

BADANIE

Na zamówienie Komisji Ochrony
Środowiska Naturalnego, Zdrowia
Publicznego i Bezpieczeństwa Żywności



Jak skuteczniej walczyć z rakiem w Europie?

Jak robić więcej i działać szybciej



Departament Tematyczny ds. Polityki Gospodarczej, Naukowej i Jakości Życia
Dyrekcja Generalna ds. Polityki Wewnętrznej Unii Europejskiej
Autorzy: Norbert COUESPEL, Richard PRICE i in.
PE 642.388 – lipiec 2020 r.

PL

Jak skuteczniej walczyć z rakiem w Europie?

Jak robić więcej i działać szybciej

Streszczenie

W badaniu tym przedstawiono aktualną sytuację w Europie w dziedzinie walki z rakiem.

Skupiono się w nim na czterech głównych obszarach: przyczynach nowotworów; badaniach przesiewowych i wczesnej diagnozie; dostępie do leczenia, opieki i badań naukowych; nowotworach rzadkich i dziecięcych. W każdym w tych obszarów przedstawiono najważniejsze ustalenia i zalecenia.

Dokument opracowano na zlecenie Departamentu Tematycznego ds. Polityki Gospodarczej, Naukowej i Jakości Życia na potrzeby Komisji Ochrony Środowiska Naturalnego, Zdrowia Publicznego i Bezpieczeństwa Żywności (ENVI).

Niniejszy dokument przygotowano na zlecenie Komisji Ochrony Środowiska Naturalnego, Zdrowia Publicznego i Bezpieczeństwa Żywności Parlamentu Europejskiego.

AUTORZY

Norbert COUESPEL, Europejska Organizacja ds. Raka (European Cancer Organisation)
Richard PRICE, Europejska Organizacja ds. Raka

WSPÓŁAUTORZY

Mark LAWLER, Europejska Organizacja ds. Raka, członek zarządu – rozdział 3.1 i ogólny przegląd sytuacji
Anna PROKUPKOVA, Europejskie Stowarzyszenie Lig Walki z Rakiem – rozdział 3.1.
Olga KOZHAEVA, Europejskie Towarzystwo Onkologii Dziecięcej – rozdział 4.2
Ariane WEINMAN, Europejska Organizacja ds. Chorób Rzadkich – rozdział 4.1
Matti AAPRO, Europejska Organizacja ds. Raka, przewodniczący – ogólny przegląd sytuacji
Philip POORTMANS, Europejska Organizacja ds. Raka, poprzedni przewodniczący – ogólny przegląd sytuacji

WŁAŚCIWI ADMINISTRATORZY

Christian KURRER

ASYSTENCI REDAKCYJNI

Catherine NAAS

WERSJE JĘZYKOWE

FR - PL

Język oryginału: EN

O REDAKCJI

Departamenty tematyczne zapewniają specjalistyczne doradztwo wewnętrzne i zewnętrzne, aby pomagać komisjom PE oraz innym organom parlamentarnym w tworzeniu przepisów i sprawowaniu demokratycznej kontroli nad polityką wewnętrzną UE.

Nasz adres – dla osób chcących skontaktować się z departamentem tematycznym lub otrzymywać powiadomienia pocztą elektroniczną:

Departament Tematyczny ds. Polityki Gospodarczej, Naukowej i Jakości Życia
Parlament Europejski
L-2929 – Luksemburg
E-mail: Poldep-Economy-Science@ep.europa.eu

Opracowano: czerwiec 2020 r.

Data publikacji: lipiec 2020 r.

© Unia Europejska, 2020

Niniejszy dokument jest dostępny w internecie pod adresem:

<http://www.europarl.europa.eu/supporting-analyses>

PODZIĘKOWANIA

Chcielibyśmy wyrazić wdzięczność następującym osobom, które poświęciły swój czas, by udzielić nam informacji potrzebnych do niniejszego opracowania, w tym z wykorzystaniem wideokonferencji i poczty elektronicznej: Lydie MEHEUS (Fundacja Przeciwko Rakowi), Stefan GIJSELS (Digestive Cancers Europe), Julie LING (Europejskie Towarzystwo Opieki Paliatywnej), Arnulf STENZL (Europejskie Towarzystwo Urologiczne), David RITCHIE (Stowarzyszenie Europejskich Lig Walki z Rakiem), Denis LACOMBE i Anastassia NEGROUK (Europejska Organizacja Badań i Leczenia Raka), Jan van MEERBEECK (Europejskie Towarzystwo Oddechowe), Jan Willem DEKKER (Europejskie Towarzystwo Koloproktologiczne), Jonas van RIET i Monika HIERATH (Europejskie Towarzystwo Radiologiczne), William ALLUM (Europejskie Towarzystwo Chirurgii Onkologicznej), Alberto COSTA i Alexandru ENIU (Europejska Szkoła Onkologii), Mirjam CRUL (Europejskie Towarzystwo Farmacji Onkologicznej), Yolande LIEVENS, Chiara GASPAROTTO i Amélie LAUSSUCQ (Europejskie Towarzystwo Radioterapii i Onkologii), Sema ERDEM (Europa Donna), Brigitta BOONEN (Europejskie Towarzystwo Zapobiegania Rakowi Skóry - EUROSKIN), Isabel T. RUBIO (Europejskie Towarzystwo Specjalistów ds. Nowotworów Piersi), Csaba DÉGI (Międzynarodowe Towarzystwo Psychoonkologiczne), Andrew DAVIES i Melissa CHIN (Międzynarodowe Towarzystwo Leczenia Wspomagającego w Onkologii), Tit ALBREHT (Narodowy Instytut Zdrowia Publicznego Republiki Słowenii), Riccardo AUDISIO (Uniwersytet w Göteborgu, Szwecja) i Marc DOOMS (Szpitale Uniwersyteckie w Leuven, Belgia).

Ponadto dziękujemy następującym osobom, które przekazały nam na piśmie opracowania, komentarze i materiały na potrzeby niniejszego badania: Anita KIENESBERGER (Childhood Cancer International-Europe), Philippe PEREIRA i Simona IVANOVA (Europejskie Towarzystwo Radiologii Interwencyjnej i Sercowo-Naczyniowej), Wim OYEN, Arturo CHITI i Sonja NIEDERKOFLENER (Europejskie Stowarzyszenie Medycyny Nuklearnej), Hendrik van POPPEL and Sarah COLLEN (Europejskie Towarzystwo Urologiczne), Susane VAHR (Europejskie Towarzystwo Pielęgniarek Urologicznych), Margaret CRUICKSHANK (Europejska Federacja Kolposkopii), Sam KYNMAN (Europejska Federacja Bólu), Ingrid KLINGMANN (Europejska Federacja na rzecz Dobrej Praktyki Klinicznej), Gabriela MÖSLEIN, Rolf SIJMONS i John BURN (europejska grupa ds. nowotworów dziedzicznych – EHTG), Emma Woodford (Europejskie Towarzystwo Pielęgniarek Onkologicznych), Roberta SADAUSKAITE (Europejskie Towarzystwo Oddechowe), Thomas BEYER (European Society for Hybrid, Molecular and Translational Imaging – ESHI-MT), Cobi REISMAN (Europejskie Towarzystwo Medycyny Seksualnej), Carine LECOQ (Europejskie Towarzystwo Chirurgii Onkologicznej), Rüdiger GREINERT i Beate VOLKMER (Europejskie Towarzystwo Zapobiegania Rakowi Skóry), Ruud PIJNAPPEL (Europejskie Towarzystwo Obrazowania Piersi), Lorenza MAROTTI (Europejskie Stowarzyszenie Specjalistów ds. Nowotworów Piersi), Joachim SCHÜZ (Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem), Kathy OLIVER (Międzynarodowe Zrzeszenie ds. Guzów Mózgu), Simon OBERST (Organizacja Europejskich Instytutów Onkologicznych), Lore DECOSTER i Hans WILDIERS (Międzynarodowe Towarzystwo Onkologii Geriatrycznej), Pamela KEARNS (Europejskie Towarzystwo Onkologii Dziecięcej), Jana TENGLEROVA (United European Gastroenterology – UEG).

