuálnemu pacientovi

Pre kompetentné štátne orgány v zdravotníctve

- Podporujte zlepšenia vo vzdelávaní lekárov v oblasti lepších komunikačných zručností a vnímavosti k emočným potrebám pacienta
- Venujte pozornosť zlepšeniu emočnej a psychologicko-sociálnej podpory pre pacientov s myelómom a osoby, ktoré sa o nich starajú



4. Potreby pacientov majú stáť v centre výskumu

4. Potreby pacientov majú stáť v centre výskumu

Hoci už vieme mnoho o myelóme a jeho symptómoch, stále je potrebný ďalší výskum na zistenie jeho príčin, zmiernenie príznakov, obmedzenie progresu a napokon aj na nájdenie lieku, ktorý myelóm vylieči. Výskum myelómu ako zriedkavej rakoviny trpí obmedzenými zdrojmi financovania, keďže počet pacientov s myelómom je v porovnaní s inými chronickými ochoreniami a bežnými rakovinami pomerne malý. S ohľadom na devastačnú povahu myelómu sú podpora výskumu a dosah na jeho priority pre pacientov životne dôležité.

Táto kapitola skúma výzvy a obmedzenia, ktorým výskum myelómu čelí, zamýšľa sa nad tým, čo by mal výskum pacientom prinášať a ako môžu pacienti a organizácie zastupujúce ich záujmy túto agendu ovplyvniť.

Najdôležitejšie informácie

- Skutočnosť, že neexistuje liek, ktorý by myelóm vyliečil znamená, že je potrebný výskum, ktorý odhalí jeho príčiny, prinesie nové účinnejšie a bezpečnejšie lieky a napokon aj liek, ktorý myelóm vylieči
- Potrebujeme kvalitné klinické štúdie so štatisticky relevantnými výsledkami, čo najlepšie využívajúce obmedzené zdroje
- Mnohí pacienti chcú participovať na klinických štúdiách a výskume
- Všetci pacienti by mali byť informovaní o vhodných klinických štúdiách a malo by im byť umožnené sa na nich zúčastniť
- Tvorcovia zdravotníckeho zákonodarstva a pravidiel by mali sústavne monitorovať a vyhodnocovať výskum, aby sa dosiahli čo najlepšie výsledky
- Organizácie pacientov by mali byť súčasťou procesu určovania priorít a cieľov výskumu, aby obmedzené zdroje, ktoré sú k dispozícii na výskum, boli nasmerované do oblastí záujmu pacientov
- Organizácie pacientov, a aj pacienti samotní, by mali presadzovať lepšiu spoluprácu a koordináciu výskumných projektov, čím sa zamedzí duplicita a lepšie sa využijú zdroje a výsledky výskumu
- Výklad a aplikáciu legislatívy je potrebné v rámci Európy zjednodušiť a zjednotiť – aktuálny návrh na vydanie smernice EÚ o klinických štúdiách prináša príležitosť na vytvorenie jednoduchších pravidiel, väčšiu transparentnosť, čím dôjde k minimalizácii byrokratickej záťaže spojenej so štúdiami a umožní sa tak realizácia nových štúdií v Európe
- Postoje pacientov ku klinickým štúdiám by mali byť zaznamenávané a zohľadňované

Zohľadňovanie potrieb pacientov s myelómom

„... Privedte mňa a ostatných pacientov naspäť do trvalej remisie, kedy nemáme symptómy a nepotrebujeme liečbu. A čo tak eliminácia periférnej neuropatie, vedľajšieho účinku liečby? Zbavte ma všetkej tej bolesti kostí spôsobenej myelómom, zlomených kostí, problémov s chrbtom. Tieto veci stále oslabujú pacientov s myelómom.

Ó a hlavne vyliečte túto chorobu, to vyrieši všetko. Rád preto urobím hocičo.“

Lou Ganim,
Pacient s myelómom, USA^{§§}

^{§§} Po prvý krát publikované v Myeloma Beacon 17. júla 2012⁴³

Prečo je výskum pre pacientov s myelómom taký dôležitý?

Pacienti, ktorým bol diagnostikovaný myelóm – hoci len tlejúci myelóm bez symptómov, vedia, že neexistuje liek, ktorý by ho vyliečil. Myelóm relabuje a vracia sa, preto je potrebné pochopiť mechanizmus, ktorý spúšťa jeho rast.

Liečba môže priniesť veľkú úľavu od symptómov a dočasne zabrániť rozvoju myelómu. Výskum ostatných desiatich rokov vyústil do objavenia lenalidomidu (Revlimid®) a bortezomibu (Velcade®), ktoré pri podávaní s chemoterapiou zlepšujú jej účinky. Ďalšie nové lieky napäto očakávame.

Niektoré tradičné lieky majú nepriaznivé vedľajšie účinky. Aj preto je veľmi potrebné pokračovať vo výskume. Pacienti s myelómom sa navyše pohybujú v obmedzenom časovom rámci. Chcú, aby bol prudký pokrok vo výskume ostatných rokov pretavený do liečby.

S akými typmi výskumu sa môžeme stretnúť?

Predmetom výskumu sú predovšetkým potenciálne nové lieky a zmiernenie nepriaznivých vedľajších účinkov už používaných liekov. Ďalšie typy výskumu sú zamerané na vplyv myelómu na kvalitu života pacientov, systémy poskytovania zdravotnej starostlivosti a na spoločnosť ako celok. Takýto výskum sa často realizuje prostredníctvom procesu nazvaného Hodnotenie zdravotných techník.

Základnou oblasťou aktuálneho výskumu myelómu je genetika. Výskumníci sa sústredia na určenie faktorov zodpovedných za vznik a rozvoj myelómu, identifikáciu jeho podtypov a faktorov vedúcich k relapsu a refraktérnemu myelómu (t.j. myelómu, ktorý viac nereaguje na určitú liečbu). Je tiež pravdepodobné, že genetické predpoklady určitého človeka ovplyvňujú jeho citlivosť voči rizikám vonkajšieho prostredia a reakciu na ne, k definitívnym záverom v tejto oblasti však vedie ešte dlhá cesta⁴⁴.

Nepoznáme žiadnu konkrétnu genetickú zmenu, ktorá by predznamenávala náchylnosť k myelómu⁴⁵. Výskumom sa však približujeme k cieľu prispôsobiť liečbu na mieru jednotlivým pacientom⁴⁶. Preto je výskum a vývoj genetických techník práve taký dôležitý ako výskum nových liekov.

Aktuálne sa pokrok v oblasti týchto techník spája s cytogenetickou analýzou chromozómov myelómových buniek, ktorá umožňuje odhaliť úseky, ktoré sú zlomené a opätovne ich prepojiť s ostatnými chromozómami (translokácie) alebo nájsť myelómové bunky, ktoré majú neštandardný počet chromozómov alebo iné abnormality⁴⁷. Fluorescenčná in situ hybridizácia (FISH) plazmatických buniek kostnej drene môže objaviť translokácie a iné zmeny chromozómov, príliš malé na to, aby ich bolo možné zistiť iným cytogenetickým testom⁴⁷, čím umožní identifikovať pacientov s vysoko rizikovým myelómom. Profilácia génovej expresie (GEP) je ďalšou technikou, vďaka ktorej môžeme klasifikovať pacientov na nízko a vysoko rizikových^{45,46}. Všetky tieto metódy uľahčujú vytvorenie presnejšej prognózy a voľbu správnej starostlivosti.

Vysoko rizikový pacienti (s očakávanou dobou prežitia menej ako tri roky) môžu využiť intenzívnejšiu liečbu, napríklad transplantáciu kmeňových buniek alebo zaradenie do štúdií novátorských experimentálnych kombinácií liekov⁴⁶. Pacientom s nízkym rizikom (s pravdepodobnou dobou prežitia 7-10 rokov alebo viac) môže byť ponúknutá menej agresívna liečba zameraná na minimalizáciu toxických vedľajších účinkov a optimalizáciu kvality života⁴⁶. Takáto voľba však nie je pravidlom v každom prípade, ale sa vždy odvíja od potrieb konkrétneho pacienta. Tieto testy sú však vždy veľmi náročné na interpretáciu a vyžadujú si prísnu kontrolu, ktorá ešte nie je všeobecne dostupná⁴⁵. Očakáva sa, že vývoj GEP technológií umožní presne určiť, ktorá konkrétna liečba bude mať u daného pacienta najlepšie výsledky⁴⁵.

Klinický výskum, napríklad výskum spôsobu pôsobenia potenciálneho nového lieku alebo výskum na stanovenie účinku kombinácie liekov, prechádza týmito štádiami:

Predklinický laboratórny výskum

Potenciálne nové lieky sa najskôr skúmajú na myelómových bunkách v kultiváte a na zvieratách, aby sa zistilo, či daný liek môže účinkovať bez spôsobovania významných vedľajších účinkov. Ak laboratórne výsledky odôvodňujú záver, že kandidát na liek je sľubný a bezpečný, postúpi do fázy klinického skúšania. V jeho rámci sa môžu skúmať aj nové kombinácie liekov alebo nové spôsoby ich aplikácie.

Klinické štúdie

Úlohou klinických štúdií je testovať účinnosť a bezpečnosť liekov alebo ich kombinácií. Začína sa malou pilotnou štúdiou a postupuje sa k štúdii zahŕňajúcej niekoľko stoviek a niekedy aj viac pacientov. Prebiehajú podľa presných pravidiel (protokolov), schválených nezávislou etickou komisiou pre výskum, ochraňujúcou záujmy účastníkov štúdie. V súčasnosti prebieha v Európe široká škála štúdií⁴⁸, skúmajúcich:

- Lieky používané v súčasnosti, napr. botezomib (Velcade®), thalidomid, lenalidomid (Revlimid®)
- Novšie proteazómové inhibítory, napr. carfilzomib a imunomodulátorne lieky, napr. pomalidomid
- Nové ciele terapie, napr. protilátky, signálne transdukčné inhibítory, ciele rádio-terapia a vakcinácie
- Oblasti podpornej starostlivosti – kostné komplikácie, infekcie, bolesť

Klinické štúdie sa obyčajne uskutočňujú v nemocniciach. Sú financované buď orgánom verejného sektoru (napr. Rámcové výskumné programy Európskej únie, vo Veľkej Británii sú to programy Rady Veľkej Británie pre medicínsky výskum), súkromnou nadáciou (napr. International Myeloma Foundation), organizáciou financujúcou výskum (napr. Myeloma UK, Multiple Myeloma Research Foundation alebo European Myeloma Network) alebo farmaceutickými spoločnosťami.

Od polovice 90-tych rokov sa EÚ v rámci svojich programov podieľala na financovaní 25 výskumných projektov skúmajúcich rôzne aspekty myelómu. Aktuálne projekty financované EÚ sa venujú molekulárnym príčinám rezistencie na lieky (projekt je vedený výskumným tímom v Belgicku), optimalizácií liečob pri vysoko rizikovitom myelóme (Rakúsko) a ochoreniam kostí vyvolanými rakovinou (Veľká Británia)⁴⁹.

Reálne svetové údaje

Ďalším aspektom výskumu je štúdium reálnych údajov zo sveta a analýza myelómových registrov, zhromažďujúcich dáta o epidemiológii myelómu v celej populácii. Analýza registrov sa môže stať zdrojom lepšieho porozumenia tomu, ako ochorenie postihuje veľké množstvo ľudí – čo je obzvlášť dôležité pri zriedkavej chorobe akou je myelóm. Umožňujú výskumníkom skúmať možné vzťahy medzi výskytom a prevalenciou choroby, a jej environmentálne alebo populačné faktory.

Akým výzvam a obmedzeniam čelí výskum myelómu?

Financovanie a stanovovanie priorít

Výskum by mal byť sústredený na oblasti, kde je najväčší potenciál na zlepšenie života pacientov s myelómom. Farmaceutický priemysel, ktorý financuje 79% výskumných projektov realizovaných každoročne v EÚ⁵⁰, by mal prinášať najkvalitnejšie výskumné projekty, dostatočne veľké na zabezpečenie štatistickej validity, s reálnym potenciálom zmeniť životy pacientov.

Organizácie pacientov môžu pomôcť so stanovením priorít a cieľov výskumu, a s presadzovaním adekvátneho, prednostného financovania vo verejnom aj súkromnom sektore. Tvorcovia zdravotníckeho zákonodarstva a pravidiel by mali sústavne monitorovať a vyhodnocovať, či sú prostriedky investované do výskumu zhodnocované čo najlepšimi výsledkami.

„Trhová ekonomika nedokáže zabezpečiť adekvátny výskum pre všetky druhy rakoviny. V tejto oblasti môže preto Európa preukázať svoju pridanú hodnotu podporou akademického a translačného výskumu***. Môžeme použiť zdroje Siedmeho rámcového programu na naštartovanie výskumu a inovácií v oblasti primárnej prevencie, skríningu a včasnej detekcie, ako aj v oblasti nových protirakovinových liekov a liečob, najmä pre zriedkavé a ťažko liečiteľné rakoviny, ktoré sa priemyslu neoplatia...môžeme revidovať politické pravidlá a stimulovať budúci výskum.“

Adamos Adamou poslanec Európskeho parlamentu
Jeden z predsedov iniciatívy Poslanci proti rakovine^{†††}, 10.apríl 2008

Legislatívna kontrola

Klinické štúdie v EÚ sú regulované Nariadením EÚ o klinických štúdiách⁵², cieľom ktorého je zabezpečenie ochrany záujmov účastníkov štúdií pred akoukoľvek ujmom a zaistenie vedeckej validity výsledkov. Prieskum pôsobenia tohto nariadenia však preukázal, že je v rozličných členských štátoch rôzne interpretované a aplikované, pričom sa zdvojnásobili náklady na prebiehajúce klinické štúdie oproti stavu pred jeho prijatím a počet štúdií realizovaných medzi rokmi 2007 a 2011 klesol o 25%⁵³.

Tieto ťažkosti vyústili v júli 2012 do predloženia návrhu nového právneho aktu⁵⁴ – tentokrát smernice. Smernica má v členských štátoch priamu zákonnú silu, na rozdiel od nariadenia, ktoré musí byť implementované do národných právnych poriadkov, čo často vedie k odlišnostiam v interpretácií jednotlivými krajinami.

Navrhovaná smernica prinesie jednoduchšie pravidlá a vyššiu transparentnosť. Účinnosť by mala nadobudnúť v roku 2016. Európska komisia sa domnieva, že táto zmena povedie k minimalizácii byrokratickej záťaže spojenej s odlišnými pravidlami pre štúdie v jednotlivých krajinách, čím sa v Európe umožní realizácia väčšieho množstva nových štúdií.

Obmedzovanie duplicity

V EÚ je výskum rakoviny (všetkých typov) a jej liečby rozmanitý a fragmentárny. Európska komisia vyzýva na spoluprácu a lepšiu koordináciu výskumu, ktorá povedie k obmedzeniu duplicity a rýchlejšiemu napredovaniu⁵⁵. V rámci svojho Siedmeho rámcového výskumného programu EÚ financuje niekoľko spoločných klinických štúdií⁵⁶.

Prenášanie výsledkov výskumu do klinickej praxe

Pacientske organizácie môžu upozorňovať kompetentné štátne orgány na najslubnejšie výsledky klinických štúdií, a prispieť tým k ich rýchlejšiemu preneseniu do klinickej praxe. Nezávisí to však iba od patientskych organizácií, ich iniciatíva môže byť iba krok správnym smerom.

