

# POROČILO MPE MADRID 3.5.2024-5.5.2024

PRIPRAVILA: MARISA BAN

## PREDAVANJE DR. ALBERT ORIOL IZ KATALONSKEGA RAZISKOVALNEGA CENTRA ZA ONKOLOGIJO

### **Plazmocitom: novosti**

Dr, Oriol je povedal, da trenutno testirajo dve novi kombinaciji zdravljenja. Persus in Imroz. Prvi se izvaja v kombinaciji s presaditvijo, drugi pa bo tudi za paciente, ki niso primerni za presaditev. Glavni cilj raziskav trenutno je, da razvijejo zdravilo, ki bi preprečilo ponovitev plazmocitoma, vendar žal raziskovalci še niso blizu. Pojavilo pa se je vprašanje kaj je na splošno glavni cilj zdravljenja. Dr, Oriol pravi, da je to MRD negativnost. Trenutno v Evropi je odobren Perseus program zdravljenja ( Daratumumab + bartezumib + thelidomile + dexametasone), vendar si raziskovalci resnično željo, da bi odobrili tudi druge oblike zdravljenja, saj raziskave kažejo, da so bolj učinkovite za mlade paciente.

Raziskave prav tako kažejo, da so pri zmanjševanju negativnih MRD celic najboljša zdravljenja tista, ki vsebujejo 4 različna zdravila. Če primerjamo so kar dvakrat bolj učinkovita od tistih, ki vsebujejo 3 različna zdravila.

Pri bolnikih, ki niso primerni za transplantacijo, so trenutno odobrene 3 kombinacije zdravljenja, vendar zgolj s tremi zdravili. Nova vzpodbudna informacija je, da naj bi bila še letos potrjena nova oblika zdravljenja za bolnike prešibke za transplantacijo. Nova oblika zdravljenja bo vsebovala 4 različna zdravila.

Ravno tako se je izvedla raziskava o tem, kdaj lahko bolniki prekinejo zdravljenje. Te kažejo, da se lahko zdravljenje prekine po 2 letih stalnega negativnega MRD stanja.

### ***Kaj pa za bolniki, ki se jim je bolezen ponovila?***

Pomembno je, da se za ponovno zdravljenje uporabljajo drugačna zdravila kot za prvo zdravljenje, vendar morajo biti enako močna ali bolj močna kot prva terapija. Novost pa je zdravilo Belantamab, ki je trenutno v raziskavah in kaže izjemne rezultate za bolnike, ki se jim je bolezen ponovila, še posebej v kombinacijah z drugimi zdravili, lahko pa se ga uporablja tudi kot monoterapijo. Neželeni učinki, ki so jih do sedaj opazili so vključevali spremembe na površini očesa, zamegljen vid, nižje ravni trombocitov v krvi in anemijo. Spremembe na površini očesa (včasih brez simptomov) so pogoste in bolniki morajo imeti med zdravljenjem redne preglede oči.

## PREDAVANJE DR. CHARLOTTE PAWLYN, HEMATOLOGINJE IN KLINIČNE RAZISKOVALKE V ZDRUŽENEM KRALJESTVU

### **Stranski učinki zdravljenja plazmocitoma in amiloidoze**

Dr. Pawlyn je opozorila na dejstvo, da vsi pacienti dobijo stranske učinke in zavedati se moramo, da je ogromno stranskih učinkov reverzibilnih. Pri stranskih učinkih je zelo pomembno, da ne zdravimo stranskega učinka ampak poskusimo razumeti kaj ga povzroča in zdraviti to. Tako imamo veliko večjo možnost, da se stranski učinek dejansko odpravi. To je pomembno saj pogosto obstaja možnost, da nebi bilo potrebno uvajati novega zdravila ampak le spremeniti frekvenco zaužitja zdravila za zdravljenje plazmocitoma ali katerega drugega zdravila. Dr. Pawlyn je izpostavila primer stranskega učinka diareje, za katerega obstaja ogromno zdravil ampak ne delujejo vsa. Tako so začeli bolnike s tem simptomom pošiljati na raziskave, ki so pokazale, da imajo prav vsi bolniki s stranskim simptomom diareje isto diagnozo, ki je acid malabsorption. Diarejo, ki jo povzroči acid malabsorption pa izjemno ublaži le eno zdravilo. S tem testom so lahko pacientu predpisali le eno samo zdravilo, ki je stranski učinek zdravljenja odpravilo.