ZASTRZEŻENIE PRAWNE I PRAWO AUTORSKIE

Opinie wyrażone w niniejszym dokumencie są jedynie opiniami autorów i nie muszą odzwierciedlać oficjalnego stanowiska Parlamentu Europejskiego.

Kopiowanie i tłumaczenie w celach niekomercyjnych jest dozwolone pod warunkiem wskazania źródła oraz wcześniejszego poinformowania Parlamentu Europejskiego i wysłania mu egzemplarza.

Na potrzeby cytowania badanie powinno zostać opisane w następujący sposób: Couespel, N. i in., *Poprawa walki z rakiem w Europie*, badanie dla Komisji Ochrony Środowiska Naturalnego, Zdrowia Publicznego i Bezpieczeństwa Żywności, Departament Tematyczny ds. Polityki Gospodarczej, Naukowej i Jakości Życia, Parlament Europejski, Luksemburg, 2020 r.

© Grafiki na okładce użyto na licencji Adobestock.com

SPIS TREŚCI

WYKAZ SKRÓTÓW	9
WYKAZ RYSUNKÓW	10
WYKAZ TABEL 10	
WYKAZ ZALECEŃ	11
STRESZCZENIE	13
1. PRZYCZYNY RAKA I PROFILAKTYKA PIERWOTNA	17
1.1. Przyczyny raka	18
1.1.1. Mechanizmy karcynogenezy	18
1.1.2. Modyfikowalne czynniki ryzyka zachorowania na raka	22
1.1.3. Prognozowanie ryzyka zachorowania na raka i opracowywanie odpowiednio dostosowanych strategii	32
1.2. Profilaktyka pierwotna raka	37
1.2.1. Profilaktyka pierwotna ukierunkowana na modyfikowalne czynniki ryzyka zachorowania na raka	40
1.2.2. Profilaktyka pierwotna w przypadku genetycznej podatności na raka	52
2. WCZESNE WYKRYWANIE RAKA: BADANIA PRZESIEWOWE I WCZESNA DIAGNOSTYKA	55
2.1. Badania przesiewowe w kierunku raka	56
2.1.1. Uzasadnienie badań przesiewowych i związane z nimi wymogi	56
2.1.2. Przegląd aktualnych ram europejskich dotyczących badań przesiewowych	57
2.1.3. Optymalizacja programów badań przesiewowych w kierunku raka	60
2.1.4. Możliwe rozszerzenie programów badań przesiewowych w kierunku raka	65
2.2. Wczesna diagnostyka raka	67
2.2.1. Edukacja podmiotów opieki zdrowotnej i ogółu społeczeństwa na temat objawów ostrzegawczych mogących wskazywać na raka	68
2.2.2. Efektywność i terminowość kierowania pacjentów do specjalistów	70
3. DOSTĘP DO LECZENIA RAKA, OPIEKI I BADAŃ W TYM ZAKRESIE	73
3.1. Dostęp do leczenia raka	74
3.1.1. Dostęp do niesystemowego leczenia raka	75
3.1.2. Dostęp do leków onkologicznych	80
3.2. Dostęp chorych na raka do wysokiej jakości opieki	93
3.2.1. Dostęp do wielodyscyplinarnej opieki zintegrowanej nad chorymi na raka	95
3.2.2. Potrzeby dotyczące opieki po przebyciu raka i opieki nad chorymi na raka u schyłku życia: życie z rakiem i po nim	98
3.2.3. Wymogi przekrojowe dotyczące zapewnienia wysokiej jakości opieki nad osobami z chorobą nowotworową	109

3.3.	Badania nad rakiem: opracowywanie nowych metod leczenia i podnoszenie standardów opieki nad chorymi	118
3.3.1.	Aktualna sytuacja i przekrojowe wyzwania w dziedzinie badań nad rakiem	119
3.3.2.	Komponenty badań nad rakiem: konkretne szanse i wyzwania	120
3.3.3.	Wnioski dotyczące reformy środowiska badań klinicznych nad rakiem w Europie	122
4.	NOWOTWORY RZADKIE ORAZ NOWOTWORY DZIECIĘCE	128
4.1.	Nowotwory rzadkie	130
4.1.1.	Klasyfikacje i zakres rzadkich nowotworów	130
4.1.2.	Epidemiologia nowotworów rzadkich	132
4.1.3.	Wyzwania w walce z nowotworami rzadkimi	134
4.1.4.	Rola organizacji pacjentów w odniesieniu do nowotworów rzadkich	147
4.2.	Nowotwory dziecięce	149
4.2.1.	Przegląd rodzin nowotworów dziecięcych	150
4.2.2.	Epidemiologia nowotworów dziecięcych	151
4.2.3.	Wyzwania w zakresie nowotworów dziecięcych	152
4.2.4.	Rola organizacji pacjentów w dziedzinie nowotworów dziecięcych	160
BIBLIOGRAFIA 161		
ZAŁĄCZNIK 1: EPIDEMIOLOGIA NOWOTWORÓW NAJCZĘŚCIEJ WYSTĘPUJĄCYCH W UE W 2018 R.		164
ZAŁĄCZNIK 2: UDZIAŁ NOWOTWORÓW, KTÓRYM MOŻNA ZAPOBIEC (RODZAJE NOWOTWORÓW NAJCZĘŚCIEJ WYSTĘPUJĄCE W EUROPIE)		165
ZAŁĄCZNIK 3: EUROPEJSKI KODEKS WALKI Z RAKIEM (WYDANIE 4)		166
ZAŁĄCZNIK 4: WDRAŻANIE ZALECANYCH PROGRAMÓW BADAŃ PRZESIEWOWYCH (1/2)		167
ZAŁĄCZNIK 5: WDRAŻANIE ZALECANYCH PROGRAMÓW BADAŃ PRZESIEWOWYCH (2/2)		168
ZAŁĄCZNIK 6: ORGANIZACJA ZALECANYCH PROGRAMÓW BADAŃ PRZESIEWOWYCH W KIERUNKU RAKA		169
ZAŁĄCZNIK 7: REALIZACJA ZALECANYCH PROGRAMÓW BADAŃ PRZESIEWOWYCH W KIERUNKU RAKA W UE (1/2)		170
ZAŁĄCZNIK 8: REALIZACJA ZALECANYCH PROGRAMÓW BADAŃ PRZESIEWOWYCH W KIERUNKU RAKA W UE (2/2)		172
ZAŁĄCZNIK 9: EPIDEMIOLOGIA NOWOTWORÓW W PAŃSTWACH CZŁONKOWSKICH UE		173
ZAŁĄCZNIK 10: EPIDEMIOLOGIA RODZIN NOWOTWORÓW RZADKICH		175
ZAŁĄCZNIK 11: EPIDEMIOLOGIA NOWOTWORÓW DZIECIĘCYCH		176
ZAŁĄCZNIK 12: PRZYCZYNY ZGONU W POPULACJI PEDIATRYCZNEJ WG RODZAJU NOWOTWORU		177