*** Translačný výskum (translational research) spočíva v prenášaní poznatkov základného výskumu do klinickej praxe a v spätnom riešení klinicky významných problémov v onkológii využitím experimentálnych prístupov in vitro a in vivo na zvieracích modeloch. Pozn. prekladateľky

††† MEPs Against Cancer

Výskum zriedkavých chorôb

Myelóm jednou z najvzácnejších foriem rakoviny, preto je trh liekov na jeho liečbu malý a motivácia na výskumné projekty nízka. Nedostatok pacientov je na ťarchu organizátorom štúdií, usilujúcich sa o štatisticky hodnotné výsledky. Zástupcovia záujmov pacientov však nesmú poľaviť v upozorňovaní na naliehavé terapeutické potreby ľudí so zriedkavými chorobami.

Inovatívna medicínska iniciatíva (IMI)^{†††} si kladie za cieľ podporovať štúdie venované zriedkavým a opomínaným chorobám⁵⁷. Mieni sa sústrediť na definovanie strategických tém majúcich maximálny efekt, ako aj na myšlienky, schopné zmeniť pravidlá hry, a na oblasti s čo najväčším počtom spoločností schopných spojiť svoje sily do koordinovaného výskumu⁵⁸.

Postoj pacientov ku klinickým štúdiám

Napriek tomu, že jedným z členov etickej komisie schvaľujúcej výskumné projekty býva aj pacient alebo zástupca organizácie pacientov, postoje pacientov sú kvôli prísny pravidlám vedenia štúdií zohľadňované len málo. Vklad pacientov môže byť výrazne väčší – či už prostredníctvom pripomienkovania legislatívy alebo zakotvením faktoru významu pre pacientov ako jedného z meradiel výstupov štúdie.

Dva aktuálne FP7^{§§§} projekty financované EÚ⁵⁶

- PatientPartner (Identifikácia potrieb pacientov ako partnerov v klinickom výskume), ktorý mieni zapojiť patientske organizácie do lepšieho prispôsobenia výskumu potrebám pacientov, a
- PREDICT (Zvyšovanie účasti starších pacientov v klinických štúdiách) skúma, prečo sú starší pacienti nedostatočne zastúpení v klinických štúdiách, a čo je potrebné urobiť na zlepšenie ich participácie.

Vypočujme si aj zlé správy

Negatívne výsledky výskumu financovaného farmaceutickými spoločnosťami neboli v minulosti vždy zverejnené, no v súčasnosti dochádza k zmene. Patientske organizácie a ostatní výskumní pracovníci majú právo vedieť nielen o pozitívnych, ale aj o negatívnych výsledkoch klinických štúdií. Dozvedia sa tak, ktorá liečba nie je účinná alebo má horšie vedľajšie účinky a vyhnú sa zbytočnej duplikácii neužitočných výskumných projektov. Pripravovaná smernica EÚ o klinických štúdiách obsahuje povinnosť oznámiť príslušným štátnym orgánom výsledky výskumu do jedného roka od jeho ukončenia. Toto ustanovenie by mali patientske organizácie podporovať.

Zhruba od druhej polovice roka 2013 budú pozitívne aj negatívne výsledky klinických štúdií zverejňované na web stránke **www.clinicaltrialsregister.eu**.

Používanie biologického materiálu

Pacienti, ktorí poskytnú svoje tkanivo na laboratórne štúdie majú mať istotu, že bude použité v zmysluplnom výskume, z ktorého budú nakoniec ťažiť ďalší pacienti. Efektívne využívanie biologického materiálu je rovnako dôležité ako efektívne využívanie finančných prostriedkov.

Priority pacientov

Názor pacientov na to, čo je potrebné urobiť vo výskume myelómu sa nie vždy zhoduje s názormi výskumníkov. Prioritou pre pacienta je, aby bol výskum pro-pacientsky orientovaný, v ideálnom prípade by mal priniesť strategický poznatok, z ktorého má pacient priamy úžitok.

^{†††} IMI je spoločným projektom Európskej komisie a Európskej federácie farmaceutického priemyslu EFPIA, vytvárajúca agendu strategického výskumu v oblasti inovatívnej medicíny so spoločným financovaním.

^{§§§} FP7 je skratka pre Seventh Research Framework Programme - Siedmy rámcový výskumný program Európskej únie. Pozn. prekladateľky

Ideálne priority klinických štúdií z pohľadu pacientov

- Nájsť praktické alternatívy ku kortikosteroidom
- Definovať optimálnu liečbu starších pacientov s vysokým rizikom
- Nájsť riešenie periférnej neuropatie – vedľajšieho účinku postihujúceho viac ako 75% pacientov liečených bortezomibom a thalidomidom
- Umožniť, aby sa “štúdie priateľské k pacientovi”, ktoré vychádzajú z potrieb pacientov (bez ohľadu na to, či sú iniciované farmaceutickou spoločnosťou alebo výskumníkmi) stali východiskom pre schvaľovanie liekov
- Publikovať aktuálne informácie o štúdiách
- Realizovať popri klinických štúdiách aj psychologický výskum

Pacienti veľmi ochotne participujú na klinických štúdiách

Mnohí pacienti majú záujem zúčastniť sa na klinických štúdiách, ktoré im môžu pomôcť lepšie zvládať myelóm a zvýšiť kvalitu života.

O zaradení pacienta do klinickej štúdie rozhoduje lekár. Mnohé webové stránky prinášajú prehľad o prebiehajúcich štúdiách, do ktorých sa hľadajú pacienti. Jednou z nich je aj stránka Registra klinických štúdií EÚ Clinical Trials Register, cez ktorú sa dá vstúpiť do databázy EudraCT, využívanej príslušnými štátnymi orgánmi na prístup k údajom z klinických štúdií, a aj do databázy USA****.

Výsledky výskumov majú byť informačnou bázou pre klinické a praktické rozhodnutia či pacientovi ponúknuť nové lieky alebo liečbu nejakým spôsobom modifikovanú, ktorá zvyšuje nádej na remisiu alebo zmiernuje jeden alebo viac vedľajších účinkov. Takéto rozhodnutie by malo byť etické, nekonkurenčné a prednostné.

Organizácie pacientov by mali mať kontakt s realizátormi štúdie, vďaka ktorému sa uistia, že výskumníci zdieľajú tieto priority. Mnohí lekári vklad patientskych organizácií oceňujú, keďže práve pacienti sú tí, ktorí liečbu dostávajú a musia znášať jej vedľajšie účinky.

Medzi priority patientskych organizácií pri presadzovaní orientácie výskumu na pacienta by malo patriť:

Nájsť praktické alternatívy ku kortikosteroidom

Týka sa to najmä dexametazonu, v súčasnosti hlavnej zložky liečby, ktorý vyvoláva nepríjemné vedľajšie účinky, ako sú strata hmotnosti a ochabovanie svalov, alebo naopak priberanie na váhe, nafukovanie, podráždenosť, osobnostné zmeny, hyperaktivita a nespavosť.

Určiť optimálnu liečbu starších pacientov s vysokým rizikom

Starší pacienti sú obvykle v horšej kondícii a horšie zvládajú intenzívnu chemoterapiu, po ktorej nasleduje transplantácia kmeňových buniek. Zvyčajne im je preto ponúknutá menej invazívna (a menej úspešná) liečba. Táto skupina pacientov naozaj potrebuje uspokojivejšiu alternatívu liečby.

Nájsť riešenie periférnej neuropatie

Častým a rušivým symptómom myelómu sú bolesti, brnenie a otupelosť v rukách a chodidlách, prameniace z periférnej neuropatie. Môže sa vyskytovať už v čase stanovenia diagnózy a postihuje viac ako 75% pacientov liečených bortezomibom a thalidomidom⁵⁹.

**** <http://www.clinicaltrialsregister.eu/> and <http://www.clinicaltrials.gov/>

Flexibilita pri používaní schválených liekov v klinických štúdiách

Pacientske organizácie by v spolupráci s Európskou liekovou agentúrou (EMA) mali pôsobiť na väčšiu flexibilitu klinického výskumu kombinácií nových liekov porovnávaných s existujúcimi schválenými liekmi (“referenčný liek alebo komparátor“), ktoré musia byť podávané iba v dávkach a podľa schémy, určených pri ich schválení na trh.

Často sa však stáva, že pri používaní liekov sa zistí, že malé odchýlky od schváleného dávkovania alebo schémy podávania tohto referenčného lieku prinášajú menšie vedľajšie účinky pri rovnakej efektívite.

V rámci klinickej štúdie je možné skúmať aj experimentálne podávanie schváleného lieku, no akákoľvek odchýlka od spôsobu dávkovania musí byť v projekte štúdie jasne odôvodnená vo vzťahu k účinnosti a bezpečnosti lieku pre pacienta zúčastňujúceho sa na štúdiu. V tomto štádiu prípravy klinickej štúdie môže byť veľmi cennou interakcia s pacientskou organizáciou, prinášajúcou reálny pohľad na potreby pacienta.

Zverejňovať aktuálne informácie o štúdiách

Zverejňovanie informácií o plánovaných štúdiách a ich výsledkoch má pre pacientov nesmierny význam. Informácie o štúdiách v 28 členských štátoch EÚ už sú zverejňované v Registri klinických štúdií^{†††}. Keďže nie každá európska krajina participuje na klinických štúdiách, zverejňovanie výsledkov, vyžadované pripravovanou legislatívou EÚ zaistí, že pacienti s myelómom a ich lekári sa môžu dozvedieť o prebiehajúcich štúdiách a ich vedeckých a klinických záveroch. Európska lieková agentúra teraz skúma a diskutuje praktické otázky spojené so zverejňovaním údajov, ktoré budú slúžiť tak pacientom ako aj kompetentným orgánom verejného zdravotníctva⁶⁰.

Výskum vedúci k personalizovanej starostlivosti

Tento aspekt je veľmi dôležitý, keďže reakcie jednotlivých pacientov na liečbu, ba dokonca aj reakcie na ten istý liek, podávaný v rozličných štádiách rozvoja myelómu, sa veľmi líšia. Práve z tohto dôvodu sú predmetom výskumu aj genetické príčiny myelómu. Jednou z najvýznamnejších iniciatív v tejto oblasti je Genomická iniciatíva mnohopočetného myelómu v rámci Nadácie na výskum myelómu, ktorá si kladie za cieľ úplné zmapovanie genómu myelómu⁶¹ a štúdie CoMMpassSM, zahŕňajúcej 1000 novo diagnostikovaných pacientov, ktorá sa snaží rozpoznať molekulárne a genetické zmeny poukazujúce na rozvoj choroby⁶².

Psychologický výskum

Popri klinických štúdiách je potrebné realizovať aj kvalitatívny výskum emočných a psychologických potrieb pacientov a ich príbuzných, ako aj výskum stratégií na ich podporu. Pacientske organizácie, ktoré dobre poznajú osobné skúsenosti ľudí zasiahnutých myelómom, naliehavo volajú po väčšej aktivite v tejto oblasti. Je potrebné podporovať nácvik súvisiacich zručností a väčšiu vnímavosť k týmto potrebám medzi zdravotníkymi pracovníkmi.

Pozvať pacientske skupiny za stôl

Pacienti a pacientske organizácie môžu v laboratórnom a klinickom výskume zohrávať obrovskú a mnohostrannú úlohu. Domnievame sa, že ich prínos je málo využívaný, pravdepodobne na škodu ostatných subjektov výskumu. Pacienti a ich organizácie môžu ovplyvňovať výskum a pomáhať mu mnohými spôsobmi, vrátane:

Upozorňovať na výskum a zvyšovať informovanosť

Dostupnosť vhodných klinických štúdií sa v jednotlivých krajinách nepochybne rôzni, v závislosti od existencie špecializovaných centier a lekárov podieľajúcich sa na výskume.

^{†††} <http://www.clinicaltrialsregister.eu/>

Úloha patientských organizácií spočíva najmä v tom, že výskumníkom sprostredkujú pohľad pacientov a informujú obe strany o praktických problémoch prístupu k štúdiám. Tie spočívajú v miere iniciatívnosti pacienta pri prehľadávaní internetových databáz, zapojení alebo absencii zapojenia špecialistov do štúdií, či iba jednoducho v dostupnosti štúdie vhodnej pre pacienta v správnom čase na primerane dostupnom mieste.

Presadzovať zmeny pravidiel

Pacienti a ich zástupcovia sú veľkým prínosom v procese autorizácie klinického výskumu – pri práci etických komisií, tvorbe projektov a pri schvaľovaní uvedenia lieku na trh.

Na európskej úrovni sú zástupcovia pacientov riadnymi členmi s plným hlasovacím právom v Európskej liekovej agentúre (EMA) a v množstve jej komisií týkajúcich sa myelómu, vrátane Komisie pre lieky na zriedkavé choroby, ktorej podpredsedom je zástupca pacientov⁶³, Komisie pre pokročilé liečby a Komisie na hodnotenie rizika liekov.

Zástupcovia pacientov tiež pomáhajú poradným skupinám EMA pri propagácii vývoja liekov, poskytovaní presných informácií pacientom a pri presadzovaní rovnakej dostupnosti liekov na európskom a národnom stupni.

Pacienti so zriedkavými chorobami sú v EMA vítaní, aby ako znalci prispievali k vývoju produktov na ich chorobu, napr. pri príprave protokolov. Účasť pacientov na práci EMA však nijako neovplyvňuje pravidlá pre stanovovanie cien liekov a ich úhradu, keďže tieto otázky nepatria do pôsobnosti EMA.

V rámci EÚ pôsobí Európskou liekovou agentúrou vytvorená Pracovná skupina pacientov a spotrebiteľov, ktorej členmi sú zástupcovia mnohých európskych patientských organizácií. Najlepším príkladom príspevku patientských organizácií ku schváleniu lieku je schválenie thalidomidu a lenalidomidu na liečbu myelómu v Európe. Dostupnosť týchto liekov sa však aj po schválení EMA v jednotlivých krajinách veľmi líši⁶⁴.

Na národnej úrovni sú medzi krajinami veľké rozdiely v stálej účasti zástupcu pacientov na práci regulačných komisií, pričom v mnohých krajinách nie je vôbec možná. Práca v takýchto komisiách poskytuje priestor pre presadzovanie jednotných európskych cieľov a ovplyvňovanie pravidiel pre určovania cien liekov a ich úhradu.

Prijatie a implementácia výsledkov výskumu

Ďalšou oblasťou neoceniteľného prínosu pacientov je oblasť Hodnotenia zdravotníckych techník (HTA), používaných v mnohých európskych krajinách kompetentnými orgánmi a organizáciami na overovanie výsledkov rôznych druhov liečby a rozhodovanie o ich efektivite vo vzťahu k účinnosti a vynaloženým finančným prostriedkom. HTA vyhodnocuje výsledky vedeckých štúdií, ktoré sú doplnené informáciami od pacientov a ich opatrovateľov o ich reálnej skúsenosti s liečbou v praxi. Zameriavajú sa nielen na to, či došlo k zmierneniu symptómov, ale aj do akej miery, a čo to stálo vo vzťahu k vedľajším účinkom a úžitku liečby, ktorý by sa bez nej nedosiahol⁶⁵.

Záver

Výskum je pre pacientov s myelómom kľúčovou oblasťou záujmu. Prínos výskumu v budúcnosti sa zdá byť sľubným, realitou prítomnosti sú regulácie, vysoké náklady a nedostatok záujmu o pacienta. Pripravovaná smernica EÚ o klinických štúdiách má znížiť administratívnu záťaž kladenú na výskumné projekty, a tým povzbudiť vznik väčšieho množstva klinických štúdií v Európe, z ktorých budú profitovať európski pacienti. Smernica má nadobudnúť účinnosť až v roku 2016, potrvá tak ešte roky, kým jej dopady pocítime. Kým sa tak stane, majú patientske organizácie dôležitú úlohu oboznámiť kompetentné štátne orgány, a subjekty realizujúce a financujúce výskum tak vo verejnom sektore, ako aj vo farmaceutickom priemysle, s naliehavými prioritami pacientov.