Izpostavila je še eno zelo pomembno točko. Stranskih učinkov se ni potrebno sramovat in pomanjševati. To se dogaja npr. pri diareji, vaginalnih težavah itd. Prej stranski učinek omenite zdravniku, prej se lahko najde rešitev v obliki zdravila ali prilagajanja zaužitja trenutnega zdravila. Problem pa je tudi v zdravnikih. Če zdravnik ne izrazi zanimanja za stranski učinek oz. se mu stranski učinek ne zdi zelo pomemben, obstaja velika možnost, da pacient tega stranskega učinka ne bo več omenjal.

## PREDAVANJE ELLEN WATERS, INFORMACIJSKE SPECIALISTKE O PLAZMOCITOMU IZ ZDRUŽENEGA KRALJESTVA TER VICENCA CLAUSA, KI JE VODJA BELGIJSKE SKUPINE MLADIH BOLNIKOV

### **Potrebe in izzivi mladih z diagnozo plazmocitoma**

Najprej je bilo potrebno opredeliti kaj je mlada oseba s plazmocitomom. V Združenem Kraljestvu na primer so imeli tudi primere otrok z plazmocitomom, sicer zelo redko, ampak obstajajo. Vendar ko govorimo o mladih in plazmocitomu imamo v mislih starostno skupino 20-50 let

Katere so pa teme, ki mlade najbolj zanimajo: plodnost, zgodnja menopavza, erektilna disfunkcija, izguba libida, vpliv na delo, možnosti infekcije, kako povedati družinskim članom, emocionalna/psihološka travma in finance.

V Združenem Kraljestvu imajo program Myeloma UK Peer Buddy Service, ki deluje na podobnih izhodiščih kot naš Slovenski program bolnik bolniku. Z mladim bolnikom stopi v kontakt nekdo, ki je približno iste starostne skupine, da se lahko z njim pogovori o svojih tegobah, skrbah, strahovih. To je tako kot pri nas, tudi pri njih, njihov najbolj uspešen program. Majo pa tudi možnosti telefonskih pogovorov, mailov...

V UK obstaja podporna skupina za bolnike mlajše od 50 let v kateri so Izvedli anketo. Mladi menijo da deljenje zgodb pomaga pri sprejemanju bolezni in da vidiš da nisi sam, da nisi tako drugačen. Tako se lažje spopadejo s težavami v družini, na delu. So pa nekateri izrazili mnenje, da ko gledaš trpljenje drugih, še bolj čutiš svoje. Eden izmed vidikov, ki bolj zanima mlade je sprememba fizičnega videza in kako se spopasti s tem.

V UK se prav tako redno izdaja publikacija, ki je namenjena mladim s plazmocitomom. Zadnja izdaja je izpostavila, da je pri mladih veliko bolj pogosto, da ohranjajo svoje navade tudi med zdravljenjem. Večina jih redno hodi v službo, športa...

EYMPG: Podporna Skupina ki jo je ustanovila MPE za mlade, ki so zboleli za plazmocitomom. Notri so trenutno člani iz 21 različnih držav.