WYKAZ SKRÓTÓW

BiR	Badania i rozwój
CanCon	Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem
DNA	Kwas deoksyrybonukleinowy
EMA	Europejska Agencja Leków
ESR	Europejskie sieci referencyjne
KE	Komisja Europejska
Komórki CAR-T	Limfocyty T z chimerycznym receptorem antygenowym, rodzaj zmodyfikowanej komórki układu odpornościowego stosowanej w immunoterapii nowotworów
HBV	Wirus zapalenia wątroby typu B
HPV	Wirus brodawczaka ludzkiego
HTA	Ocena technologii medycznych
IARC	Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem
IT	Technologia informacyjna
JARC	Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich
JRC	Wspólne Centrum Badawcze
NCCP	Krajowe plany walki z rakiem
NGO	Organizacje pozarządowe
RARECARE	Nadzór nad rzadkimi nowotworami w Europie
RARECAREnet	Sieć informacji na temat rzadkich nowotworów
RODO	Ogólne rozporządzenie o ochronie danych
SI	Sztuczna inteligencja
UE	Unia Europejska
UK	Zjednoczone Królestwo Wielkiej Brytanii i Irlandii Północnej
USA	Stany Zjednoczone Ameryki
UV	Ultrafiolet
WHO	Światowa Organizacja Zdrowia

WYKAZ RYSUNKÓW

Rysunek 1: Wyznaczniki raka	21
Rysunek 2: Przyczyny raka – odsetek nowotworów, które można przypisać modyfikowalnym czynnikom ryzyka	23
Rysunek 3: Trzy kluczowe elementy wczesnego diagnozowania raka	67

WYKAZ TABEL

Tabela 1: Wdrażanie zalecanych programów przesiewowych w kierunku raka piersi, szyjki macicy i jelita grubego w państwach członkowskich UE i w Zjednoczonym Królestwie w 2016 r.	60
Tabela 2: Średnie wskaźniki dotyczące badań przesiewowych w zalecanych (lub powszechnych) populacjach docelowych w programach badań przesiewowych w kierunku raka piersi, szyjki macicy i jelita grubego w UE w 2013 r.	61
Tabela 3: Często występujące objawy ostrzegawcze przy głównych rodzajach raka	69
Tabela 4: Szacunkowa zachorowalność na nowotwory rzadkie w UE oraz chorobowość i przeżywalność	132
Zalecenie: Wspieranie roli organizacji pacjentów w odniesieniu do nowotworów rzadkich	148
Tabela 5: Szacunki zachorowalności i umieralności w przypadku nowotworów dziecięcych	151
Tabela 6: Zachorowalność i umieralność na 15 nowotworów najczęściej występujących w UE w 2018 r.	164
Tabela 7: Przyjęte populacje docelowe i odstępstwa między badaniami przesiewowymi w zalecanych programach badań przesiewowych w kierunku raka w państwach członkowskich UE i w Zjednoczonym Królestwie w 2017 r.	169
Tabela 8: Zakres badań przesiewowych i wskaźniki udziału (frekwencja) w zalecanych programach badań przesiewowych w kierunku raka w państwach członkowskich UE i w Zjednoczonym Królestwie w 2013 r.	170
Tabela 9: Szacunkowa zachorowalność na nowotwory, umieralność i przeżywalność w państwach członkowskich UE	173
Tabela 10: Szacunkowa zachorowalność, chorobowość i przeżywalność w poszczególnych rodzinach nowotworów rzadkich w UE	175
Tabela 11: Szacunkowa zachorowalność i umieralność na nowotwory dziecięce w Europie w 2018 r.	176

WYKAZ ZALECEŃ

Zalecenie: Wspieranie europejskich badań nad profilaktyką pierwotną raka	40
Zalecenie: Długofalowe wsparcie dla Europejskiego kodeksu walki z rakiem	42
Zalecenie: Ograniczenie używania tytoniu w UE	45
Zalecenie: Promowanie zdrowego stylu życia w UE	46
Zalecenie: Rozwiązanie problemu spożywania alkoholu w Europie	47
Źródło: Stanowisko Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem w sprawie europejskiego planu walki z rakiem: Europejski kodeks walki z rakiem: https://www.iccp-portal.org/sites/default/files/resources/ECL-vision-EU-Beating-Cancer-Plan_final.pdf (dostęp: czerwiec 2020 r.).	48
Zalecenie: Ochrona obywateli Unii przed szkodliwym narażeniem zawodowym i środowiskowym na czynniki rakotwórcze	49
Zalecenie: Udostępnienie wszystkim mieszkańcom UE szczepionek przeciwko rakotwórczym czynnikom zakaźnym	51
Zalecenie: Wykorzystanie w pełni potencjału badań przesiewowych w kierunku raka w UE	66
Zalecenie: Poprawa wczesnej diagnostyki raka w Europie	72
Zalecenie: Doskonalenie systemów chirurgii w UE	77
Zalecenie: Podjęcie wyzwań związanych z radioterapią w UE	78
Zalecenie: Ambitna strategia farmaceutyczna UE	85
Zalecenie: Przebudowa struktury motywacyjnej dla działalności badawczo-innowacyjnej w branży farmaceutycznych w UE	87
Zalecenie: Wyjście z impasu w zakresie współpracy UE w dziedzinie HTA	89
Zalecenie: Rozwiązanie problemu niedoboru leków	93
Zalecenie: Zwiększenie roli podstawowej opieki zdrowotnej w leczeniu nowotworów w UE	96
Zalecenie: Lepszy dostęp do specjalistycznego pielęgniarstwa onkologicznego w UE	98
Zalecenie: Poprawa jakości życia pacjentów leczonych na raka w UE dzięki leczeniu wspomagającemu	102
Zalecenie: Zaspokojenie pilnych potrzeb osób, które przebyły chorobę nowotworową w UE	109
Zalecenie: Wspieranie równego dostępu do wielodyscyplinarnej, wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka w UE	116
Zalecenie: Wykorzystanie sztucznej inteligencji do walki z rakiem w UE	117
Zalecenie: Wizja UE w zakresie badań nad rakiem	120
Zalecenie: Wsparcie na wysokim szczeblu UE dla podstawowych badań nad rakiem	121
Zalecenie: Poprawa infrastruktury badań translacyjnych nad rakiem w Europie	121

Zalecenie: Poszerzenie zakresu europejskich badań klinicznych nad rakiem	122
Zalecenie: Optymalizacja leczenia w ramach strategii farmaceutycznej UE	123
Zalecenie: Rozwój repozycjonowania leków do leczenia nowotworów w UE	123
Zalecenie: Zachęcanie do europejskich badań nad wszystkimi metodami leczenia	124
Zalecenie: Wspieranie w przepisach UE dalszego rozwoju pomiaru wyników usług medycznych na podstawie opinii pacjentów	125
Zalecenie: Pełne zbadanie wpływu ogólnego rozporządzenia w sprawie ochrony danych na europejskie badania nad rakiem	125
Zalecenie: Wykorzystanie potencjału rejestrów nowotworów w UE	126
Zalecenie: Transgraniczny dostęp do badań klinicznych w UE	127
Zalecenie: Dalszy nacisk na politykę nowotworów rzadkich w UE	134
Zalecenie: Korzystanie z doświadczeń ESR	139
Zalecenie: Wykorzystanie potencjału ESR w zakresie kształcenia	140
Zalecenie: ESR w centrum unijnej polityki rzadkich chorób nowotworowych	141
Zalecenie: Ujęcie polityki walki z nowotworami rzadkimi w krajowych planach walki z rakiem	142
Zalecenie: Poprawa funkcjonowania środowiska badań nad rzadkimi nowotworami	143
Zalecenie: Rozwój badań nad przyczynami nowotworów dziecięcych	153
Zalecenie: Równy dostęp dzieci i nastolatków z nowotworami do jak najlepszej opieki	156
Zalecenie: Przyspieszanie innowacji terapeutycznych w zakresie nowotworów dziecięcych	158
Zalecenie: UE jako światowy lider w dziedzinie badań nad nowotworami dziecięcymi	158
Zalecenie: Zaspokajanie potrzeb osób, które przeżyły nowotwory dziecięce	159
Zalecenie: Przestrzeganie praw dzieci cierpiących na nowotwory i ich rodzin	160