Odporúčania: Výskum

Pre všetky zúčastnené subjekty

- Snažiť sa o širšiu spoluprácu jednotlivých subjektov výskumu a vytvoriť tak stratégie spájajúce ich odlišné ciele a minimalizujúce duplicitu výskumných projektov
- Podporovať a investovať do zdieľaného výskumu, napr. prostredníctvom spoločných projektov, spolupráce financovanej EÚ medzi priemyslom a univerzitami a projektov ako je Inovatívna medicínska iniciatíva
- Presadzovať priamy výskum, ktorý prinesie ľuďom trpiacim myelómom najväčší úžitok

Pre patientske organizácie

- Upozorňujte kompetentné orgány na najsľubnejšie výsledky klinických štúdií, aby sa mohli čo najrýchlejšie premietnuť do štandardov liečby
- Podporujte ciele pripravovanej legislatívy EÚ o klinických štúdiách umožňujúcej zabezpečenie lepšieho prístupu pacientov z celej Európy ku klinickému výskumu a stimulujúcej výskumníkov, aby po zjednotení pravidiel realizovali svoje projekty práve v Európe
- Využite príležitosť poskytnutú pripravovanou legislatívou o klinických štúdiách na presadenie väčšej účasti zástupcov pacientov pri kontrole klinických štúdií a na zdôrazňovanie nevyhnutnosti orientácie nových liekov na potreby pacientov a nie iba na požiadavky pre schválenie ich predaja
- Dôrazne obhajujte nutnosť väčšieho množstva výskumných projektov orientovaných na psychologickú podporu pacientov, ako aj potrebu školení a zvyšovania vedomostí zdravotníckych pracovníkov v oblasti emočných potrieb pacientov a ich blízkych osôb

Pre orgány schvaľujúce uvedenie liekov na trh

- Monitorujte a preverujte úroveň výskumných štúdií, aby potreby pacientov boli premietnuté do výsledku investície

Pre medzinárodné nadácie podporujúce výskum

- Pokračujte, a kde je to možné rozšírite podporu klinického výskumu v oblasti liečby a napokon aj vyliečenia myelómu
- Pokračujte a rozširujte interakciu s pacientmi vedúcu k zdôrazňovaniu najdôležitejších priorít financovania výskumných projektov v budúcnosti

Pre farmaceutický priemysel

- Prehĺbte mechanizmy interakcie so zástupcami pacientov pri vytváraní klinických štúdií
- Uprednostnite štúdie orientované na potreby pacientov
- Zverejňujte negatívne zistenia rovnako ako pozitívne, aby bolo možné rozpoznať, ktorá liečba neúčinkuje alebo má v porovnaní s existujúcou liečbou horšie vedľajšie účinky



5. Účinný právny rámec liečby a starostlivosti o pacientov s myelómom

5. Účinný právny rámec liečby a starostlivosti o pacientov s myelómom

Európska únia nie je síce priamo zodpovedná za systém zdravotnej starostlivosti alebo za jej poskytovanie v členských štátoch, zohráva však významnú úlohu pri presadzovaní opatrení zlepšujúcich verejné zdravie a pri koordinovaní úsilia jednotlivých členských štátov. Vplyv EÚ na vytváranie expertných centier a európskej referenčnej siete je obzvlášť dôležitý pre zriedkavé ochorenia ako myelóm, s obmedzeným počtom pacientov a potrebou koncentrácie prípadov na špecializovaných pracoviskách s dostatočnými skúsenosťami. Prepracovaný systém výmeny informácií a koordinácie starostlivosti by pomohol zlepšiť prístup k zdravotnej starostlivosti pacientom z vidieckych a odľahlých oblastí, ktorí môžu mať ťažkosti s dostupnosťou medicínskej opatery. V rámci agendy verejného zdravia EÚ je kladený veľký dôraz na podporu vzniku národných plánov boja proti rakovine a koordináciu registrov a databáz.

Najdôležitejšie informácie

- Zriedkavé ochorenia, vrátane myelómu, sú jednou z priorit stratégie Európskej komisie pre oblasť zdravotníctva v rokoch 2008-2013, obsahujúcej opatrenia na zlepšenie dostupnosti liečby a podporu výskumu týchto chorôb
- Nie všetky členské štáty garantujú úplnú dostupnosť každého lieku na zriedkavé ochorenia, bez ohľadu na ich schválenie Európskou liekovou agentúrou
- Kľúčovými aspektami stratégie EÚ a členských štátov vo vzťahu k myelómu sú:
 - o Rozpoznanie a podpora špecializovaných - expertných centier a zlepšovanie diagnostických a liečebných možností v členských štátoch
 - o Vytvorenie európskych referenčných sietí s účasťou národných expertných centier, čím sa pacientom umožní prístup k expertnej starostlivosti, informáciám, diagnostike, starostlivosti, vzdelávaniu a výskumu
 - o Vytvorenie jednotných národných plánov boja proti rakovine
 - o Vytvorenie štandardov pre liečbu myelómu
 - o Zabezpečenie včasného a spravodlivého prístupu k liekom
 - o Zabezpečenie transparentnej a regulovanej tvorby cien liekov
 - o Hodnotenie zdravotníckych techník
 - o Prevádzkovanie komplexných registrov a databáz
- Pacientske organizácie by mali aktívne vstupovať do tvorby štandardov liečby, aby zabezpečili účinnú implementáciu legislatívy EÚ v členských štátoch, čo povedie k:
 - o Zabezpečeniu spravodlivého prístupu k liečbe
 - o Zamedzeniu duplicity postupov
 - o Skorej dostupnosti liekov na zriedkavé choroby
 - o Zlepšeniu diagnostiky a starostlivosti

Prehľad aktuálneho právneho rámca v Európe

V Európe zodpovedajú vlády členských štátov za tvorbu svojej zdravotníckej politiky a za organizáciu a zabezpečenie zdravotníckych služieb a zdravotnej starostlivosti. Úlohou Európskej únie je dopĺňať národné stratégie a motivovať členské štáty na spoluprácu pri zlepšovaní verejného zdravotníctva, prevencii fyzických a duševných chorôb a pri odstraňovaní zdrojov ohrozenia fyzického a duševného zdravia⁶⁶. EÚ pôsobí na starostlivosť o pacientov s myelómom svojou legislatívou, a aj nezáväznými odporúčaniami.

V oblasti zriedkavých chorôb, vrátane myelómu, je EÚ aktívna od roku 1999. Tieto choroby boli označené za prioritu aj v stratégii Európskej komisie pre oblasť zdravotníctva v rokoch 2008-2013⁶⁷. Aktuálna stratégia EÚ, vyjadrená v komuniké Komisie z r. 2008 a v odporúčaní Rady z r. 2009, podporuje národné stratégie, vrátane národných akčných plánov a povzbudzuje spoluprácu a lepšiu výmenu informácií medzi členskými štátmi⁶⁸.

Akčný plán EÚ vyzýva členské štáty budovať expertné centrá (na úrovni členských štátov nazývané aj referenčné centrá) a európske referenčné siete, ktoré majú viesť k univerzálnej dostupnosti kvalitnej starostlivosti o pacientov trpiacich zriedkavými chorobami⁶⁸. Európska komisia v súlade s článkom 12 Smernice o cezhraničnej zdravotnej starostlivosti vypracúva podmienky a pravidlá pre zakladanie a prevádzku expertných centier a európskych referenčných sietí.

Tieto kroky sú posilnené opatreniami na zlepšenie prístupu k liekom na zriedkavé ochorenia⁶⁸ a možnými stimulmi na podporu výskumu vzácnych chorôb a vývoja liekov^{68,69}. V praxi však nie všetky členské štáty garantujú úplnú dostupnosť každého lieku na zriedkavé ochorenia schváleného pre uvedenie na trh⁷⁰.

Odporúčania Rady EÚ pre boj so zriedkavými ochoreniami⁶⁸ požadujú od členských štátov vytvorenie národných plánov boja proti zriedkavým chorobám najneskôr do roku 2013, zveľaďovanie informačných zdrojov, rozpoznávanie potrieb a priorít výskumu a podporu účasti v ňom, pomoc pri vytváraní expertných centier, poskytnutie národných skúseností do prípravy európskych štandardov, šírenie a zdieľanie odporúčaných postupov a posilňovanie postavenia patientskych organizácií⁷¹.

Komisia expertov Európskej únie na zriedkavé choroby (EUCERD⁶⁸) bola založená v roku 2009 na podporu európskych aktivít v tejto oblasti. Európska komisia tiež v r. 2008-2011 podporovala Európsky projekt na podporu vytvárania národných plánov boja proti zriedkavým chorobám (EUROPLAN⁶⁸). V súčasnosti podporuje vytvorenie spoločného akčného plánu členských štátov na boj so zriedkavými chorobami (2012-2015), ktorý posunie a doplní prácu vykonanú v rámci EUROPLAN, a podporí kompetentné štátne orgány členských štátov v ich úsilí vytvárať a presadzovať národné plány boja so zriedkavými ochoreniami.

⁶⁶ Lieky na zriedkavé ochorenia sú určené na diagnostiku, prevenciu alebo liečbu život ohrozujúceho alebo trvalo oslabujúceho stavu, ktorý postihuje menej ako 5 osôb z 10 000.

⁶⁸ Odporúčania Rady vyzývajú na konkrétne kroky, no na rozdiel od nariadení a smerníc nie sú pre členské štáty záväzné.

⁶⁸ http://www.eucerd.eu/_PP__1.html

⁷¹ http://www.euoplanproject.eu/_newsite_986987/project.html

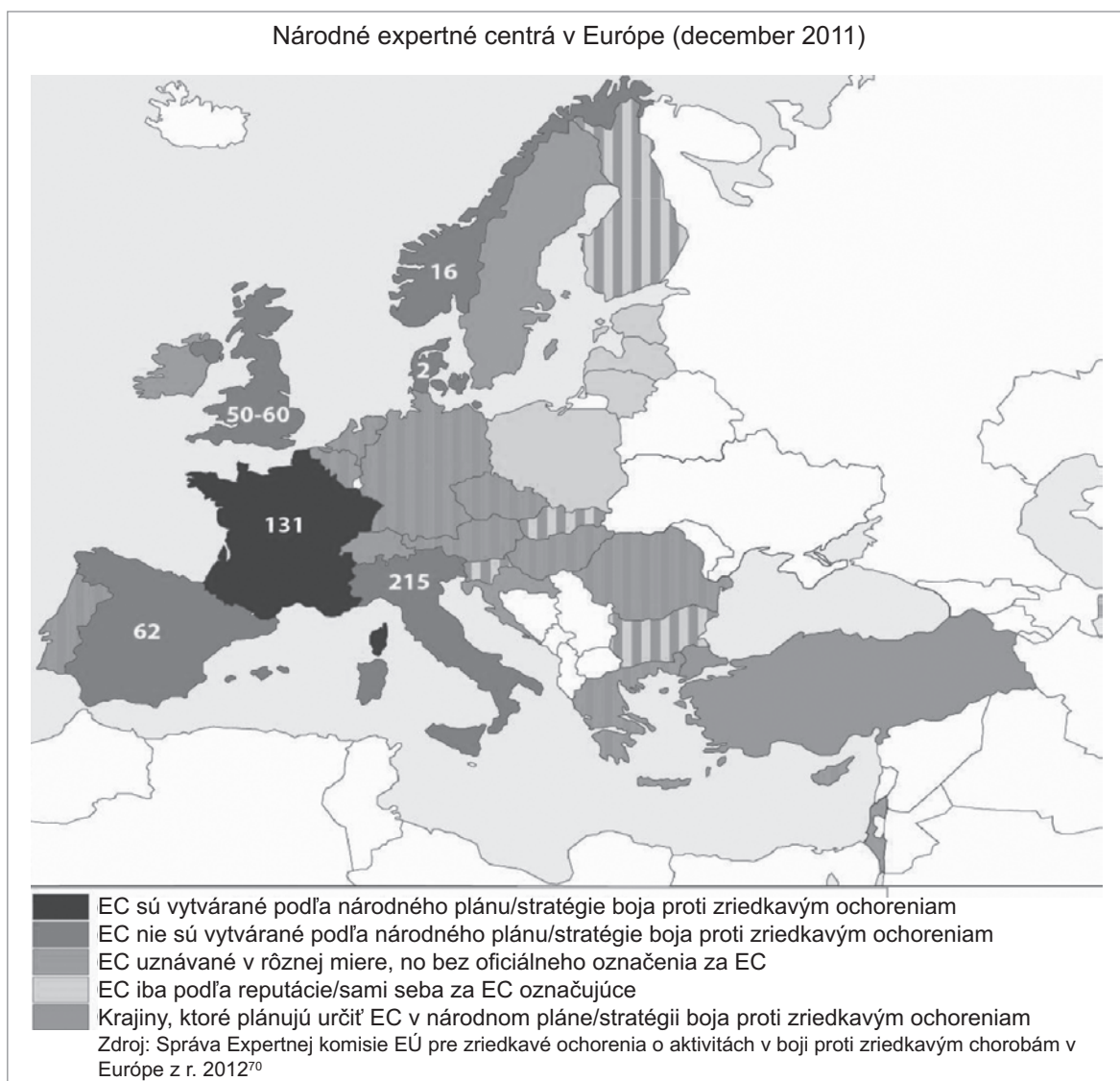
Kľúčové aspekty európskych a národných stratégií

Expertné centrá

Nápad vytvoriť expertné centrá sa v EÚ objavil v roku 2008. V roku 2010 bol podporený rezolúciou Európskeho parlamentu, podľa ktorej je potrebné uskutočniť špeciálne kroky pre zriedkavé a menej časté druhy rakoviny.

Smernica EÚ o právach pacientov pri cezhraničnom poskytovaní zdravotnej starostlivosti špecificky odkazovala na európske referenčné siete a expertné centrá vo svojom článku 12, čím sa stala prvou legislatívnou základňou pre implementáciu sietí a uznanie expertných centier na úrovni EÚ. Zmyslom týchto centier a sietí je zdieľanie poznatkov s ostatnými centrami v celej EÚ a vytvorenie kanálov pre výmenu informácií, čím sa odborné vedomosti stanú široko dostupnými⁷². Tieto centrá, fungujúce podľa prísnych pravidiel a podmienok (ktoré v súčasnosti pripravuje Európska komisia), budú poskytovať špecializované služby, napr. pre jednu zriedkavú chorobu alebo jednu skupinu zriedkavých chorôb.

V niektorých členských štátoch sú už podobné systémy zavedené. Kritériá pre ich fungovanie, hoci sú v súlade s odporúčaniami EUCERD⁷³, sa v jednotlivých krajinách líšia⁷⁰.



Európske referenčné siete

V r. 2008 vyzval Európsky parlament Európsku komisiu, aby použila peniaze zo štrukturálnych fondov a Siedmeho rámcového výskumného programu na vytvorenie a financovanie referenčných sietí pre zriedkavé a ťažko liečiteľné druhy rakoviny. Tieto referenčné siete mali umožniť efektívne spojenie zdrojov a vedomostí na zlepšenie diagnostiky a liečby⁷⁴. Komisia na túto výzvu reagovala vydaním dokumentu Európske partnerstvo v boji proti rakovine na roky 2009-2013⁵⁵. Na ten má nadväzovať nový spoločný plán boja proti rakovine (2013-2016), dopĺňajúci už vykonanú prácu.