<https://www.facebook.com/groups/europeanyoungmyelomapatients/>

## PREDAVANJE ANANDE PLATE, DIREKTORICE PLATVOKATOV IN CLAUDIE LOUATI, VODJA OBLIKOVANJA POLITIK NA EPF

### **Čezmejni dostop do zdravil in kliničnih preizkusov**

Bolniki imajo koristi od dostopa do inovativnih zdravil prek kliničnih preskušanj in enotnega trga EU. Članstvo v EU olajša sodelovanje pacientov v preskušanjih v drugih državah članicah EU. Rezultati nedavne študije o čezmejnih kliničnih preskušanjih pa žal kažejo, da je enostavnega dostopa za klinična preskušanja v drugi državah žal še ni. Trenutno je glavni problem primanjkljaj primerne zakonodaje ali smernic EU za olajšanje sodelovanja pri poskusih na drugi, izvendržavnih, lokacijah. Toda kljub temu se čezmejna preskušanja dogajajo in trend se povečuje določenih regijah. Predavateljice so izpostavile predvsem skandinavske države, ki so med seboj sklenile sporazum, da njihovim državljanom v vsaki državi pripadajo iste zdravstvene storitve kot bi jih bili deležni sami.

Če se vrnemo nazaj k pravnemu primanjkljaju. To pomanjkanje evropskega pravnega okvira pomeni, da se bolniki, ki potujejo v drugo državo za preskušanja soočajo s težavami, kot so: pomanjkanje jasnosti glede protokolov za spremljanje, ko se vrnejo domov, in kako nacionalno

zavarovanje krije stroške; in praktična vprašanja, kot je kdo je odgovoren za kritje stroškov potovanja, nastanitve in povezana logistika. V večini držav še vedno velja, da ti v drugi državi krijejo stroške zdravljenja, ki je možno tudi v državi prebivanja. Torej klinični preizkusi, ki jih v Sloveniji nimamo, nebi bili kriti iz zdravstvenega zavarovanja.

Te težave bomo premostili le s skupnim sodelovanjem. Poleg zgornjega skandinavskega primera, poznamo še nekaj dobrih meddržavnih praks; Nordijci – Danska, Finska, Norveška in Švedska imajo omrežje za izmenjavo rezultatov novih poskusov in informacij o dostopu do novih terapij in zdravil. Slovaška zakonodaja določa, da njihovi državljani lahko sodelujejo v poskusih v drugih državah, stroške pa bo krilo nacionalno zavarovanje doma, če obvestijo zdravniško zbornico. Na nizozemsko-nemški meji univerzitetne bolnišnice sodelujejo pri raziskavah, izmenjujejo podatke o poskusih sodelujejo pri poenostavitvi pacientovega dostopa do primernega zdravljenja.

## PREDAVANJE VALENTINE STRAMMIELLO, DIREKTORICE PROGRAMOV V EPF POVEZANE Z HTA IN KAREN FACEY, SENIOR SVETOVALKE ZA HTA

### HTA

Kaj je HTA? Postopek ocenjevanja dodane vrednosti, učinkovitosti, stroškov in širši vpliv zdravstvenih intervencij, vključno z zdravil, medicinskih pripomočkov in postopkov.

Vprašanja s katerimi se bodo regulatorji ukvarjali:

- Je novo zdravilo bolj učinkovito pri zdravljenju določene bolezni?
- Ali so pričakovani stroški in koristi zadostni v primerjavi z alternativnim zdravstvenim varstvom?
- Kako primerjati novo zdravilo z obstoječim ob upoštevanju bolnikov, bolezni in izida za bolnika?
- Ali bo uporaba novega medicinskega pripomočka prinesla boljšo diagnostiko ali zdravljenje?

HTA ima predvideni dve večji domeni; klinično in in ne-klinično

Klinična domena:

- Zdravstvene težave in zdravstvene tehnologije, ki so trenutno v uporabi (npr. zdravila, medicinski pripomočki, kirurški posegi).
- Opis zdravstvene tehnologije, ki se jo ocenjuje.
- Relativna klinična učinkovitost.
- Relativna varnost.

Ne-klinična domena:

- Ekonomsko vrednotenje.
- Etični vidiki.
- Organizacijski vidiki.
- Socialni vidiki.
- Pravni vidiki.