STRESZCZENIE

Każdego roku w UE u prawie 3 milionów ludzi diagnozuje się raka. Rak powstaje w wyniku mutacji w komórkach organizmu, prowadzących do ich przewlekłej proliferacji i powstawania guzów zdolnych do tworzenia przerzutów w organizmie gospodarza. Niekontrolowane mnożenie się komórek nowotworowych może ostatecznie prowadzić do niewydolności narządu i śmierci. Co roku na raka umiera w UE ponad 1,2 mln osób. Jednak coraz lepszy dostęp do wielodyscyplinarnej opieki nad chorymi na raka oraz innowacje we wszystkich metodach leczenia, w tym w radioterapii, chirurgii i chemioterapii, przyczyniają się do poprawy wskaźników przeżywalności w przypadku wielu nowotworów. Zgodnie z najnowszymi danymi WHO niemal 10 mln osób w Europie przeżywa ponad 5 lat od chwili zdiagnozowania raka.

Obecnie w Europie można zapobiec około 40% zachorowań na nowotwory, konkretnie tym, które zależą od modyfikowalnych czynników ryzyka. **Najważniejszą spośród możliwych do uniknięcia przyczyn raka w UE jest zdecydowanie używanie tytoniu, a zwłaszcza palenie papierosów.** Następnymi w kolejności są inne czynniki związane ze stylem życia (np. nadwaga lub otyłość, złe nawyki żywieniowe, brak aktywności fizycznej i spożywanie alkoholu) oraz zakażenia wirusami lub bakteriami rakotwórczymi (zwłaszcza HPV (wirusem brodawczaka ludzkiego), HBV i HCV (wirusami zapalenia wątroby typu B i C) oraz *Helicobacter pylori*). Rozwojowi nowotworów sprzyjają również czynniki środowiskowe (promieniowanie UV i promieniowanie jonizujące, zanieczyszczenie), czynniki zawodowe (narażenie na działanie azbestu lub metali ciężkich) oraz czynniki medyczne lub reprodukcyjne (brak karmienia piersią, hormonalna terapia zastępcza po menopauzie i rakotwórcze leki).

Podstawowe działania profilaktyczne, mające zapobiegać wystąpieniu raka dzięki zmianie modyfikowalnych czynników ryzyka, to najbardziej opłacalna strategia walki z rakiem. Obejmują one zwłaszcza powszechne kampanie uświadamiające, takie jak Europejski kodeks walki z rakiem, oraz inicjatywy ustawodawcze lub regulacyjne, np. zniechęcające do używania tytoniu i zakazujące stosowania urządzeń do sztucznego opalania. Ponadto szczepienia przeciwko rakotwórczym wirusom, takim jak HPV, mogą wyeliminować niektóre kategorie nowotworów jako problem zdrowia publicznego, dlatego zaleca się ich powszechne wdrożenie w państwach członkowskich UE.

Profilaktyka wtórna, polegająca na badaniach przesiewowych i wczesnym wykrywaniu nowotworów, ma również istotne znaczenie dla poprawy wyników pacjentów chorych na raka. Rada Unii Europejskiej wydała w 2003 r. **zestaw zaleceń dotyczących wprowadzenia zorganizowanych programów badań przesiewowych w kierunku raka piersi, szyjki macicy i jelita grubego** w państwach członkowskich UE. Pomimo podjęcia szeregu inicjatyw od 2003 r. **wdrożenie tych programów jest dalekie od ukończenia, a w UE nadal występują znaczne nierówności w dostępie do badań przesiewowych o gwarantowanej jakości w kierunku raka.** Ponadto coraz częściej pojawiają się apele o aktualizację zaleceń z 2003 r., aby uwzględnić najnowsze osiągnięcia naukowe i technologiczne w zakresie badań przesiewowych w kierunku raka.

Poważne wyzwania dotyczą nie tylko badań przesiewowych, ale także wczesnej diagnozy nowotworów. **Podniesienie poziomu wczesnego rozpoznawania nowotworów wymaga poprawy świadomości społeczeństwa na temat potencjalnych objawów raka, a także przezwyciężenia strachu lub stygmatyzacji** związanych z nowotworem oraz zapewnienia dostępu do specjalistycznego poradnictwa zdrowotnego. Wymaga to od **pracowników służby zdrowia umiejętności klinicznych i wiedzy potrzebnej do rozpoznania potencjalnych objawów** opisywanych przez pacjentów lub u nich występujących oraz odpowiednio wczesnego kierowania pacjentów chorych na raka na leczenie specjalistyczne. Kolejnym kluczowym elementem wczesnego rozpoznania jest **precyzyjna ocena**

kliniczna, diagnoza i ocena stopnia zaawansowania nowotworu, co również wymaga odpowiedniej wiedzy eksperckiej. Do działań potrzebnych w tym zakresie należą: rozwiązanie problemu niedoboru patologów, wspieranie inwestycji w nowe technologie w diagnostyce oraz tworzenie wskaźników jakościowych służących odpowiednio wczesnemu kierowaniu pacjentów na leczenie.

Leczenie raka ma charakter multimodalny. Kluczowe metody leczenia nowotworów obejmują leczenie niesystemowe, takie jak radioterapia i chirurgia, oraz leczenie systemowe za pomocą środków farmaceutycznych. **Trzeba usunąć nierówności w dostępie do wszystkich metod leczenia nowotworów.**

Do podstawowych potrzeb, które należy zaspokoić w odniesieniu do chirurgii, radioterapii i onkologii interwencyjnej, należą: proaktywne wspieranie harmonizacji i uznawania szkoleń i kwalifikacji na szczeblu europejskim oraz większe inwestycje w badania kliniczne; obie te kwestie można ująć w powstającym europejskim planie walki z rakiem oraz w misji programu w zakresie badań naukowych i innowacji „Horyzont Europa” na rzecz walki z rakiem („misja UE na rzecz walki z rakiem”).

Onkologia bardzo szybko się rozwija i zmienia, głównie dzięki postępom w dziedzinie terapii spersonalizowanej i onkologii precyzyjnej. Najlepszym przykładem jest tu terapia komórkami CAR-T (od pacjenta pobiera się szczególny typ komórek układu odpornościowego, tzw. limfocyty T, i modyfikuje się je laboratoryjnie tak, aby atakowały komórki nowotworowe). Rozwój ten pociąga za sobą z kolei zapotrzebowanie na zmiany w regulacyjnych mechanizmach zatwierdzania oraz w ustalaniu cen i refundowaniu nowych metod leczenia. Dlatego w **nowej strategii farmaceutycznej UE trzeba ambitnie podejść do terminowej aktualizacji modeli regulacyjnych i modeli zachęt. Należy doprowadzić do (opóźniającego się) przyjęcia wniosku Komisji Europejskiej w sprawie zacieśnienia współpracy między państwami członkowskimi w dziedzinie oceny technologii medycznych.** Opóźnienie to rodzi duże frustracje, gdyż wola wdrożenia tego wniosku jest powszechna. Aby bardziej długoterminowo rozwiązać utrzymujący się **problem niedoboru leków onkologicznych**, w strategii farmaceutycznej UE należy:

- poprawić prawodawstwo farmaceutyczne UE w zakresie powiadamiania o niedoborach;
- dać państwom członkowskim przejrzystsze wytyczne dotyczące handlu równoległego;
- zapewnić lepszą wymianę informacji między państwami, jeśli chodzi o zarządzanie niedoborami i zapobieganie im;
- zachęcać do usprawnienia procedur udzielania zamówień publicznych na leki generyczne.