Odporúčania Komisie z r. 2009 vyzývali členské štáty podporovať vytváranie referenčných sietí, spájajúcich expertné centrá venujúce sa zriedkavým chorobám a zlepšiť tak prístup k diagnóze a kvalitnej zdravotnej starostlivosti. Európska legislatíva v oblasti cezhraničnej zdravotnej starostlivosti⁷⁵ si kladie za cieľ práve prostredníctvom európskych referenčných sietí zlepšovať prístup k diagnóze a špičkovej zdravotnej starostlivosti pre všetkých pacientov, ktorých stav si vyžaduje osobitnú koncentráciu zdrojov alebo vedomostí.

Tieto siete boli navrhnuté tak, aby zjednodušili výmenu informácií a spoluprácu medzi profesionálmi a expertnými centrami. Zároveň sú centrami medicínskych školení a výskumu, šírenia a hodnotenia informácií, najmä v oblasti zriedkavých chorôb. Nariadenie ukladá Komisii povinnosť vytvoriť podmienky a pravidlá pre referenčné siete⁷⁵. Z pohľadu pacientov sú siete veľmi hodnotným krokom vpred, keďže umožňujú profitovať z poznatkov a skúseností výskumníkov z iných členských štátov.

V súčasnosti ešte neexistujú žiadne referenčné siete venované práve myelómu, prebieha však pilotné hodnotenie sietí 11 iných chorôb, ktoré umožní určiť agendu ďalších sietí⁷⁶.

Je dôležité, aby patientske organizácie zaujali aktívny postoj k budovaniu európskych referenčných sietí v r. 2012 - 2014. Mali by vplývať na vlády jednotlivých členských štátov a na Európsku komisiu, aby pri tvorbe referenčných sietí zohľadnili potreby pacientov, napr. v oblasti výskumu. Zapojenie výskumníkov by malo mať prísne neutrálne kritériami.

Národné plány boja proti rakovine

Národné plány boja rakovine, presadzované v stanovisku Európskej komisie o boji proti rakovine z r. 2009⁵⁵, sú iniciatívy v oblasti verejného zdravia zamerané na zníženie výskytu rakoviny a úmrtnosti na ňu a na zlepšenie kvality života pacientov s rakovinou. Na dosiahnutie tohto cieľa využívajú dôkazmi podložené kroky v oblasti prevencie, diagnostiky, liečby, paliatívnej starostlivosti a výskumu⁷⁷. Jedným z ich najdôležitejších cieľov je podpora vývoja štandardov zdravotnej starostlivosti a zdôrazňovanie významu včasnej diagnózy. Niektoré členské štáty ešte ani nezačali s prácou na plánoch boja proti rakovine, v iných členských štátoch sú iba v štádiu prípravy. Štúdia z r. 2009 venovaná národným plánom proti rakovine zistila, že iba 19 z 31 európskych štátov má funkčný plán boja proti rakovine (pričom z týchto 19, 4 patrili krajinám ústavne včleneným do Veľkej Británie)⁷⁸ a medzi jednotlivými plánmi sú významné rozdiely. V mnohých boli zreteľné hluché miesta v oblasti ich aplikácie, cieľov, časového rámca a financovania⁷⁸.

Dostupnosť liekov na zriedkavé ochorenia

- **Dôležité lieky stále nie sú dostupné.** Lieky na zriedkavé ochorenia musia byť dostupné za akceptovateľnú cenu. V EÚ je mnoho príkladov nedostatočnej dostupnosti dôležitých liekov, napr. Rumunsko, kým napr. v Poľsku dostupnosť stále ešte závisí od výsledku jednaní medzi farmaceutickou spoločnosťou a kompetentným štátnym orgánom

- **Výzva na zjednotenie cenovej politiky a pravidiel úhrady liečby.** Európska organizácia zriedkavých chorôb (EURORDIS) vyzvala v r. 2009 v spolupráci s farmaceutickým priemyslom a vedeckými kapacitami Európsku Komisiu a EMA na vytvorenie pracovnej skupiny európskej spolupráce, ktorá by vedecky stanovila klinickú pridanú hodnotu liekov na zriedkavé choroby⁷⁹. Zámerom pritom bolo vytvoriť spoločnú bázu pre národnú cenotvorbu a pravidlá úhrady nákladov na takúto liečbu.
- **Tri dotazníkové štúdie** realizované v r. 2004 – 2010 EURORDIS a Farmaceutickým fórom EÚ preukázali, že “rovnaký a včasný prístup pacientov k schváleným liekom na zriedkavé choroby je stále problematický a trhová dostupnosť sa v rámci a medzi členskými štátmi značne líši⁸⁰. Európska komisia zastrešila štúdiu spoločnosti Ernst & Young, ktorá sa stala základom odporúčaní Komisie expertov EÚ na zriedkavé choroby v r. 2012⁸⁰. Odporúčania zakotvujú mechanizmus výmeny informácií medzi členskými štátmi, ktoré im majú pomôcť dospieť k informovaným rozhodnutiam v oblasti prístupu k liekom na zriedkavé choroby a k preklenutiu nedostatku poznatkov v čase schvaľovania uvedenia lieku na trh⁸¹.
- **Je zdieľanie rizika správnu odpoveďou?** Jednou z odpovedí na problém dostupnosti liekov na zriedkavé choroby je zdieľanie rizika. Takýto prístup bol využitý pri povolení bortezomibu (Velcade®) na liečbu myelómu vo Veľkej Británii. Dohoda je taká, že štát uhradí náklady na liečbu iba ak pacient dosiahne úplnú alebo čiastočnú remisiu po štyroch cykloch liečby. Ak ju nedosiahne, náklady hradí výrobca. Takáto koncepcia umožňuje pacientovi prístup k liečbe a minimalizuje náklady systému zdravotnej starostlivosti, jej prínos k zlepšovaniu dostupnosti nových liekov však ešte nie je presne zhodnotený⁸².
- **Včasné schválenie lieku pre vážne stavy, ktoré nie je možné liečiť dostupnou liečbou.** Schvaľovací proces v rámci EMA je pre dostupnosť liekov na myelóm veľmi dôležitý. Zvýšený tlak je vyvíjaný na skoré schválenie lieku na vážne stavy, ktoré nie je možné liečiť dostupnou liečbou⁸³. Popri zvyčajnom schvaľovacom procese, EMA môže liek schváliť podmienene, na použitie v prípadoch, kde na základe predbežných dôkazov možno predpokladať prínos liečby. Takýto každoročne obnovovaný súhlas prináša povinnosť zabezpečiť údaje požadované v procese riadneho schválenia lieku⁸⁴. Pacientske organizácie sa môžu realizovať pri presadzovaní širšieho využívania podmieneneho súhlasu, a to tak v špecifických prípadoch, aj ako všeobecného princípu.

Stanovovanie ceny liekov

- **Objektívne, nediskriminačné stanovenie ceny lieku pri cezhraničnej zdravotnej starostlivosti.** Cena lieku je výsledkom vyjednávania medzi kompetentným štátnym orgánom a farmaceutickou spoločnosťou. Legislatíva v oblasti cezhraničnej zdravotnej starostlivosti vyžaduje, aby informácie o cene lieku boli presné, a aby sa rovnaké poplatky uplatňovali voči domácemu obyvateľstvu a voči pacientovi z iného členského štátu. Ak neexistuje porovnateľná cena pre domácich pacientov, cena musí byť vypočítaná s použitím objektívneho a nediskriminačného kritéria.
- **Potreba legislatívneho zakotvenia cezhraničnej dostupnosti lieku.** Keďže nariadenia o stanovovaní ceny liekov je nutné vkomponovať do právnych poriadkov členských štátov, veľmi záleží na efektívnej transpozícii a implementácii európskej legislatívy. V krajinách, kde pacient musí zaplatiť náklady na liečbu, ktoré sú mu neskôr preplatené, by sa mala zlepšiť dostupnosť liečby pre chudobnejších pacientov.

- **Opatrenia na reguláciu cien liekov majú byť transparentné.** V tejto oblasti je dôležitým krokom návrh Dodatku z marca 2012⁸⁵ k Nariadeniu z r. 1989 o transparentnosti opatrení pri regulácii ceny liečiv. Pôvodné Nariadenie zakotvuje právo členských štátov určovať ceny liekov. Navrhovaný Dodatok zmení v súčasnosti už veľmi neaktuálne Nariadenie tým, že sprísni pravidlá kontroly stanovovania cien liekov a úhrady nákladov na liečbu tak, aby pokrývali hodnotenie zdravotníckych techník (viď nižšie) a skráti lehotu na vydanie rozhodnutí v oblasti tvorby cien a úhrady nákladov na liečbu na 60 dní, čím by malo dôjsť k zlepšeniu prístupu pacienta k novým liekom.

Hodnotenie zdravotníckych techník (HTA)

- **V členských štátoch by sa mala uplatňovať metodika HTA.** Nariadenie o cezhraničnej zdravotnej starostlivosti umožňuje Európskej komisii podporiť dobrovoľnú sieť spájajúcu národné orgány zodpovedné za hodnotenie zdravotníckych techník vytvorených v jednotlivých členských štátoch (viď 4. kapitola venovaná výskumu). Takáto sieť by mala zabrániť duplicitě a podporiť spoluprácu členských štátov pri vytváraní a zdieľaní metodík hodnotenia zdravotníckych techník, vrátane hodnotenia relatívnej účinnosti lieku⁷⁵.

Smernice pre liečbu a starostlivosť o pacientov s myelómom

- **Potrebuje jednotné klinické štandardy,** ktoré by viedli rozhodnutia pri diagnostike, manažmente a liečbe v špecifických terapeutických oblastiach, a boli by založené na najlepších dostupných poznatkoch. Ťažkosti môžu vyvolávať odlišnosti v prístupoch čerpajúcich z rozličných zdrojov. Súčasné štandardy sa líšia kvôli zriedkavému výskytu myelómu a odlišným pravidlám tvorby cien liekov a ich úhrady. Hoci máme k dispozícii viaceré pravidelne aktualizované európske štandardy a súhlasné stanoviská v oblasti liečby myelómu, ich početnosť môže znižovať ich hodnotu^{86,87}.
- **Úlohou Myeloma Patients Europe je prispieť k vytvoreniu a aplikácii jednotných európskych štandardov optimálnej starostlivosti.** Jedným zo základných cieľov organizácie je zabezpečiť rovnako kvalitnú starostlivosť pre pacientov z celej Európy. Najväčšou prekážkou dosiahnutia tohto cieľa sú rozdielne pravidlá pre úhradu nákladov na liečbu v jednotlivých európskych štátoch, ktoré môžu obmedziť dostupnosť tej ktorej liečby. Britská organizácia Myeloma Forum, ktorá už vytvorila dôležité štandardy diagnostiky a zvládania myelómu a poskytovania podpornej starostlivosti mieni v spolupráci s Národným inštitútom zdravia a klinickej znamenitosti (NICE) pripraviť štandardy NICE pre manažment myelómu. Tie by mohli mať veľký vplyv na prípravu jednotných európskych štandardov.

Registre a databázy

- **Epidemiologických údajov o jednotlivých zriedkavých rakovinách ako je myelóm je veľmi málo.** Podľa databázy Orphanet existuje v 15 členských štátoch EÚ 28 registrov pacientov s myelómom⁸⁸. Údaje o epidemiológii myelómu sú podstatné pre zistenie jeho výskytu v rámci Európy, odhalenie odchýlok, rozpoznanie oblastí s lepšou úrovňou starostlivosti a zdieľanie účinných stratégií⁸⁹. Orphanet a ďalšie databázy sú tiež neoceniteľným zdrojom informácií o aktuálnych klinických štúdiách.

Systémové riešenia na odstránenie prekážok čo najlepšej starostlivosti o pacientov s myelómom

Napriek tomu, že bezpochyby existuje množstvo tak národných, ako aj európskych kampaní, nie všetci pacienti sa tešia najlepšej nožnej starostlivosti. Aké systémové riešenia môžu prispieť k prelomeniu prekážok dosiahnutia čo najlepšej liečby a starostlivosti?

- **Prístup k novým liekom** – Bez spochybňovania práva kompetentných štátnych orgánov vytvárať svoje pravidlá pre úhradu liekov, na úrovni EÚ existuje priestor pre zdôrazňovanie nutnosti odstrániť odchýlky v pravidlách financovania liečby medzi jednotlivými členskými štátmi, ktoré negatívne ovplyvňujú perspektívu pacientov. Povinnosti má aj farmaceutický priemysel: nestavať lieky pre ich cenu mimo dosah príslušných štátnych orgánov v oblasti zdravotníctva.
- **Prístup k optimálnej starostlivosti** – Jednotné smernice na diagnostiku, zvládanie, liečbu a podpornú starostlivosť, široko akceptované v rámci celej Európy, by boli veľkým prínosom pri zvyšovaní úrovne a zabezpečení spravodlivosti. Vo väčšine členských štátov sú plány boja proti rakovine v štádiu prípravy alebo realizácie, ich reálne uplatňovanie však v mnohých smeroch zlyháva. Na to, aby boli účinnými, by sa nemali uspokojiť iba so stanovením cieľov; nasledovať by malo pravidelné a nezávislé hodnotenie výsledkov ich plnenia, aké výsledky sa dosiahli, ktoré ciele sa naplnili a ktoré nie.
- **Expertné centrá a európske referenčné siete** sú v rannom štádiu vývoja a potrebujú efektívnu koordináciu, hodnotenie a rozširovanie do ďalších oblastí, vrátane rakovín krvi. Napokon však tiež môžu prispieť k dostupnosti najlepšej liečby pre pacientov. Ak v nejakej krajine pacient nemôže takéto centrum využívať, pretože tam neexistuje, referenčné siete by mali sprostredkovať pacientovi kompetentný personál, alebo minimálne aspoň elektronickú konzultáciu a expertízu. Dobrá komunikácia medzi expertnými centrami a miestnymi špecializovanými a nešpecializovanými pracoviskami (napr. zabezpečujúcimi paliatívnu starostlivosť) je podstatná pre pacientov, ktorí práve nedostávajú špecializovanú starostlivosť, no vyžadujú osobitnú pozornosť (napr. pre slabý imunitný systém).
- **Prístup k cezhraničnej zdravotnej starostlivosti** – Pacienti sú radšej liečení v krajine, kde žijú, no ak to nie je možné, alebo by diagnostikovanie a liečba trvali príliš dlho, môžu využiť právo na cezhraničnú zdravotnú starostlivosť (zakotvené v Nariadení EÚ z r. 2004 o koordinácii systémov sociálneho zabezpečenia⁹⁰ a cezhraničnej zdravotnej starostlivosti). Aj v týchto zlepšených podmienkach, je stále na pacientoch, ktorí sa idú liečiť do inej krajiny, aby si zistili informácie o potenciálnej liečbe a preukázali poisťovni, že liečba sa naozaj realizuje a je riadne zdokumentovaná⁹¹. Podľa údajov Európskej komisie predstavujú celkové náklady na cezhraničnú zdravotnú starostlivosť 1% všetkých nákladov EÚ v oblasti verejného zdravotníctva⁹² – čo je síce nízky podiel, no pre pacientov trpiacich zriedkavými ochoreniami životne dôležitý. Smernica o cezhraničnej zdravotnej starostlivosti 2011/24 EÚ ukladá členským štátom povinnosť zvoliť si mechanizmus úhrady zdravotnej starostlivosti poskytnutej pacientom z iných členských štátov, a do r. 2013 ho zakotviť do svojej legislatívy. Pacientske organizácie mali v čase prípravy tejto legislatívy pôsobiť na kompetentné štátne orgány, aby tieto zvolili mechanizmus priamej platby členského štátu, v ktorom má pacient pobyt, členskému štátu, v ktorom bola zdravotná starostlivosť poskytnutá. Druhou možnosťou je, že pacient zaplatí vopred, a následne žiada náhradu tejto platby vo svojom štáte^{****}.
- **Prístup ku klinickým štúdiám** nie je v súčasnosti rovnaký v každej európskej krajine. Je to spôsobené raritným výskytom myelómu a rôznou dostupnosťou nemocníc, realizujúcich výskum. Pripravovaný návrh Nariadenia o klinických štúdiách medicínskych

produktov používaných ľuďmi^{§§§§§} (ktorý má po svojom schválení nahradiť Nariadenie 2001/20/EC o klinických štúdiách) má pôsobiť na ďalšiu harmonizáciu legislatívy členských štátov v oblasti klinického výskumu, zjednodušujúc proces súčasnej realizácie klinickej štúdie vo viacerých členských štátoch naraz, čím sa zlepší možnosť pacientov participovať na štúdiách v iných krajinách. Nerieši však obvyklé praktické problémy súvisiace s cestovaním, nákladmi a odlúčením od rodiny/opatrovateľa.