HTA pa ima svojo predvideno časovnico za katero izredno zaostajajo in vprašanje je, če bo vse izvedljivo do leta 2030. Predvidevanja so:

- 12. januar 2025: Nova onkološka zdravila zdravil in napredne terapije zdravila bodo ocenjena na ravni EU.
- 3. januar 2030: Vsa nova zdravila bodo naredila prehod v HTA regulacijo

**PREDAVANJE DR. MARJANE RAJER, UKC, CHRISTINE SKEET, GLAVNA SPECIALISTIČNA MEDICINSKA SESTRA V ZDRUŽENEM KRALJESTVU, ORLA MCCOURT, KLINIČNA FIZIOTERAPEVKA IN SURABHI CHATURVEDI, SENIOR PSIHOTERAPEVKA V KING'S COLLEGE BOLNIŠNICI**

### **Podporna nega za bolnike z amiloidozo in plazmocitomom**

Zadnji dan pa je bil namenjen predstavitvam tem, ki so ob zdravljenju pogosto zapostavljene. Psihična podpora, rehabilitacija in prehrana. Vse govorko so poudarile, da je naj bi bolnik v začetni fazi zdravljenja prejel psihično pomoč in svetovanje pri prehrani. Izredno pomembno je tudi da imajo svojci bolnika dostop do psihološke pomoči, saj raziskave kažejo, da pogosto čutijo se večjo stisko kot bolnik sam.

V kolikor te pomoči niste deležni, je potrebno biti vztrajen saj vam zakonsko pripada in je pogosto eden izmed odločilnih dejavnikov kvalitete bolnikovega življenja.

### **PREDSTAVITEV PROJEKTA NAVIGATOR**

Evropski navigator kliničnih študij za plazmocitom in AL amiloidozo je spletno orodje za iskanje, namenjeno iskanju in pridobivanju informacij o kliničnih študijah za plazmocitom, monoklonsko gamopatijo nedoločenega pomena (MGUS in AL amiloidozo v Evropi. To platformo zagotavlja Myeloma Patients Europe (MPE). Njegov cilj je pomagati pri zagovorništvu na individualni ali nacionalni ravni za dostop do kliničnih študij ter podpreti bolnike in skrbnike pri informiranih pogovorih z njihovimi zdravstvenimi delavci o možnostih kliničnih študij.

Navigator zagotavlja:

- Informacije in izobraževanje o kliničnih raziskavah, različnih korakih v procesu razvoja zdravil in odobritvah zdravil, kako se vključiti v klinične študije in kaj je treba upoštevati pred vključitvijo.
- Orodje za iskanje specifičnih bolezni, ki omogoča iskanje in pridobivanje informacij o kliničnih študijah v Evropi z uporabo specifičnih filtrov, kot so status rekrutiranja, faza klinične študije, lokacija, vrsta zdravila, randomizacija in mnogi drugi.
- Novice o novih študijah, posodobljenih študijah, odobritvah in dostopu do zdravil ter rezultatih študij.

Navigator ni namenjen zagotavljanju medicinskih nasvetov niti podajanju priporočil ali predvidevanju vaše primernosti za klinično študijo. To ni orodje za usklajevanje s študijami in MPE ne vključuje pacientov v klinične študije. Namenjen je uporabi kot vodnik in referenca za povečanje znanja uporabnika o razpoložljivih kliničnih študijah. Vedno se posvetujte s svojim zdravnikom za dodatne informacije, preden razmislite o vključitvi v klinično študijo.

Navigator bo na voljo v naslednjih 26 jezikih: armenščina, češčina, danščina, nizozemščina, angleščina, finščina, francoščina, nemščina, grščina, hebrejščina, islandščina, italijanščina, latvijščina, litovščina, makedonščina, norveščina, poljščina, portugalsščina, romunščina, ruščina, srbohrvaščina, slovaščina, slovenščina, španščina, švedščina in turščina. Trenutno je na voljo le v angleščini ampak kmalu boste lahko uporabili jezikovni meni za spremembo jezika. Jeziki bodo dodani eden za drugim. Slovenščina morda ne bo takoj na voljo.

Navigator vključuje klinične študije, ki potekajo v Evropi in v državah, kjer ima MPE članske organizacije. Na žalost niso vse države vključene v trenutne klinične študije, kar je prikazano na zemljevidu Navigatorja.