Zapewnienie pacjentom chorym na raka **wysokiej jakości opieki** oznacza zapewnienie zrównoważonego i wszechstronnego podejścia, dającego dostęp nie tylko do podstawowych metod leczenia chorób nowotworowych, ale także do wielu innych istotnych elementów będących podstawą wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka: dobrze rozwiniętej podstawowej służby zdrowia, lekarzy patologów, specjalistycznego pielęgniarstwa onkologicznego, farmacji onkologicznej, opieki paliatywnej, leczenia podtrzymującego i wsparcia psychoonkologicznego. Wszystkie te składowe wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka można wspierać przez: proaktywną pomoc w harmonizacji i rozwoju wymogów dotyczących kształcenia i szkolenia na szczeblu europejskim oraz oficjalne monitorowanie i sprawozdawczość na szczeblu UE dotyczące dostępu pacjentów do kluczowych składowych opieki nad chorymi na raka w całej Europie, potencjalnie z wykorzystaniem proponowanego **europejskiego zestawu wskaźników dotyczących raka**, wspieranego w nowym programie finansowania – programie UE dla zdrowia. **Europejski plan walki z rakiem powinien wspierać cel, jakim jest utworzenie co najmniej jednego wszechstronnego ośrodka leczenia**

nowotworów w każdym państwie członkowskim, a w państwach o większej liczbie ludności – co najmniej jednego takiego ośrodka na każde 5 mln mieszkańców.

Należy wykorzystać narzędzia prawne i inne, aby chronić pacjentów chorych na raka i osób, które przebyły chorobę nowotworową, przed dyskryminacją. Obejmuje to wprowadzenie „**prawa do bycia zapomnianym**” we wszystkich państwach (w odniesieniu do usług finansowych dla osób, które przebyły chorobę nowotworową).

Należy wykorzystać możliwości, jakie oferują technologie cyfrowe i sztuczna inteligencja, do poprawy opieki nad chorymi na raka oraz zdecydowanie wspierać takie możliwości w inicjatywach UE skupionych na gospodarce cyfrowej oraz w programie w zakresie badań naukowych i innowacji „Horyzont Europa”.

Badania nad rakiem i wykorzystanie ich wyników w codziennej praktyce klinicznej mają zasadnicze znaczenie dla stałego doskonalenia profilaktyki nowotworowej, diagnostyki oraz obserwacji medycznej osób, które przebyły chorobę nowotworową. Podstawową ideą rozwijania europejskich badań translacyjnych jest możliwość szerszego zastosowania wizji Sieci Wielodyscyplinarnej Opieki Onkologicznej nie tylko do poprawy opieki nad chorymi na raka, ale także do rozwoju europejskiej sieci praktycznych badań naukowych nad rakiem.

W niniejszym badaniu zwrócono uwagę na inne możliwości poprawy sytuacji badań nad rakiem, takie jak: przyjęcie zaleceń dotyczących udoskonalenia **badania nad optymalizacją leczenia**; większa promocja możliwości **prowadzenia badań nad repozycjonowaniem leków**; dodatkowe wsparcie **badania nad niesystemowym i lokalno-regionalnym leczeniem nowotworów**; szersze przyjęcie środków dotyczących **zgłaszania wyników przez pacjentów** w istniejących strukturach regulacyjnych; stałe doskonalenie **harmonizacji i standardów europejskich rejestrów nowotworów**; rozpatrywanie skarg społeczności badawczej zajmującej się badaniami nad rakiem w sprawie **obciążeń wynikających z ogólnego rozporządzenia o ochronie danych**.

Nowotwory rzadkie są poważnym zagrożeniem dla zdrowia publicznego w Europie, ponieważ dotyczą około 5,1 mln pacjentów w całej Europie. Ponieważ w Europie utrzymuje się dramatyczne zróżnicowanie wskaźnika przeżywalności, **należy stale zwracać uwagę na politykę w zakresie nowotworów rzadkich** w przygotowywanym europejskim planie walki z rakiem, w misji UE na rzecz walki z rakiem oraz w nowej strategii farmaceutycznej UE.

Unia Europejska odgrywa kluczową rolę w zacieśnianiu współpracy w dziedzinie nowotworów rzadkich przez budowanie i obsługę „**europejskich sieci referencyjnych**”. ESR dają nowe możliwości poprawy leczenia i opieki nad pacjentami chorymi na nowotwory rzadkie, w tym dzięki wymianie informacji o przypadkach klinicznych, racjonalizacji kierowania pacjentów na leczenie oraz lepszemu zarządzaniu przypadkami nowotworów rzadkich w małych krajach. Zaproponowano wiele dalszych potencjalnych zadań ESR, m.in. w opracowaniu wytycznych dotyczących praktyki klinicznej w zakresie nowotworów rzadkich, w pomocy w gromadzeniu materiału biologicznego (biobanki) oraz w osiągnięciu efektów skali w badaniach klinicznych. **Wymaga to jednak długoterminowego wsparcia finansowego dla ESR.**

Nowotwory dziecięce (łącznie) są w Europie pierwszą przyczyną (spowodowanej chorobą) śmierci dzieci powyżej pierwszego roku życia. Co roku diagnozuje ponad 35 tys. przypadków nowotworów dziecięcych, a ponad 6 tys. małych pacjentów umiera. W Europie występują znaczne nierówności w dostępie do najlepszej opieki i wiedzy eksperckiej, powodujące aż 20% różnicę we wskaźnikach przeżywalności dzieci w poszczególnych państwach europejskich.

W polityce należy zdecydowanie zwrócić więcej uwagi na potrzeby badań nad nowotworami dziecięcymi. Potrzeby te obejmują badania nad predyspozycjami genetycznymi jako kluczowy

element szerzej zakrojonego programu badań nad nowotworami dziecięcymi. Ogólniej rzecz ujmując, aby usunąć problem nierównego rozkładu inwestycji w badania nad nowotworami dziecięcymi, trzeba przeznaczyć na te badania jasno określone i ukierunkowane środki unijne oraz zapisać w budżecie odpowiednie kwoty na wszystkie odnośne programy UE.

Z perspektywy regulacyjnej rozporządzenie UE w sprawie sierocych produktów leczniczych (rozporządzenie (WE) nr 141/2000) nie pomogło w tworzeniu produktów leczniczych dla onkologii dziecięcej. Należy przeprowadzić przegląd przepisów UE w tym zakresie, aby zaspokoić potrzeby dzieci i nastolatków chorych na raka oraz sprawić, by rozwój medycyny dla tej grupy pacjentów był szybszy, wydajniejszy i proporcjonalny do wskaźnika innowacji obserwowanego w leczeniu onkologicznym dorosłych pacjentów.