- **Včasná diagnóza** – Na zlepšenie povedomia o možnej diagnóze myelómu je potrebné vzdelávanie lekárov. Nakoľko je myelóm vzácny aj v celoživotnej lekárskej praxi, najlepším riešením naozaj je neustále vzdelávanie lekárov a pravidelné pripomínanie strašných dôsledkov nesprávnej diagnózy, ako aj výskum diagnostiky.
- **Priority pacientov majú byť zohľadnené pri tvorbe systémových riešení** – hoci sa v súčasnosti patientske organizácie podieľajú na práci mnohých etických a regulačných komisií, tento trend je potrebné v Európe naďalej prehĺbovať. Načúvanie názorom a preferenciám pacientov sa stretáva s určitou zdržanlivosťou, no máme k dispozícii množstvo dôkazov, že takáto snaha prispieva k efektívnosti rozhodnutí kompetentných štátnych orgánov. Napríklad Vláda Veľkej Británie sa vo svojej stratégii na zlepšenie perspektív pri rakovine pre rok 2011 zaviazala zabezpečiť, že názor pacientov a verejnosti na spôsob, akým sa majú rozvíjať služby v oblasti rakoviny, bude vypočítaný⁹³.

Pacienti potrebujú mať PRÍSTUP

Optimálna starostlivosť závisí na prístupe pacientov k:

- Novým liekom
- Efektívnej starostlivosti
- Cezhraničnej zdravotnej starostlivosti
- Expertíze
- Jednotným smerniciam
- Klinickým štúdiám
- Včasnej diagnóze
- Príležitosti uplatniť priority pacientov pri tvorbe systémových riešení

V SR sú tieto otázky riešené v zákone č. 580/2004 Z. z. o zdravotnom poistení. Novelou zákona boli do neho doplnené ustanovenia §§9a – 9f, ktoré nadobúdajú účinnosť 1.10.2013. Podľa doplneného ustanovenia § 9a sa náklady zdravotnej starostlivosti poskytnutej poistencovi verejného zdravotného poistenia v tretích krajinách hradia za neodkladnú zdravotnú starostlivosť do výšky úhrady nákladov na území Slovenskej republiky. Pri splnení kritérií ustanovenia § 9b ods. 10 by zdravotná poisťovňa mohla uhradiť aj plánovanú zdravotnú starostlivosť v tretích krajinách. Doplnené ustanovenie § 9b upravuje úhradu nákladov zdravotnej starostlivosti poskytnutej poistencovi v inom členskom štáte. Podľa uvedeného ustanovenia má poistenec právo na úhradu nákladov (1) potrebnej zdravotnej starostlivosti poskytnutej v inom členskom štáte, (2) zdravotnej starostlivosti v plnom rozsahu, ak má poistenec bydlisko v inom členskom štáte a (3) zdravotnej starostlivosti so súhlasom príslušnej zdravotnej poisťovne. Úhradu nákladov zdravotnej starostlivosti poskytnutej poistencovi iného členského štátu na území Slovenskej republiky upravuje ustanovenie § 9c. Na uvedeného poistenca by sa mal vzťahovať rovnaký postup, ktorý vyplýva aj z ustanovenia § 9b. Preplatenie nákladov cezhraničnej zdravotnej starostlivosti poskytnutej poistencovi v inom členskom štáte upravuje doplnené ustanovenie § 9d. Cezhraničnou zdravotnou starostlivosťou sa v zmysle uvedeného ustanovenia rozumie zdravotná starostlivosť poskytovaná alebo indikovaná poistencovi v inom členskom štáte. Ustanovenie § 9d tiež zakotvuje právo poistenca na preplatenie nákladov cezhraničnej zdravotnej starostlivosti poskytnutej v inom členskom štáte u poskytovateľa zdravotnej starostlivosti iného členského štátu. Nárok vzniká iba v prípade, ak poskytnutá zdravotná starostlivosť patrí do rozsahu zdravotnej starostlivosti uhrádzanej na základe verejného zdravotného poistenia v Slovenskej republike.

Poistenci, ktorí chcú cestovať do iného členského štátu za účelom využitia konkrétnej zdravotnej starostlivosti, by mali požiadať zdravotnú poisťovňu o predchádzajúci súhlas podľa ustanovenia § 9f. Zákon poistencovi umožňuje požiadať aj o dodatočné vydanie súhlasu najneskôr do 1 roka odo dňa poskytnutia zdravotnej starostlivosti. Zdravotná poisťovňa by potom bola povinná rozhodnúť do 15 pracovných dní od dňa jej prijatia, pri závažnom ochorení bude musieť rozhodnúť bezodkladne. Proti rozhodnutiu návrh umožňuje poistencovi podať odvolanie do 20 pracovných dní odo dňa doručenia rozhodnutia. Pozn. prekladateľky.

§§§§§ http://ec.europa.eu/health/files/clinicaltrials/2012_07/proposal/2012_07_proposal_en.pdf

Odporúčania: Tvorba pravidiel

Pre kompetentné štátne orgány

- Vytvoriť jasný národný plán boja proti rakovine, v rámci ktorého budú zakotvené presné zámery v oblasti diagnostiky, liečby a zvládania myelómu, berúce za základné východisko kvalitu života pacienta
- Ak už je národný plán vytvorený, je potrebné ho presadzovať a vytvoriť efektívne pravidlá pre jeho aplikáciu, financovanie a hodnotenie
- Začleniť indikátory kvality života do dokumentov pre schvaľovanie uvedenia liekov na trh
- Preskúmať národné kritéria určovania cien a úhrady liekov na zriedkavé choroby a zabezpečiť, aby ich dostupnosť pre pacienta nebola limitovaná cenou
- Pracovať na implementácii odporúčaní EÚ o expertných centrách a európskych referenčných sieťach, najmä vo vzťahu k rakovinám krvi
- Pôsobiť na vytvorenie jednotných smerníc, jednotného prístupu k novým liečbam, jednotného systému úhrady nákladov a na vysoký štandard starostlivosti v Európe
- Vytvoriť alebo rozširovať registre pacientov s rakovinou a osobitne s myelómom, a získať tak okrem základných epidemiologických údajov aj dôkazy o tom, ako zdravie ovplyvňuje kvalitu života

Pre patientske organizácie

- Pracovať na zvýšení informovanosti o národných a európskych pravidlách a stratégiách a o možnej interakcii medzi odborníkmi a kompetentnými štátnymi orgánmi
- Monitorovať vytváranie európskych referenčných sietí a presadzovať úplné zohľadňovanie potrieb pacientov
- Monitorovať transpozíciu smernice EÚ o cezhraničnej zdravotnej starostlivosti členskými štátmi a presadzovať voľbu mechanizmu priamej platby oproti mechanizmu dodatočnej úhrady nákladov pacienta
- Presadzovať svoju účasť v národných orgánoch pripravujúcich zdravotnícku legislatívu, v komisiách spoluzodpovedných za schvaľovanie klinických štúdií, prijímanie rozhodnutí o úhrade nákladov za lieky a hodnotenie výkonu zdravotníctva
- Presadzovať jednotný štandard starostlivosti o pacienta (poskytujúci individuálne možnosti voľby), s rovnakými pravidlami úhrady nákladov v celej Európe
- Presadzovať urýchlenie procesu schvaľovania liekov, alebo prípadne širší prístup k liekom na báze podmieneného schválenia alebo schválenia za výnimočných okolností, t. j. pred úplným schválením uvedenia lieku na trh
- Presadzovať možnosť účasti na klinických štúdiách realizovaných v iných krajinách, umožňujúcu prístup k novým liekom alebo kombináciám v čase medzi pilotnými štúdiami a schválením uvedenia lieku na trh



6. Sila patientskej advokácie pri myelóme: ako na to

6. Sila patientskej advokácie pri myelóme: ako na to

Pacientske organizácie sú dnes známym a uznávaným partnerom pre všetky orgány a organizácie v oblasti zdravotnej starostlivosti. Disponujú potrebnými poznatkami a vôľou na prezentáciu pohľadu pacientov a vynútenie si pozornosti, a tým aj dosiahnutie potrebného zlepšenia. V Európe poznáme veľa príkladov ich vydarených akcií, no existuje aj mnoho príležitostí pre ešte väčšie úspechy. Dosiahnuť ich možno prostredníctvom pôsobenia na názorových lídrov v oblasti zdravotnej starostlivosti a politiky alebo prostredníctvom poskytovania informácií a pomoci pacientom a ich blízkym. Asi najväčšou výzvou pre pacientske organizácie je poskytovanie profesionálnych služieb dobrovoľníkmi s obmedzenými finančnými prostriedkami a udržanie svojej nezávislosti od ostatných subjektov zúčastnených na liečbe myelómu.

Najdôležitejšie informácie

- Presadzovanie záujmov pacientov (patientska advokácia) existuje na:
 - o Propagáciu najvyššieho štandardu v liečbe myelómu a starostlivosti o pacientov
 - o Zlepšovanie liečby a kvality života pacientov s myelómom
 - o Poskytovanie informácií a praktickej podpory pacientom a ich blízkym
 - o Zlepšovanie prístupu pacientov k výskumu a novým liekom
 - o Presadzovanie pohľadu a skúseností pacientov do tvorby pravidiel zdravotnej starostlivosti
- Pacientske organizácie závisia od pacientov, ich blízkych a iných podporovateľov ich aktivít a projektov
- Pacientske skupiny majú dôležitý a ďalekosiahly vplyv
- Prepojenia s profesnými lekáorskými organizáciami otvárajú cestu k poznatkom a zručnostiam profesionálov, a umožňujú účinnú interakciu medzi regulačnými orgánmi a platcami zdravotnej starostlivosti, politikmi a ďalšími záujmovými skupinami
- Zvyšovanie povedomia o myelóme medzi všeobecnými lekármi a ortopédmi vedie k rýchlejšiemu stanoveniu diagnózy a včasnému odoslaniu pacienta na špecializované pracovisko

Ciele patientskej advokácie

Cieľom obhajovania záujmov pacientov s myelómom je vo všetkých možných smeroch zlepšovať možnosti liečby a celkovú kvalitu života. Tento cieľ možno realizovať poskytovaním informácií a praktickej podpory pre pacientov, pôsobením na lepšie prepojenie výskumu a liečby, alebo zastupovaním pacientov a presadzovaním ich názorov a skúseností do tvorby pravidiel zdravotnej starostlivosti. V Európe takéto úsilie vyvíjajú národné a regionálne organizácie pacientov, ale aj jednotliví pacienti, zdravotníci a sponzori.

Myeloma Patients Europe (MPE) je organizáciou zastrešujúcou pacientske organizácie a individuálnych podporovateľov. Vznikla v r. 2011 po fúzii dvoch organizácií – European Myeloma Platform a Myeloma Euronet.

Ciele Myeloma Patients Europe

- Spolupráca na projektoch prospešných "myelómovej komunite"*****
- Výmena informácií a odporúčaní
- Rozvoj existujúcich patientskych organizácií a pomoc a podpora pre zakladanie nových skupín
- Pomoc s vytváraním vhodných zdravotníckych politík a iniciatív na európskej a národnej úrovni
- Zabezpečenie včasného prístupu k novej liečbe pre pacientov z celej Európy
- Stimulácia a podpora výskumu a klinických štúdií orientovaných na pacienta
- Vytváranie silnej argumentačnej bázy pre potreby a záujmy pacientov a pre podporu ich úlohy vo výskume
- Poskytovanie informačných a vzdelávacích programov pre patientske skupiny

Väčšinu práce v jednotlivých patientskych organizáciách robia dobrovoľníci, ich blízki alebo iní sympatizanti na dobrovoľnej báze. Môžu byť pritom obmedzovaní chorobou alebo svojimi ďalšími povinnosťami. Práve preto je také dôležité nadviazať spojenie s ďalšími organizáciami, a získať tak prístup k vedomostiam a zručnostiam zdravotníckych pracovníkov a ďalších odborníkov.

Umožní sa tým efektívna a profesionálna interakcia so všetkými mnohými skupinami a organizáciami, ktoré majú záujem a dosah na to, čo je naozaj ponúkané pacientom s myelómom – regulačné orgány a orgány zodpovedné za úhradu nákladov na liečbu, farmaceutický priemysel, médiá a prostredníctvom nich aj verejnosť.

Každá patientska organizácia by mala mať jasnú štruktúru, komunikáciu a kompetencie vytvorené tak, aby mohla efektívne pracovať. Presadzovanie záujmov pacientov a účasť v regulačných a etických komisiách si vyžadujú úplné pochopenie vedeckých a medicínskych aspektov problematiky a schopnosť účinným spôsobom obhajovať pohľad pacientov.

Čo už dosiahli organizácie pacientov s myelómom?

Dotazníkový výskum realizovaný v r. 2012 medzi zdravotníkmi a zástupcami farmaceutického priemyslu preukázal, že európske a národné patientske organizácie im sú dobre známe⁹⁵. Polovica zdravotníckych pracovníkov a 42% zástupcov farmaceutického priemyslu sa domnievalo, že ich vlastná špecializácia bola vládou daná do popredia v dôsledku kampaní patientskych organizácií. Tým istým výskumom bolo zistené, že tieto dve skupiny ľudí pravidelne používajú webové stránky, internetové fóra a stránky sociálnych sietí patientskych organizácií ako zdroj informácií⁹⁵.

V oblasti myelómu bolo jedným z najväčších úspechov patientskeho hnutia práca niekoľkých patientskych organizácií v Európe na spolupráci so združeniami zastupujúcimi obeť thalidomidu. V USA je thalidomid (Thalidomid®) distribuovaný za podmienok striktného plánu zvládania rizík a programu prevencie tehotenstva nazvaného STEPS. Podmienky programu STEPS však neboli vhodné pre podmienky EÚ a európskych pacientov s myelómom.

***** Napr. ako partner vo výskumných projektoch European Myeloma Network a projektoch EMA a združení obetí thalidomidu v oblasti plánov zvládania rizík a programov prevencie tehotenstva pre thalidomid, lenalidomid a čoskoro aj pomalidomid.

Spolupracujúce združenia podpísali spoločné stanovisko, vyjadrujúce súhlas všetkých zúčastnených na vytvorení efektívneho plánu zvládania rizík (PZR) a programu prevencie tehotenstva (PPT) pre použitie thalidomidu (európsky názov lieku je Thalidomide Celgene®) na liečbu myelómu v Európe, ktorý bude v kľúčových aspektoch odlišný od amerického programu STEPS96.⁹⁶.

V nasledujúcich rokoch prebehlo na pôde Európskej liekovej agentúry niekoľko stretnutí medzi pacientskymi organizáciami, združeniami zastupujúcimi obeť thalidomidu a orgánmi zodpovednými za reguláciu liekov, počas ktorých sa vytvoril základ európskych pravidiel PZR a PPT. Európska lieková agentúra si tieto pravidlá osvojila a schválila uvedenie liekov Revlimid® (2007) a Thalidomide Celene® (2008) na európsky trh. Odvtedy všetky členské štáty EÚ, kde sa tieto lieky predpisujú, dodržiavajú Európske pravidlá PZR a PPT⁶⁴.