W Europie żyje niemal pół miliona dzieci, które przebyły chorobę nowotworową; większość z nich doświadcza długotrwałych negatywnych skutków odbijających się na ich zdrowiu, życiu codziennym i udziale w życiu społecznym. Długoterminowa obserwacja medyczna dzieci, które przebyły chorobę nowotworową, jest kluczem do rozwiązania tego problemu. Dlatego we **współfinansowanym przez UE wspólnym działaniu w zakresie nowotworów rzadkich zalecono wprowadzenie europejskiego niepowtarzalnego identyfikatora pacjenta, aby zapewnić transgraniczne monitorowanie długoterminowych wyników u dzieci, które przebyły chorobę nowotworową.**

1. PRZYCZYNY RAKA I PROFILAKTYKA PIERWOTNA

KLUCZOWE WNIOSKI I ZALECENIA: PRZYCZYNY RAKA

Według najnowszych danych w UE co roku diagnozuje się raka u prawie 3 mln osób. Raka można zdefiniować jako chorobę polegającą na niepożądanym rozwoju komórek; mutacje genetyczne powodują ich niekontrolowany wzrost i proliferację; taka grupa komórek stopniowo nabywa cech guza, w tym zdolność do inwazyjnego rozprzestrzeniania się w organizmie w postaci przerzutów.

W 5–10% przypadków raka mutacje nowotworowe są dziedziczne po rodzicach; nosiciele tych mutacji są zatem genetycznie podatni na raka. W pozostałych przypadkach raka powodują mutacje somatyczne, nabyte w ciągu życia w danej tkance w wyniku narażenia na czynniki środowiskowe lub w wyniku przypadkowych modyfikacji genetycznych. Zazwyczaj nie można jednoznacznie stwierdzić, dlaczego dany pacjent nabył takie mutacje i dlaczego rozwinął się rak, zidentyfikowano jednak niektóre czynniki ryzyka zachorowania na raka.

Według najnowszych dostępnych danych obecnie w Europie można by zapobiec około 40% nowotworów; są to przypadki związane z czynnikami ryzyka, których można uniknąć (lub które można modyfikować). **Używanie tytoniu, a w szczególności palenie papierosów jest zdecydowanie najważniejszą możliwą do uniknięcia przyczyną nowotworów w UE; odpowiada za 15–20% przypadków raka w Europie.** Następne są czynniki związane ze stylem życia (nadwaga lub otyłość, niezdrowa dieta, brak aktywności fizycznej i spożywanie alkoholu) oraz zakażenia wirusami lub bakteriami rakotwórczymi (zwłaszcza HPV (wirusem brodawczaka ludzkiego), HBV i HCV (wirusami zapalenia wątroby typu B i C) oraz *Helicobacter pylori*). Rozwojowi nowotworów sprzyjają również czynniki środowiskowe (promieniowanie UV i promieniowanie jonizujące, zanieczyszczenia powietrza, wody i gleby), czynniki zawodowe (takie jak narażenie na działanie azbestu lub metali ciężkich) oraz czynniki biologiczne lub wewnętrzne (brak karmienia piersią, hormonalna terapia zastępcza po menopauzie i rakotwórcze leki).

Znajomość czynników rakotwórczych pozwala na opracowanie zindywidualizowanych prognoz ryzyka zachorowania na raka oraz na stratyfikację ryzyka w leczeniu choroby nowotworowej, czyli opracowanie odrębnych, dostosowanych do ryzyka strategii w zależności od poziomu ryzyka zachorowania na raka u poszczególnych osób. Strategie takie można wykorzystać w profilaktyce raka i jego wcześniejszym wykrywaniu; postrzega się je jako obiecującą perspektywę zmniejszenia obciążenia chorobami nowotworowymi i poprawy stosunku kosztów do wyników w leczeniu tych chorób.

UE powinna zatem wspierać lepsze włączenie prognozowania ryzyka zachorowania na raka i stratyfikacji ryzyka do strategii zwalczania raka. Europejski zestaw wskaźników dotyczących raka, umożliwiający monitorowanie dostępu pacjentów chorych na raka do wysokiej jakości opieki w całej Europie, powinien obejmować dostęp do testów genetycznych pod kątem linii germlinalnej i odpowiednie poradnictwo genetyczne. Opracowanie lub zatwierdzenie jasnych wytycznych na szczeblu europejskim może również okazać się kluczowe dla zapewnienia osobom zdrowym i pacjentom chorym na raka najlepsze standardy kliniczne i etyczne w odniesieniu do testów genetycznych.

1.1. Przyczyny raka

1.1.1. Mechanizmy karcynogenezy

a. „Geny nowotworowe”: mutacje genetyczne

Raka można zdefiniować jako chorobę polegającą na niepożądanym rozwoju komórek, narastających i namnażających się w organizmie danej osoby w sposób niekontrolowany.

Karcynogeneza (rozwój nowotworu) jest przede wszystkim **wynikiem mutacji** (nieprawidłowości) DNA komórek w organizmie; dotyczą one dwóch głównych kategorii genów:

- stymulujących lub hamujących wzrost i podział komórek (zwanymi odpowiednio protoonkogenami i antyonkogenami);
- kontrolujących integralność DNA (znanymi jako geny naprawy DNA)^{1,2}.

Mutacje w protoonkogenach i antyonkogenach powodują podatność komórek na podtrzymywanie przewlekłej proliferacji, a mutacje w genach naprawy DNA powodują niestabilność genomu w komórkach, tj. zwiększoną skłonność do nabywania kolejnych mutacji, w tym niektórych sprzyjających karcynogenezie. Akumulacja tych zmian genetycznych prowadzi ostatecznie do rozwoju nowotworu złośliwego, tj. masy komórek nowotworowych zdolnych do niekontrolowanego wzrostu i podziału, a także do inwazji okolicznych tkanek (proces ten nazywamy przerzutowaniem)^{3,4}. Geny takie nazywa się czasem „**genami nowotworowymi**”⁵.

b. Geneza mutacji nowotworowych: podatność genetyczna i czynniki ryzyka zachorowania

Można wskazać dwa rodzaje mutacji nowotworowych: mutacje germinalne (dziedziczne) oraz mutacje somatyczne (nabyte), w zależności od miejsca i czasu ich wystąpienia.

i. *Mutacje germinalne i genetyczna podatność na raka*

Mutacje nowotworowe mogą być dziedziczone po rodzicach; oznacza to, że są one obecne w komórkach rozrodczych rodzica (lub obojga rodziców), a zatem są włączane do DNA każdej komórki potomstwa. Dlatego nosiciele takich mutacji są od urodzenia **genetycznie podatni na raka** w stopniu zależnym od danej mutacji. Chociaż te czynniki dziedziczne uczestniczą w rozwoju nowotworów, to przyczyniają się tylko do **5–10% przypadków raka**^{6,7,8}.

¹ Europejski kodeks walki z rakiem, nota faktograficzna na temat przyczyn raka: <https://cancer-code-europe.iarc.fr/index.php/pl/o-raku/co-powoduje-raka> (dostęp: marzec 2020 r.).

² Nota faktograficzna amerykańskiego Narodowego Instytutu Raka na temat przyczyn raka: <https://www.cancer.gov/about-cancer/understanding/what-is-cancer> (dostęp: marzec 2020 r.).

³ Zob. definicję nowotworu opracowaną przez amerykański Narodowy Instytut Raka: <https://www.cancer.gov/publications/dictionaries/cancer-terms/def/malignancy> (dostęp: maj 2020 r.).

⁴ Guzy złośliwe definiuje się przez zestawienie z guzami łagodnymi (nienowotworowymi), które nie nabyły kluczowych cech raka, np. zdolności do niekontrolowanego wzrostu i inwazji okolicznych tkanek. Zob. definicję nowotworu łagodnego opracowaną przez amerykański Narodowy Instytut Raka: <https://www.cancer.gov/publications/dictionaries/cancer-terms/def/benign-tumor> (dostęp: maj 2020 r.).