Pacientske organizácie majú tiež dôležitý dosah na obsah a koncepciu klinických štúdií.

Organizácie pacientov s myelómom

Výsledky:

- Sú dobre známe, ich webové stránky, internetové fóra a stránky na sociálnych sieťach využívajú ako zdroj informácií mnohí odborníci
- Vyvinuli tlak na presadenie pravidiel PZR a PPT v Európe, ktoré umožnilo schválenie liekov Revlimid® a Thalidomide Celgene® pre európsky trh a viedlo v ostatných desiatich rokoch k predĺženiu celkového prežitia pacientov s myelómom
- Majú významný vplyv na obsah a koncepciu klinických štúdií

Výzvy:

- Ekonomické obmedzenia
- Nárast množstva práce
- Udržiavanie nezávislého postavenia voči sponzorom/sympatizantom
- Komplexné a efektívne služby poskytujú pacienti a dobrovoľníci s podporou zdravotníckych pracovníkov

Úspechy patientskych organizácií – niekoľko ďalších príkladov

Veľká Británia: Kampaň TAKE 2

Organizácia Myeloma UK vytvorila pre všeobecných lekárov jednoduchú pomôcku na diagnostikovanie myelómu nazvanú Myeloma Diagnosis Pathway. Je navrhnutá tak, aby minimalizovala oneskorenia v diagnostike myelómu tým, že zvyrazňuje jeho znaky a symptómy, ako aj vyšetrenia, ktoré by mal všeobecný lekár realizovať pri podozrení na myelóm. Pomôcka bola distribuovaná viac ako 7 000 praktickým lekárom v celej Veľkej Británii prostredníctvom pacientov, ich rodín a priateľov, ktorí mali zaniest' dve kópie svojmu praktickému lekárovi a požiadať dvoch priateľov nech urobia to isté. O tejto akcii bol vytvorený film sprístupnený na internete. Praktickí lekári mali potom poskytnúť spätnú väzbu, do akej miery bola pre nich pomôcka užitočná. Dr. Lynn Jones, všeobecná lekárka z Londýna hovorí: „Naozaj na mňa zapôsobilo, aká užitočná a informatívna je Myeloma Diagnosis Pathway. Teraz ju používam vo svojej praxi a vyzývam ostatných kolegov, aby to robili tiež.“ Myeloma UK teraz pracuje na včlenení Myeloma Diagnosis Pathway do existujúceho systému vzdelávania všeobecných lekárov a tréningových programov v celej Veľkej Británii.

Slovensko: Multimediálny vzdelávací program

Slovenská myelómová spoločnosť je združenie, ktorého cieľom je zvyšovať kvalitu života pacientov, pomôcť im necítiť sa osamotenými so svojimi problémami a spolupracovať s pacientami, ich rodinnými príslušníkmi a blízkymi osobami. Klub pacientov bol vytvorený so zámerom šíriť informácií o diagnóze, liečbe a starostlivosti o ľudí žijúcich s mnohopočetným myelómom a poskytovať pomoc ich rodinám. Jedným z hlavných projektov Klubu pacientov bolo vydanie multimediálneho CD s jednoduchým kurzom o myelóme a jeho liečbe pre pacientov, sestry a ďalšie osoby, ktorých sa táto diagnóza dotýka. CD vyšlo v r.2007 v slovenčine a v r. 2011 v angličtine. Kurz využíva farebné snímky a animácie na vysvetlenie informácií vizuálnym a zrozumiteľným spôsobom. CD bolo predstavené na lokálnych a národných stretnutiach pacientov na Slovensku a na stretnutiach patientskych organizácií na európskej úrovni a patientskych dňoch v Londýne, Viedni, Bruseli a Curychu.

Nemecko: Vytváranie nových patientskych podporných skupín

Sieť nemeckých regionálnych myelómových skupín APMM (Arbeitsgemeinschaft Plasmozytom, Multiples Myelom) podporuje vytváranie nových svojpomocných skupín vo všetkých regiónoch. Ponúka im aj pomoc s organizáciou a financovaním Dní pacientov. Tie sa vždy uskutočňujú v spolupráci s hematologickým oddelením miestnej Universitätsklinik. Vytváranie svojpomocných skupín je lekármi veľmi vítané, čím sa vytvára základ pre ich neskoršiu podporu. Webová stránka APMM je pravidelne aktualizovaná a obsahuje všetky najnovšie informácie o myelóme.

Španielsko: Mnohoraké projekty na pomoc pacientom

AEAL je španielska skupina pre pacientov s lymfómom, myelómom a leukémiou. Na žiadosť veľkého množstva pacientov s myelómom a ich blízkych hľadajúcich pomoc, vytvorila AEAL v máji 2012 podskupinu Mieloma España, ktorá zakrátko po svojom založení prevzala na seba projekty prebiehajúce v materskej organizácii. Od r. 2006 AEAL každoročne navštívi do desať španielskych miest, kde zvyšuje povedomie o myelóme. Zúčastňuje sa tiež na pravidelnom kongrese španielskych skupín pacientov s rakovinou v Madride. Od r. 2010 sa uskutočňujú internetové semináre, poskytujúce pacientom s myelómom bezplatný interaktívny prístup k prezentáciám hematológov, dostupným na

webových stránkach AEAL, GEPAC (Grupo Español de Pacientes con Cancer) a Myeloma España. AEAL okrem toho vyvinul internetový vzdelávací program nazvaný e-Cancer Campus, ponúkajúci kurz o myelóme pre pacientov a ich blízkych. AEAL poskytuje pacientom aj psychologickú a sociálnu podporu. V oblasti praktickej pomoci vyniká projekt AEAL Apoya, v rámci ktorého boli zabezpečené ortopedické postele pre pacientov s ťažkosťami s kosťami.

Výzvy, ktorým čelia patientske organizácie

Finančné zdroje

Najväčšou výzvou je udržanie adekvátnej úrovne financovania v čase ekonomických obmedzení; ponúkание služieb napriek obmedzeným darom a možnostiam získavania prostriedkov. Systémy zdravotnej starostlivosti sú v súčasnosti pod väčším tlakom ako kedykoľvek predtým. Pacienti na druhej strane majú oveľa väčšie vedomosti a chcú sa aktívne zapájať do vlastnej liečby. Čoraz viac sa preto obracajú na patientske združenia a dobrovoľnícke skupiny pre informácie a povzbudenie. Výsledkom je nárast pracovného zaťaženia patientskych organizácií pri obmedzenom alebo klesajúcom rozpočte.

Zachovanie nezávislosti

Farmaceutický priemysel poskytuje cennú podporu niektorým projektom patientskych organizácií, zástupcovia pacientov si však musia zachovať svoju nezávislosť a zabezpečiť úplnú transparentnosť svojich vzťahov s týmito sponzormi. Tento princíp je zakotvený aj v Kódexe pre vzťahy medzi farmaceutickým priemyslom a organizáciami prijatým Európskou federáciou farmaceutického priemyslu (EFPIA) v r. 2007 a aktualizovaným v r. 2011⁹⁸. Členovia EFPIA (národné asociácie farmaceutického priemyslu) museli do decembra 2011 implementovať tento Kódex do vlastných národných pravidiel.

Kódex EFPIA pre vzťahy s patientskymi organizáciami⁸¹

- Musí byť zaistená nezávislosť patientskych organizácií v oblasti ich politických postojov, programov a aktivít
- Vzťahy medzi patientskymi organizáciami a farmaceutickým priemyslom by mali byť založené na vzájomnom rešpekte rovnocenne hodnotných postojov a rozhodnutí oboch strán
- Farmaceutický priemysel nesmie požadovať, ani patientska organizácia nesmie vykonávať, propagáciu určitého lieku viazaného výlučne na predpis
- Ciele a rozsah všetkých vzájomných vzťahov musia byť transparentné. Finančná a iná ako finančná podpora poskytovaná farmaceutickým priemyslom má byť vždy jednoznačne odôvodnená
- Farmaceutický priemysel víta širokú škálu financovania patientskych organizácií z mnohých zdrojov

Profesionalita

Tretia výzva spočíva v potrebe profesionality. V mnohých patientskych organizáciách pracujú dobrovoľníci, ktorí sú často sami pacientmi, pričom úlohy, ktoré sú pred nich kladené sú veľmi náročné. Ich súčasťou býva aj nadväzovanie vzťahov a vyjednávanie s odborníkmi v oblasti medicíny, vyžadujúce vysoký stupeň znalostí a porozumenia veľmi komplexnému ochoreniu. Niektoré organizácie majú ťažkosti s nájdením jednotlivcov schopných dostať týmto požiadavkám. Majú potom dve možnosti- požiadať o pomoc profesionálne medicínske organizácie alebo vyškoliť svoj personál – čo je opäť náročné na financie.

Šírenie zmeny zo západu na východ

Hlavným cieľom patientskeho hnutia v Európe musí byť presadzovanie špičkovej starostlivosti o pacientov s myelómom vo všetkých jej oblastiach a regiónoch. Z tejto Správy sú zrejme mnohé odchýlky medzi najlepšou možnou starostlivosťou a starostlivosťou dostupnou v praxi, a to predovšetkým v novších východoeurópskych členských štátoch EÚ a vo vidieckych oblastiach, z ktorých musia pacienti cestovať za špecializovanou zdravotnou starostlivosťou.

Európska únia si kladie za cieľ zmierniť rozdiely medzi regiónmi. Táto snaha je súčasťou úsilia o zlepšovania ekonomických a sociálnych podmienok vo všetkých členských štátoch. Zdravie je dôležitou súčasťou tohto procesu; zdravšia populácia prispieva k udržateľnému ekonomickému rastu a kladie menšie nároky na systém zdravotnej starostlivosti⁹⁹.

EÚ sa tiež zaviazala, že v rokoch 2007-2013 vynaloží prostredníctvom Európskeho fondu regionálneho rozvoja viac ako 5 miliárd EUR na zlepšenie zdravotnej infraštruktúry. Spomedzi aktuálnych projektov súvisiacich s myelómom možno spomenúť temer 78 miliónov EUR poskytnutých na vybudovanie Centra preklinického výskumu a technológie (CePT) vo Varšave, ktorý sa bude sústreďovať na základný výskum, nové diagnostické metódy a nové terapeutické prístupy a skoro 67 miliónov EUR na skvalitnenie práce Severoestónskeho medicínskeho centra v Taline, poskytujúceho pokrokovú liečbu onkologickým pacientom a pacientom so srdcovo-cievnyimi ochoreniami^{100,101}.

Prínos patientskeho hnutia v Európskej únii

Na európskej úrovni je potrebné, aby organizácie pacientov s myelómom (ako aj pacientov s rakovinou a zriedkavými ochoreniami) boli v čulom styku s orgánmi Európskej komisie starajúcimi sa o zdravie a výskum; aby monitorovali smerovanie európskej politiky a presadzovali priority pacientov. Dôležité tiež je, aby udržiavali kontakty s relevantnými poslancami, skupinami a komisiami pôsobiacimi v Európskom parlamente, ktorí môžu prostredníctvom polozenia formálnych otázok Rade a Komisii a usporiadaním diskusných fór upriamiť pozornosť politikov a tvorcov stratégií a systémových riešení na otázky kritické pre pacientov s myelómom v Európe. Poslanci Európskeho parlamentu už prijali deklaráciu vyzývajúcu na zlepšenie koordinácie vo výskume rakoviny¹⁰².

Europoslanci zo všetkých politických strán, zaujímajúci sa o tento problém, sa v minulosti schádzali v rámci skupiny Poslanci proti rakovine. V súčasnosti participujú na iniciatíve Koalície európskych pacientov s rakovinou nazvanej Európske fórum proti rakovine (FACE). FACE vie o problémoch viažucim sa ku zriedkavým rakovinám, tie by však bolo dobré obohatiť o špecifické informácie o myelóme¹⁰³.

Čo môžu robiť zástupcovia pacientov?

- **Efektívna obhajoba záujmov.** Môže priniesť podstatné a ďalekosiahle výsledky. Ako vyplýva z vyššie uvedených príkladov, prispieva k prioritizácii myelómu v národných zdravotných programoch a podpore výskumných projektov.
- **Zabezpečiť odborníkov na obhajovanie záujmov pacientov,** schopných prezentovať potreby pacientov všetkým zúčastneným subjektom – zdravotníckym pracovníkom na miestnej úrovni, regionálnym a národným orgánom zodpovedným za úhradu nákladov na zdravotnú starostlivosť a tvorbu systémových pravidiel, odborníkom v etických a regulačných komisiách, výskumným pracovníkom, zástupcom farmaceutického priemyslu a médiám.
- **Rozpoznať a zapojiť tvorcov verejnej mienky,** ochotných prijať informácie od patientskych organizácií a schopných zlepšiť starostlivosť v oblasti myelómu.
- **Poskytovať informácie, školenia a sprostredkovať osobnú skúsenosť s myelómom.** Oblasti, ktoré sú zástupcovia pacientov schopní obsiahnuť, sa líšia v závislosti od okolností, kultúry a kritických problémov v tej ktorej krajine. Môže medzi ne patriť dostupnosť klinických štúdií, prístup ku špecialistom, úhrada nákladov na liečbu alebo iný z mnohých aspektov života s myelómom. Je zrejmé, že v niektorých krajinách sú vzťahy medzi pacientom a lekárom a pacientom a orgánom verejného zdravotníctva viac otvorené pre vstup zástupcu pacientov ako v iných.
- **Zabezpečovať vzdelávanie všetkých zástupcov pacientov.** Ide o kľúčový cieľ MPE, ktorá v súčasnosti ponúka národným patientskym organizáciám školenia v oblastiach vyžadujúcich si špecialistov. Nie všetci zástupcovia pacientov budú schopní predniesť najkomplexnejšie otázky, napr. ekonomické súvislosti zdravotnej starostlivosti, príslušným orgánom. Ideálom je vyškoliť a povzbudiť zástupcov pacientov tak, aby niektorí boli schopní presadzovať záujmy pacientov v oblasti klinických štúdií a výskumu, kým iní sa sústredia na regulačnú politiku a úhradu nákladov na liečbu, napr. budú presadzovať hodnotenie zdravotných techník, ďalší zas môžu v mene organizácie hovoriť o živote s myelómom.
- **Aktívna a štruktúrovaná spolupráca s lekáorskými organizáciami a vedeckými spoločnosťami.** Tieto organizácie môžu významne napomôcť zástupcom pacientov nadviazať spoluprácu s jednotlivcami, komisiami a riešiteľskými tímami, ktoré im môžu poskytnúť odbornú podporu a pomoc, napr. pri rokovaní s kompetentnými štátnymi orgánmi v oblasti regulácie a tvorby zdravotníckej politiky. Účasť na spoločných projektoch s profesionálnymi organizáciami povedie k zvýšeniu záujmu o postoje pacientov.
- **Podel'te sa s ostatnými organizáciami v oblasti myelómu.** Nie každá patientska organizácia má finančné a personálne zdroje na to, aby mohla robiť všetko, čo by si želala. Je však vždy možné sa o svoje zdroje podeliť, či už osobne alebo elektronickými prostriedkami. Niektoré z týchto organizácií disponujú veľkým množstvom komplexných informácií, ktoré by mohli byť dostupné aj pre ďalšie združenia. Rovnakým princípom sa možno riadiť, ak nejaká organizácia nevie získať členstvo v komisii: môže osloviť iného člena tejto komisie a snažiť sa presadiť svoje záujmy nepriamo, jeho prostredníctvom.