⁵ Nota faktograficzna amerykańskiego Narodowego Instytutu Raka na temat przyczyn raka: <https://www.cancer.gov/about-cancer/understanding/what-is-cancer> (dostęp: marzec 2020 r.).

⁶ Schüz J., Espina C., Wild C.P., Primary prevention: a need for concerted action. *Mol Oncol*, marzec 2019 r.; 13(3): s. 528–534.

⁷ Lichtenstein P., Holm N.V., Verkasalo P.K. i in., Environmental and heritable factors in the causation of cancer—analyses of cohorts of twins from Sweden, Denmark, and Finland. *N Engl J Med*, 13 lipca 2000 r.; 343(2): s. 78–58.

⁸ Mucci L.A., Hjelmborg J.B., Harris J.R. i in., Nordic Twin Study of Cancer (NorTwinCan) Collaboration (2016) Familial risk and heritability of cancer among twins in Nordic countries. *JAMA*, 5 stycznia 2016 r.; 315(1): s. 68–76.

Mutacje germinalne zwiększają u nosicieli ryzyko zachorowania na raka; w niektórych przypadkach o bardzo wysokiej penetracji⁹ ryzyko jest bliskie 100% (np. siatkówczak dziedziczny¹⁰). Można wyróżnić dwie kategorie mutacji germinalnych:

- zespoły dziedzicznie uwarunkowanej predyspozycji do raka, w tym mutacje niosące wysokie ryzyko raka, np. zespół Lyncha (dziedziczny rak jelita grubego spowodowany mutacjami w genach naprawy DNA) czy dziedziczny rak piersi (spowodowany zwłaszcza mutacjami w antyjonkogenach, takich jak BRCA1 i BRCA2);
- poligeniczne predyspozycje do raka, gdy nagromadzenie w DNA członków jednej rodziny mutacji pojedynczo niosących niskie lub umiarkowane ryzyko raka powoduje wśród tych osób wysoki współczynnik zachorowalności¹¹; takie nagromadzenie określa się jako poligeniczny wskaźnik ryzyka.

Co istotne, takie genetyczne czynniki ryzyka powodują **agregację nowotworów w rodzinach**^{12,13} lub innych grupach o względnej jednorodności genetycznej dotkniętych „mutacjami założycielskimi” predysponującymi do raka¹⁴; za przykład mogą posłużyć mutacje związane z rakiem piersi u Żydówek aszkenazyjskich¹⁵. Dlatego też **„dodatni wywiad rodzinny w kierunku raka”**, czyli wcześniejsze wystąpienie raka u co najmniej jednego członka rodziny czy przynależność do grupy dotkniętej mutacjami założycielskimi związanymi z predyspozycją do raka, **trzeba uznać za „wskaźnik ryzyka zachorowania na raka”**.

Należy jednak podkreślić, że dodatni wywiad rodzinny w kierunku raka ma swoje ograniczenia, np. w przypadku małych rodzin. Również **młody wiek w momencie rozpoznania** takiego typu nowotworu i występowanie **wielu guzów pierwotnych** może wskazywać, że pacjent miał genetyczną predyspozycję do raka. U jego zdrowych krewnych mogą występować takie same defekty genetyczne, a zatem zwiększone ryzyko zachorowania na raka.

Łącznie wskaźniki te mogą uzasadniać wykonanie testów genetycznych, by potwierdzić podejrzenie obecności mutacji germinalnych warunkujących predyspozycje do raka i w razie potrzeby zastosować dostosowane do ryzyka strategie zapobiegania nowotworom i ich wczesnego wykrywania¹⁶.

⁹ Penetrację definiuje się w epidemiologii jako odsetek osób o określonym genotypie związanym z daną chorobą (tj. z co najmniej jedną mutacją genetyczną zwiększającą ryzyko choroby), u których występuje również odpowiedni fenotyp (tj. rozwija się u nich dana choroba).

¹⁰ Zob. nota faktograficzna amerykańskiego Narodowego Instytutu Raka na temat przyczyn siatkówczaka: <https://www.cancer.org/cancer/retinoblastoma/causes-risks-prevention/what-causes.html> (dostęp: maj 2020 r.).

¹¹ Współczynnik zachorowalności definiuje się w epidemiologii jako liczbę nowych zachorowań w określonym przedziale czasowym (np. rok).

¹² Frank C., Sundquist J., Yu H. i in., Concordant and discordant familial cancer: Familial risks, proportions and population impact. *Int J Cancer*, 1 kwietnia 2017 r.; 140(7): s. 1510–1516.

¹³ Yu H., Frank C., Sundquist J. i in., Common cancers share familial susceptibility: implications for cancer genetics and counselling. *J Med Genet*, kwiecień 2017 r.; 54(4): s. 248–253.

¹⁴ Mutacje założycielskie definiuje się jako zmiany genetyczne obserwowane z dużą częstotliwością w grupie, która jest lub była geograficznie lub kulturowo izolowana i w której co najmniej jeden z przodków był nosicielem zmienionego genu. Zob. definicja mutacji założycielskich opracowana przez amerykański Narodowy Instytut Raka: <https://www.cancer.gov/publications/dictionaries/genetics-dictionary/def/founder-mutation> (dostęp: maj 2020 r.).

¹⁵ Zob. nota faktograficzna amerykańskich Centrów Kontroli i Prewencji Chorób na temat Żydówek i mutacji genu BRCA: https://www.cdc.gov/cancer/breast/young_women/bringyourbrave/hereditary_breast_cancer/jewish_women_brca.htm (dostęp: maj 2020 r.).

¹⁶ Zob. sekcja 1.1.3. o przewidywaniu ryzyka zachorowania na raka i strategiach dostosowanych do ryzyka.

ii. *Mutacje somatyczne i czynniki ryzyka zachorowania na raka*

W zdecydowanej większości przypadków rak jest spowodowany mutacjami somatycznymi (nabytymi), tj. powstałymi w ciągu życia pacjenta w danej tkance w wyniku narażenia na czynniki środowiskowe lub w wyniku przypadkowych zmian genetycznych przy replikacji DNA^{17, 18, 19, 20, 21, 22}.

Zazwyczaj nie można jednoznacznie stwierdzić, dlaczego dany pacjent nabył nowotworowe mutacje somatyczne, które następnie rozwinęły się w raka. Niemniej jednak **badania epidemiologiczne pozwoliły na wskazanie czynników ryzyka zachorowania na raka**, które przez różne mechanizmy zakłócają funkcjonowanie komórek i sprzyjają karcynogenezie²³.