- **Zdieľajte informácie a rady.** Pacientska organizácia môže na zvyšovanie všeobecnej informovanosti alebo na presadzovanie konkrétneho cieľa využiť širokú škálu prostriedkov, či už priamych alebo prostredníctvom informovania kľúčových tvorcov verejnej mienky. Niektorí členovia MPE majú vytvorené výborne fungujúce stratégie, o ktoré sa môžu podeliť s inými členmi, rovnako môžu zdieľať aj informácie a rady. Využiť pritom možno:
 - Webové stránky s aktualitami, odbornými článkami, diskusnými fórami
 - Stránky sociálnych sietí
 - Špeciálne podujatia, napr. diskusie za okrúhlym stolom s odborníkmi a vybranými médiami
 - Spoločenské stretnutia miestneho významu s prítomnosťou médií
 - Príspevky na medicínskych konferenciách a konferenciách venovaných sociálnej starostlivosti, napr. prezentácie, poster
 - Publikácie – články v novinách a časopisoch
- **Vytvorte nové alebo pracujte s existujúcimi informačnými programami pre zdravotníckych pracovníkov.** Pre pacientske organizácie ide o mimoriadne cenný zdroj poznatkov najmä v oblasti diagnostiky, novej liečby a psychologickej podpory. Programy môžu mať podobu skupinových tréningov alebo individuálnych zdrojov na internete, ako ponúka napr. vo Veľkej Británii Myeloma Academy⁺⁺⁺⁺⁺. V súčasnosti sú tieto zdroje šité na mieru hematológom a sestram, čoskoro by mali pokryť aj potreby všeobecných lekárov a ďalších zdravotníckych pracovníkov. Sú najlepším praktickým sprievodcom, ponúkajú databázu vyvíjaných liekov, obsahujú vyhľadávač klinických štúdií, detailné štandardy liečby a najdôležitejšie publikácie.
- **Získavanie finančných prostriedkov.** Práca pacientskych organizácií ako dobrovoľníckych organizácií odhodlaných zlepšovať život ľudí s myelómom, závisí od úsilia dobrovoľníkov a finančnej podpory verejnosti. Pacientske organizácie sa rovnako ako na priame získavanie finančných prostriedkov majú sústrediť na zvyšovanie povedomia o finančnej náročnosti svojich aktivít a projektov, a na nadväzovanie kontaktov s vplyvnými organizáciami a štátnymi orgánmi.

⁺⁺⁺⁺⁺ <http://www.myeloma-academy.org.uk/>

Odporúčania: obhajoba záujmov pacientov

Pre národné pacientske organizácie

- Rozpoznať, kontaktovať a informovať kľúčových tvorcov verejnej mienky, ktorí majú možnosť ovplyvniť služby pre pacientov s myelómom. Takéto osoby sú medzi všetkými subjektami účastnými na liečbe myelómu: zdravotníckymi pracovníkmi na miestnej úrovni, regionálnymi a národnými orgánmi zodpovednými za úhradu nákladov na zdravotnú starostlivosť a tvorbu systémových pravidiel, odborníkmi v etických a regulačných komisiách, výskumnými pracovníkmi, zástupcami farmaceutického priemyslu a médiami
- Aktívne a systematicky spolupracovať s profesionálnymi lekáorskými organizáciami a vedeckými spoločnosťami a získať ich expertné rady a podporu pri jednaní s kompetentnými štátnymi orgánmi
- Rozvíjať vedomosti a schopnosti členov pacientskych organizácií, využívať pritom informačné zdroje od ostatných národných organizácií a príležitosti na školenia v oblasti efektívneho presadzovania záujmov a obchodného manažmentu
- Podporovať a školiť jednotlivých pacientov, ktorí majú predpoklady stať sa expertnými zástupcami záujmov pacientov
- Vyhľadávať príležitosti pre účasť zástupcov pacientov v kľúčových regulačných a etických komisiách a v orgánoch zodpovedných za prípravu klinických štúdií
- Vyhľadávať príležitosti na zvyšovanie informovanosti o myelóme medzi zdravotníckymi pracovníkmi a verejnosťou, napr. prostredníctvom informačných workshopov
- Rozvíjať informačné a komunikačné zdroje iných národných organizácií a zdieľať s nimi myšlienky, ktoré bude možné aplikovať v praxi

Pre Myeloma Patients Europe

- Vzdelávať pracovníkov pacientskych organizácií o presadzovaní záujmov pacientov v expertných otázkach
- Vytvoriť celoeurópsku databázu informačných zdrojov a úspešných iniciatív v oblasti pacientskej advokácie a sprístupniť ju pacientskym organizáciám
- Predstavovať školiace programy projektu Myeloma Academy zdravotníckym pracovníkom v ostatných európskych krajinách
- Pokračovať v interakcii a spolupráci s relevantnými inštitúciami EÚ – s riaditeľstvom Komisie pre otázky zdravotníctva a ochrany spotrebiteľa, Pracovnou skupinou zdravotníctva v rámci Komisie životného prostredia, verejného zdravotníctva a bezpečnosti jedla Európskeho parlamentu a s jednotlivými poslancami Európskeho parlamentu.



7. Na ceste k dokonalej starostlivosti – prípadové štúdie

Na ceste k dokonalej starostlivosti – prípadové štúdie

Nemecko: Informovanosť o klinických štúdiách

Na Universitätsklinikum Heidelberg prebieha v spolupráci s regionálnou patientskou organizáciou projekt Lekár a pacient - ruku v ruke. V praxi to vyzerá tak že vedúci svojpomocnej skupiny príde na zavolanie zdravotníckeho personálu, spravidla lekára, za pacientom kedykoľvek a kamkoľvek je to potrebné. Vďaka tomu vedúci skupiny sprevádza pacienta krok za krokom, vysvetľuje mu/jej čo sa presne deje. Pre pacienta je tak jednoduchšie prijať liečbu a nevyhnutné procedúry, a povzbudzuje ho to participovať na ponúknutých klinických štúdiách.

Holandsko: Zistiť, čo pacient naozaj potrebuje

Holandské združenie pre myelóm a Waldenstromovu chorobu CMWP poskytuje informácie pacientom a ich opatrovateľom aj prostredníctvom pravidelne aktualizovanej príručky pre pacienta, podporných skupín, aktuálnych informácií a kontaktných osôb. Na pravidelných stretnutiach CMWP prednášajúci prezentujú najnovšie pokroky v liečbe, ako aj emočné aspekty súvisiace s myelómom.

V spolupráci s výskumníkmi Maastrichtskej univerzity sa v súčasnosti pripravuje dotazník pre členov CMWP, na ktorý budú nadväzovať ciele skupinové diskusie. Cieľom je zistiť, aké aspekty považujú holandskí pacienti za najdôležitejšie v budúcom výskume, a ktoré oblasti je potrebné zlepšiť. Zistenia budú analyzované spolu s odpoveďami z dotazníkov. Výsledkom má byť zoznam priorít, využiteľný v budúcich klinických, vzdelávacích alebo informačných iniciatívach združenia, no predovšetkým vo výskume.

Veľká Británia: Myeloma Academy™ a Myeloma Nurse Programme™

Myeloma Academy je internetový zdroj informácií vytvorený tak, aby zodpovedal potrebám zdravotníckych pracovníkov podieľajúcich sa na liečbe a starostlivosti o pacientov s myelómom. Obsahuje vzdelávacie materiály pre lekárov a sestry v nemocniciach, súčasťou ktorých sú odporúčania, schémy, návody a popisy zložitých prípadov. Myeloma Academy v súčasnosti navštevuje viac ako 300 zdravotníckych pracovníkov z celej Veľkej Británie, sestier, všeobecných hematológov a klinických hematológov.

Jedným z materiálov dostupných v rámci Akadémie sú Odporúčania pre sestru, ktorých cieľom je zvýšiť jej vedomosti, poučiť ju o ošetrovateľskej starostlivosti a povzbudiť ju poskytovať pacientom s myelómom a ich rodinám najvyšší štandard starostlivosti. Odporúčania boli nedávno akreditované vysokou školou ošetrovateľstva Royal College of Nursing. Program pre myelómové sestry Myeloma Nurse Programme realizovaný v rámci britských centier pre liečbu myelómu, obsahuje informácie o úlohe sestry, vzdelávaní, zavádzaní odporúčaní a vytváraní lokálnych služieb pre pacienta. Ďalšie informácie sú dostupné na <http://www.myeloma-academy.org.uk/>

PodĎakovanie

Publikačná skupina MPE:

Dr Faith Davies, akademička na Institute of Cancer Research (ICR), Londýn
hematologička v nemocnici The Royal Marsden, Londýn

Greetje Goossens, Myeloma Patients Europe

Peter Lens, Myeloma Patients Europe

Professor Heinz Ludwig, Prednosta Oddelenia medicínskej onkológie a riaditeľ Referenčného centra myelómu v nemocnici Wilhelminen, Viedeň Rakúsko

Ananda Plate, Myeloma Patients Europe

Lia Van Ginneken-Noordman, (Contactgroep Myeloom en Waldenström Patiënten (CMWP))

a

Za hodnotný prínos:

Wioletta Niznik (Weber Shandwick)

Jude Leitch (Myeloma UK)

Za ich príbehy života s myelómom:

Johan Creemers, Belgicko

Judy Dewinter, Veľká Británia

Greetje Goossens, Belgicko

Christa Kolbe-Geipert, Nemecko

Mika Peltovaara, Fínsko

Stewart McRobert, Veľká Británia

Za príklad a obrovské úsile:

Alfonso Aguaron, Španielsko

Miroslav Hrianka, Slovensko

Christa Kolbe-Geipert, Nemecko

Kate Morgan, Veľká Británia

Lia Van Ginneken-Noordman, Holandsko

Dr Tiny Van Merode, Holandsko

Autor Správy:

Dr Vivienne Kendall, Veľká Británia

Do slovenčiny preložila Katarina Fedorová

Sponzori

Sme veľmi vďační za štedrú podporu týchto organizácií:

Anonymous



C P M W

Janssen

MyelomaUK

NOVARTIS

O MPE

Čo je Myeloma Patients Europe?

Myeloma Patients Europe (MPE) je organizácia zastrešujúca organizácie a združenia pacientov s mnohopočetným myelómom z celej Európy. MPE bola vytvorená v r. 2011 ako výsledok fúzie medzi organizáciami European Myeloma Platform a Myeloma Euronet.

MPE je registrovaná ako nezisková organizácia zriadená podľa belgického práva so sídlom v Bruseli.

Pri napĺňaní svojich cieľov pracuje MPE priamo s zdravotníckymi pracovníkmi, orgánmi zodpovednými za rozhodnutia o úhrade nákladov na liečbu a reguláciu, politikmi, farmaceutickými spoločnosťami, médiami a ďalšími subjektami "myelómovej komunity".

Čo MPE robí?

MPE má množstvo obsiahlych cieľov, medzi ktoré patrí:

- Spolupráca na projektoch prospešných "myelómovej komunitě"
- Výmena informácií a odporúčaní
- Rozvoj existujúcich patientskych organizácií a pomoc a podpora pri zakladaní nových skupín
- Pomoc s vytváraním vhodných zdravotníckych politík a iniciatív na európskej a národnej úrovni
- Zabezpečenie včasného prístupu k novej liečbe pre pacientov z celej Európy
- Stimulácia a podpora výskumu a klinických štúdií orientovaných na pacienta
- Vytváranie silnej argumentačnej bázy pre potreby a záujmy pacientov a pre podporu ich úlohe vo výskume
- Poskytovanie informačných, vzdelávacích programov pre patientske skupiny

Aká je štruktúra MPE a kto do nej patrí?

MPE pôsobí ako organizácia zastrešujúca existujúce lokálne a národné myelómové združenia a jej členovia pochádzajú z temer 30 rozličných krajín.

Má dva typy členov:

Riadni členovia akými sú patientske skupiny a združenia z európskych krajín.

Pridružení členovia akými sú jednotliví pacienti alebo zdravotnícky pracovníci, ako aj obchodné spoločnosti želajúce si darovať finančné prostriedky alebo pomôcť iným spôsobom.

Za určovanie stratégie a zabezpečovanie jej realizácie a financovania MPE zodpovedá Správna rada MPE. Skladá sa z odborníkov rôznych profesií, minimálne 50% členov je z radov pacientov a ich blízkych.

Členovia Správnej rady MPE sú dobrovoľníci. V MPE pôsobí ešte personál bruselskej centrály a expertná Medicínska poradná komisia.

Ak sa chcete stať členom MPE, vyplňte prosím prihlášku dostupnú na www.myelomapatientseurope.org alebo kontaktujte MPE so žiadosťou o prihlášku na adrese info@myelomapatientseurope.org.

Odkazy

- 1 Orphanet. Prevalence of rare diseases: Bibliographic data. Orphanet Report Series, Rare diseases collection. May 2012, No.1
- 2 Rajkumar SV. Plasma cell leukemia. Wolters Kluwer Health Up to date 2012. <http://www.uptodate.com/contents/plasma-cell-leukemia>
- 3 Cancer Research UK / Leukaemia & Lymphoma Research. CancerStats Myeloma-UK. 2012 <http://publications.cancerresearchuk.org/publicationformat/formatstats/statsmyeloma.html>
- 4 Kelly M, Dowling M. Patients' lived experience of myeloma. *Nursing Standard* 2011; 25 (28); 38-44
- 5 Molassiotis A et al. Unmet supportive care needs, psychological well-being and quality of life in patients living with multiple myeloma and their partners. *Psycho-Oncology* 2011; 20: 88-97
- 6 Kyle RA. Review of 1027 patients with newly diagnosed multiple myeloma. *Mayo Clin Proc.* 2003;78:21-33
- 7 Myeloma UK 2012. <http://www.myeloma.org.uk/intro-to-myeloma/#>
- 8 Multiple Myeloma Research Foundation 2012. <http://www.themmr.org/living-with-multiple-myeloma/newly-diagnosed-patients/whatis-multiple-myeloma/>
- 9 Ferlay J, Shin HR, Bray F et al. GLOBOCAN 2008 v1.2, Cancer Incidence and Mortality Worldwide: IARC CancerBase No. 10 [Internet]. Lyon, France: International Agency for Research on Cancer; 2010. Available from: <http://globocan.iarc.fr>, accessed on 8.7.2012
- 10 United Nations. World Population Prospects: The 2008 Revision. http://www.un.org/esa/population/publications/wpp2008/wpp2008_highlights.pdf
- 11 Ludwig H et al. Current Multiple Myeloma Treatment Strategies with Novel Agents: A European Perspective. *The Oncologist* 2010;15:6-25
- 12 Myeloma UK. Radiotherapy Info Sheet 2011 <http://www.myeloma.org.uk/patient-services/myeloma-ukpublications/infosheets/radiotherapy>
- 13 Bird JM et al. on behalf of the Haemato-oncology Task Force of the British Committee for Standards in Haematology (BCSH) and UK Myeloma Forum. Guidelines for the diagnosis and management of multiple myeloma 2011. *British Journal of Haematology* 2011; 154: 32-75
- 14 Snowden JA et al. on behalf of the Haemato-oncology Task Force of the British Committee for Standards in Haematology and UK Myeloma Forum. Guidelines for supportive care in multiple myeloma 2011. *British Journal of Haematology* 2011; 154: 76-103
- 15 Bird JM et al. on behalf of the Haemato-oncology Task Force of the British Committee for Standards in Haematology, UK Myeloma Forum and Nordic Myeloma Study Group (2009). Guidelines for the investigation of newly detected M-proteins and the management of monoclonal gammopathy of undetermined significance (MGUS). *British Journal of Haematology* 2009; 147: 22-42.
- 16 British Committee for Standards in Haematology. Guideline for the use of imaging in the management of myeloma. 2006
- 17 Italian Society of Hematology; Italian Society of Experimental Hematology; Italian Group for Bone Marrow Transplantation. Management of myeloma and related disorders. 2004
- 18 National Comprehensive Cancer Network (NCCN). NCCN clinical practice guidelines in oncology: multiple myeloma. 2012
- 19 American Society of Clinical Oncology (ASCO). Clinical practice guideline update on the role of bisphosphonates in multiple myeloma. 2007
- 20 American College of Radiology. Practice guideline for the performance of total body irradiation. 2006.
- 21 International Myeloma Working Group Guidelines. <http://myeloma.org/>
- 22 Harousseau JL, Dreyling M on behalf of the ESMO Guidelines Working Group. Multiple myeloma: ESMO Clinical Practice Guidelines for diagnosis, treatment and follow-up. *Annals of Oncology* 2010; 21 (S5): v155-v157, 2010 doi:10.1093/annonc/mdq178

- 23 National Institute for Health and Clinical Excellence. Clinical guidelines
<http://www.nice.org.uk/guidance/cg/index.jsp>
- 24 Bond C. Role of clinical guidelines in delivering clinically effective efficient care. *Eur J Hosp Pharm* 2012;19:411-412 doi:10.1136/ejhpharm-2012-000154
- 25 Weisz G, Cambrosio A et al. The emergence of clinical practice guidelines. *The Milbank Quarterly* 2007; 85(4):691–727
- 26 Cook R. Economic and clinical impact of multiple myeloma to managed care. *Supplement to Journal of Managed Care Pharmacy* September 2008; 14(7): S19-S25
- 27 Feder Ostrov B. The money factor of multiple myeloma .*Everyday health* 2012.
<http://www.everydayhealth.com/multiplemyeloma/paying-for-multiple-myeloma-treatment.aspx>
- 28 Husson O et al. Illness perceptions in cancer survivors: what is the role of information provision? *Psycho-Oncology* 2012. doi: 10.1002/pon.3042
- 29 Maher K, De Vries K. An exploration of the lived experiences of individuals with relapsed multiple myeloma. *European Journal of Cancer Care* 2011; 20: 267–275
- 30 Smith P, Cox C. A family's experience of coping with multiple myeloma. *End of life care* 2007; 1(1):49-55
- 31 Johnsen AT et al. Health related quality of life in a nationally representative sample of haematological patients(1). *Eur J Haematol* 2009; 83:139-148.
- 32 Cancer Research UK. Myeloma – Survival statistics. 2012.
<http://info.cancerresearchuk.org/cancerstats/types/myeloma/survival/multiple-myeloma-survival-statistics>
- 33 Wang L. Socioeconomic standing may affect survival for Swedish myeloma patients. *Myeloma Beacon* May 10, 2009; referring to Kristinsson et al. Socioeconomic differences in patient survival are increasing risk for acute myeloid leukaemia and multiple myeloma in Sweden. *J Clin Oncology* 2009; 27(12): 2073-2080
- 34 McBride D et al. Explaining variation in referral from primary to secondary care: cohort study. *BMJ* 2010;341:c6267 doi:10.1136/bmj.c6267
- 35 Dibben MR, Lean MEJ. Achieving compliance in chronic illness management: illustrations of trust relationships between physicians and nutrition clinic patients. *Health Risk & Society* (2003) 5: 241 – 258; quoted by Alaszewski A, Horlick-Jones T. Can doctors communicate information about risk more effectively? *BMJ* 2003; 327 (7417): 728-731
- 36 Thomsen TG et al. Prioritising, downplaying and self-preservation: Processes significant to coping in advanced cancer patients. *Open Journal of Nursing* 2012; 2: 48-57
- 37 Husson O et al. Illness perceptions in cancer survivors: what is the role of information provision? *Psycho-Oncology* 2012. doi: 10.1002/pon.3042
- 38 Myeloma Academy 2012. <http://www.myeloma-academy.org.uk/MPE> Patients Perspectives in Myeloma 70
- 39 Henkel V et al. Identifying depression in primary care: a comparison of different methods in a prospective cohort study. *BMJ* 2003;326:200.1
- 40 National Institute for Health and Clinical Excellence. Guidance on cancer services. Improving supportive and palliative care for adults with cancer - The Manual 2004.
<http://www.nice.org.uk/nicemedia/live/10893/28816/28816.pdf>
- 41 Ahmed N et al. The use of cognitive interviewing methodology in the design and testing of a screening tool for supportive and palliative care needs. *Supportive Care in Cancer* 2009; 17: 665-673
- 42 Ransom S et al. Validation of the distress thermometer with bone marrow transplant patients. *Psychooncology* 2006; 15: 604-612.
- 43 Ganim L. Birds in spring: Quality of life and myeloma – Have we all seen better days? *Myeloma Beacon* 17 July 2012 <http://www.myelomabeacon.com/news/2011/11/28/genetic-difference-linked-to-increased-risk-of-multiple-myeloma/>
- 44 Morgan GJ, Walker BS, Davies FE. The genetic architecture of multiple myeloma. *Nature Reviews Cancer* 2012; 12: 335-348

- 45 Russell SJ, Rajkumar SV. Multiple myeloma and the road to personalised medicine. *The Lancet Oncology* 2011; 12(7): 617-619
- 46 American Cancer Society. How is multiple myeloma diagnosed? 2012
<http://www.cancer.org/Cancer/MultipleMyeloma/DetailedGuide/multiple-myeloma-diagnosis>
- 47 Cancer Research UK. Myeloma research 2012.
<http://cancerhelp.cancerresearchuk.org/type/myeloma/treatment/whats-new-inmyeloma-research>
- 48 Community Research and Development Information Service (CORDIS). Searched for myeloma projects, documents, web pages, news on 1.8.2012
- 49 European Medicines Agency. EudraCT Public Web Report for December 2011.
https://eudract.ema.europa.eu/docs/statistics/EudraCT_Statistics_December_2011.pdf#zoom=100,0,0
- 50 MEPs against cancer (MAC). European Parliament votes for strategic approach to cancer control and creation of EU cancer task force. Press release 10 April 2008.
- 51 Directive 2001/20/EC of the European Parliament and of the Council of 4 April 2001 on the approximation of the laws, regulations and administrative provisions of the Member States relating to the implementation of good clinical practice in the conduct of clinical trials on medicinal products for human use. OJ L 121, 1.5.2001, p. 34
- 52 Commission of the European Communities. Assessment of the functioning of the Clinical trials directive, 2001/20/EC. Public consultation paper ENTR/F/2/SF D(2009) 32674, Brussels, 9.10.2009
- 53 Commission of the European Communities. Proposal for a Regulation of the European Parliament and of the Council on clinical trials on medicinal products for human use, and repealing Directive 2001/20/EC. COM(2012) 369 final, Brussels, 17.7.2012
- 54 Commission of the European Communities. Communication on Action against cancer: European Partnership. COM(2009)291, 24.6.2009
- 55 Commission of the European Communities. Research & Innovation – Health – Clinical trials. 2012.
http://ec.europa.eu/research/health/medical-research/clinical-trials/index_en.html and
http://ec.europa.eu/research/health/medicalresearch/clinical-trials/projects_en.html
- 56 Innovative Medicines Initiative (IMI). Strategic Research Agenda 2011.
<http://www.imi.europa.eu/sites/default/files/uploads/documents/SRArevised2011.pdf>
- 57 Innovative Medicines Initiative (IMI). Annual implementation plan 2012.
<http://www.imi.europa.eu/sites/default/files/uploads/documents/Governance/AIP2012WebVersion.pdf>
- 58 Chang H. Drug-induced peripheral neuropathy in multiple myeloma patients – Part 1: What is it and who is at risk? *Myeloma Beacon* 26.3.12
- 59 European Medicines Agency. Proactive publication of clinical trial data – discussing the way forward. 9 August 2012. http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/news_and_events/news/2012/08/news_detail_001588.jsp&mid=WC0b01ac058004d5c1
- 60 Multiple Myeloma Research Foundation. Research programs – Results.
<http://www.themmr.org/research-programs/results/>
- 61 Multiple Myeloma Research Foundation. Study focused on advancing personalized medicine approaches for patients battling multiple myeloma. Press release 13 June 2012
- 62 Eurordis (Rare Diseases Europe). Patient advocates involvement 2012.
<http://www.eurordis.org/content/patient-advocates-involvement>
- 63 European Myeloma Platform. Final report, European Symposium Myeloma Waldenström 2008.
<http://www.empmyeloma.eu/Portals/1/Symposium/Final%20report%20Symposium.pdf>
- 64 Health Equality Europe. Understanding health technology assessment (HTA). July 2008.
<http://img.eurordis.org/newsletter/pdf/nov-2010/58-1%20HEE%20Guide%20To%20HTA%20for%20Patients%20English.pdf>
- 65 Council of the European Union. Treaty on the functioning of the European Union (Treaty of Lisbon) 2007, Article 168. OJ C 83, 30.3.2010, 122-124.
<http://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:C:2010:083:0047:0200:EN:PDF>

- 66 Commission of the European Communities. Together for Health: A Strategic Approach for the EU 2008-2013. COM(2007) 630 of 23.10.2007.
<http://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=COM:2007:0630:FIN:EN:PDF>
- 67 Commission of the European Communities. Communication on Rare diseases: Europe's challenges. COM(2008) 679 of 11.11.2008, http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/rare_com_en.pdf
- 68 Council of the European Union. Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products. OJ L 18, 22.1.2000
- 69 Aymé S, Rodwell C, eds. 2012 Report on the State of the Art of Rare Disease Activities in Europe of the European Union Committee of Experts on Rare Diseases, July 2012. Part 1- Overview.
- 70 Council of the European Union. Council Recommendation of 8 June 2009 on an action in the field of rare diseases. OJ L 151 of 3.7.2009, 7-10
- 71 European Parliament. Resolution on the European Commission Communication on Action against Cancer: European Partnership. OJ C 81 E 6.5.2010, 95-106
- 72 European Union Committee of Experts on Rare Diseases. Quality criteria for centres of expertise for rare diseases in member states. October 2011.
<http://nestor.orpha.net/EUCERD/upload/file/EUCERDRecommendationCE.pdf>
- 73 European Parliament. Resolution on combating cancer in the enlarged European Union. 10.4.2008.
<http://www.europarl.europa.eu/sides/getDoc.do?type=TA&reference=P6-TA-2008-0121&language=EN>
- 74 Council of the European Union. Directive 2011/24/EU of the European Parliament and of the Council of 9 March 2011 on the application of patients' rights in cross-border healthcare. OJ L 88, 4.4.2011, 45–65
- 75 European Union Committee of Experts on Rare Diseases. Preliminary analysis of the outcomes and experiences of pilot European Reference Networks for rare diseases. May 2011.
<http://www.eucerd.eu/upload/file/Reports/ERN2011Analysis.pdf>
- 76 European Partnership for Action Against Cancer (EPAAC) 2012. <http://www.epaac.eu/national-cancer-plans>
- 77 Atun R, Ogawa T, Martin-Moreno, JM. Analysis of national cancer control programmes in Europe. Imperial College Business School, London 2009
- 78 Rare Diseases Europe (EURORDIS). CAVOD: Advocating to improve orphan drug access. 2009.
<http://www.eurordis.org/content/cavodadvocating-improve-orphan-drug-access>
- 79 Eurordis (Rare Diseases Europe). Access to orphan drugs.
<http://www.eurordis.org/content/access-orphan-drugs>
- 80 European Union Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD). Recommendation to the European Commission and the Member States on improving informed decisions based on the clinical added value of orphan medicinal products (CAVOMP) information flow. September 2012
- 81 McCabe C et al. Market and patient access to new oncology products in Europe: a current, multidisciplinary perspective. *Annals of Oncology* 20: 403–412, 2009
- 82 Pignatti F. The approval process of new drugs in the EU – EMEA Guidelines. 2008.
<http://www.esmo.org/fileadmin/media/presentations/977/1943/Pignatti%20EMEA%20approvals%20ESMO%203%20pres.ppt.pdf>
- 83 Pignatti F. EMEA current thinking on conditional marketing authorization. 2005
- 84 Commission of the European Communities. Proposal for a directive of the European Parliament and of the Council relating to the transparency of measures regulating the prices of medicinal products for human use and their inclusion in the scope of public health insurance systems. COM(2012)84 of 1.3.2012
- 85 Ludwig H et al. IMWG consensus on maintenance therapy in multiple myeloma. *Blood* 2012; 119(13): 3003-3015
- 86 Ludwig H et al. European Perspective on multiple myeloma treatment strategies: Update following recent congresses. *The Oncologist* 2012; 17:592–606

- 87 Orphanet portal for rare diseases and orphan drugs. Search:registries; multiple myeloma; all countries. 27.7.2012.http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/ResearchTrials_RegistriesMaterials_Simple.php?Ing=EN
- 88 Dalli J, European Commissioner for Health and Consumer Policy. Rare diseases and orphan products. Speech to the 6th European Conference on Rare Diseases and Orphan Products, Brussels 24 May 2012. <http://rare-diseases.excellence-inpaediatrics.org/content/story/12/story-03>
- 89 Council of the European Union. Regulation (EC) No 883/2004 of the European Parliament and of the Council of 29 April 2004 on the coordination of social security systems. OJ L 166, 30.4.2004
- 90 Baeten R, Jelfs E. Simulation on the EU cross-border care directive. Eurohealth incorporating Euro Observer 2012; 18(3):18-20
- 91 Commission of the European Communities. Patients' rights in cross-border healthcare. MEMO/11/32 of 19 January 2011
- 92 Department of Health [UK]. Improving outcomes: A strategy for cancer. January 2011. http://www.dh.gov.uk/prod_consum_dh/groups/dh_digitalassets/documents/digitalasset/dh_123394.pdf
- 93 European Myeloma Platform. No policy without patients. European Symposium Maastricht, The Netherlands 30-31 Oct 2008
- 94 PatientView. Benchmarking the impact of the patient movement. UK 2012. <http://patientview.posterous.com/benchmarking-the-impact-of-the-patient-moveme-86216#more>
- 95 Eurordis (Rare Diseases Europe). Victims' and patients' organisations' position paper on the risk management programme in the scope of a marketing authorisation for thalidomide to treat multiple myeloma. April 2004
- 96 Kumar SK et al. Improved survival in multiple myeloma and the impact of novel therapies. BLOOD 2008; 111 (5, 2516-2520)
- 97 European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations. EFPIA Code of Practice on relationships between the pharmaceutical industry and patient organisations. 14 June 2011
- 98 Commission of the European Communities. Regional policy – Inforegio. 2012. http://ec.europa.eu/regional_policy/activity/health/index_en.cfm
- 99 Commission of the European Communities. Regional policy – Inforegio. 2012. A biomedical research centre for Central Europe. http://ec.europa.eu/regional_policy/projects/stories/details_new.cfm?pay=PL&the=86&sto=2312&lan=7®ion=ALL&obj=ALL&per=2&defL=EN
- 100 Commission of the European Communities. Regional policy – Inforegio. 2012. Medical facelift for Tallinn. http://ec.europa.eu/regional_policy/projects/stories/details_new.cfm?pay=EE&the=86&sto=2287&lan=7®ion=ALL&obj=ALL&per=2&defL=EN
- 101 European Parliament. Declaration of 3 February 2011 on the need for increased coordination of cancer research in the European Union. 3 February 2011. <http://www.europarl.europa.eu/sides/getDoc.do?type=TA&reference=P7-TA-2011-0042&language=EN>
- 102 Forum Against Cancer Europe (FACE). Rare cancers. <http://www.forumagainstcancer.eu/focus-areas/19-052010-rare-cancers>



www.myelomapatientseurope.org