Co istotne, **potwierdzenie tych czynników**, prowadzące do dalszych badań nad środkami profilaktyki pierwotnej, **wymaga rygorystycznej naukowej oceny ryzyka**, w tym wystarczających dowodów na rakotwórczość danego czynnika u ludzi, aby ocenić potencjalny wpływ narażenia na potencjalny czynnik ryzyka w określonej populacji. Globalnym punktem odniesienia w tym zakresie jest program monografii Międzynarodowej Agencji Badań nad Rakiem (IARC) dotyczący identyfikacji czynników ryzyka zachorowania na raka dla ludzi; w programie tym regularnie publikuje się i aktualizuje – na podstawie najnowszych danych naukowych – wykazy potwierdzonych lub potencjalnych czynników rakotwórczych^{24, 25, 26, 27}.

c. *„Cechy wyróżniające nowotworów”: kluczowe etapy procesu karcynogenezy*

Co istotne, zdrowy organizm może się broić na wiele sposobów przed karcynogenezą, zarówno na poziomie wewnątrzkomórkowym (we wszystkich komórkach organizmu, przez zapobieganie nabywaniu przez nie wyżej opisanych mutacji nowotworowych i rozwojowi nowotworu), jak i na poziomie zewnątrzkomórkowym, przez nadzór immunologiczny prowadzony przez wyspecjalizowane komórki układu odpornościowego. **Karcynogeneza jest zatem złożonym, wieloetapowym procesem, wymagającym od grup uprzednio zdrowych komórek pokonania licznych barier.** W ciągu ostatnich dziesięcioleci postęp w genetyce i biologii molekularnej pozwolił lepiej zrozumieć ten proces i wskazać zestaw **kluczowych cech** zwanych „**wyróżnikami nowotworu**”, **które muszą wystąpić, by dana komórka i dany guz w pełni rozwinęły się w nowotwór.** Sześć takich „wyróżników” wskazano najpierw w przełomowym artykule z 2000 r.²⁸; w 2011 r. ci sami autorzy opracowali zmienioną listę 10 wyróżników, co umożliwiło dalszy postęp w badaniach nad rakiem.

¹⁷ Schüz J., Espina C., Wild C.P., Primary prevention: a need for concerted action. *Mol Oncol*, marzec 2019 r.; 13(3): s. 578–567.

¹⁸ Klutstein M., Moss J., Kaplan T. i in., Contribution of epigenetic mechanisms to variation in cancer risk among tissues. *Proc Natl Acad Sci U S A*, 28 lutego 2017 r.; 114(9): s. 2230–2234.

¹⁹ Nowak M.A., Wadaw B., Genes, environment, and "bad luck". *Science*, 24 marca 2017 r.; 355(6331): s. 1266–1267.

²⁰ Tomasetti C., Vogelstein B., Cancer etiology. Variation in cancer risk among tissues can be explained by the number of stem cell divisions. *Science*, 2 stycznia 2015 r.; 347(6217): s. 78–81.

²¹ Tomasetti C., Li L. i Vogelstein B., Stem cell divisions, somatic mutations, cancer etiology, and cancer prevention. *Science*, 24 marca 2017 r.; 355(6331): s. 1330–1334.

²² Wild C.P., Espina C., Bauld L. i in., Cancer Prevention Europe. *Mol Oncol*, marzec 2019 r.; 13(3): s. 528–534.

²³ Zob. sekcja 1.1.2. o modyfikowalnych czynnikach ryzyka zachorowania na raka.

²⁴ Schüz J., Espina C., Wild C.P., Primary prevention: a need for concerted action. *Mol Oncol*, marzec 2019 r.; 13(3): s. 528–534.

²⁵ International Agency for Research on Cancer (IARC)'s Monographs on the identification of carcinogenic hazards to humans. List of classified agents, t. 1–125: <https://monographs.iarc.fr/agents-classified-by-the-iarc/> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

²⁶ Coglianò V.J., Baan R., Straif K. i in., Preventable exposures associated with human cancers. *J Natl Cancer Inst*, 21 grudnia 2011 r.; 103(24): s. 39–1827.

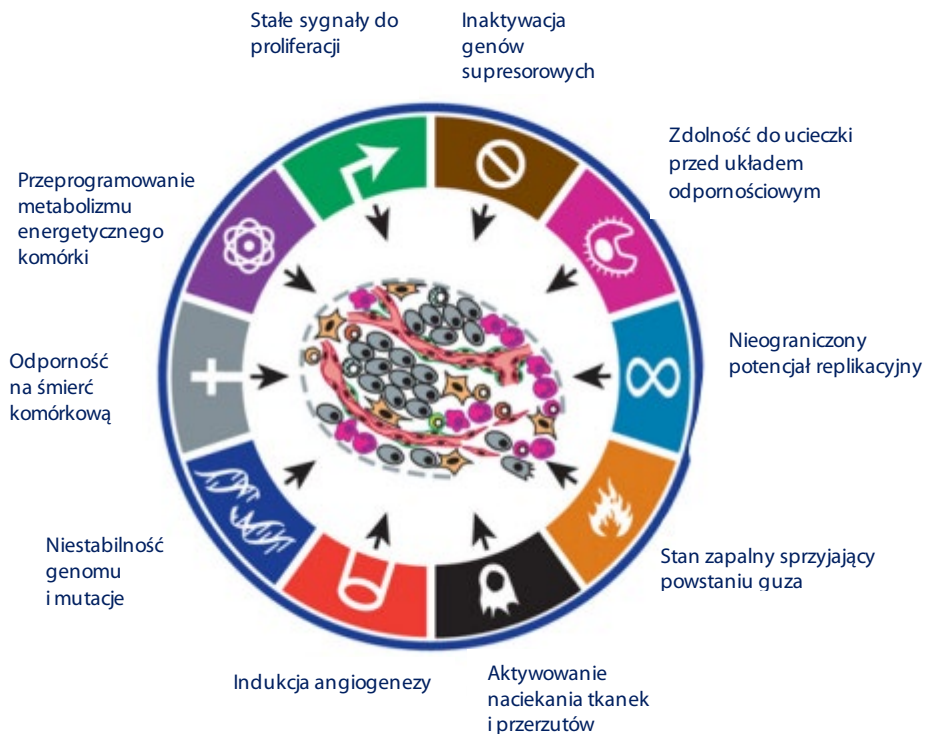
²⁷ Pearce N., Blair A., Vineis P. i in., IARC monographs: 40 years of evaluating carcinogenic hazards to humans. *Environ Health Perspect*, styczeń 2015 r.; 123(6): s. 14–507.

²⁸ Hanahan D., Weinberg R.A., The hallmarks of cancer. *Cell*, 7 stycznia 2000 r.; 100(1): s. 57–70.

Do 10 wyróżników raka należą:

- dwie „cechy umożliwiający”, dające komórkom i guzom zdolność do nabywania cech nowotworowych (niestabilność genomu i stan zapalny sprzyjający powstaniu nowotworu);
- osiem „cech funkcjonalnych”, które pozwalają komórkom nowotworowym przetrwać, proliferować i rozprzestrzeniać się²⁹.

Rysunek 1: Wyznaczniki raka



Źródło: Na podstawie Hanahan D, Weinberg RA. Hallmarks of cancer: the next generation. *Cell*, 4 marca 2011 r.; 144(5): s. 74–646.

Guzy powstałe w procesie karcynogenezy w **wieloaspektowo wpływają na fizjologię chorego**, a jeśli nie są skutecznie leczone, mogą prowadzić do **niewydolności wielonarządowej i śmierci**.

d. Niejednorodność nowotworów: główne rodzaje raka i związane z nimi obciążenia

Opisany powyżej proces karcynogenezy prowadzi do **powstania wielu rodzajów raka**. Rozwój wiedzy o biologii nowotworów i ich charakterystyce molekularnej ujawnia zakres ich niejednorodności i pozwala na wskazanie setek różnych rodzajów nowotworów.

Klasyfikuje się je przede wszystkim na podstawie lokalizacji anatomicznej guza, czyli organu, w którym pierwotnie doszło do karcynogeneza. W UE narządami najczęściej atakowanymi przez raka są **piersi, jelito grube, prostata i płuca**; w 2018 r. odnotowano **ponad 300 000 nowych przypadków raka każdego z tych narządów**. Spośród wspomnianych nowotworów **najbardziej śmiertelny jest rak płuc – odpowiada za ponad 150 000 zgonów rocznie w UE**; następne w kolejności są rak piersi i rak trzustki, które w 2018 r. doprowadziły w UE do ponad 80 000 zgonów (zob. załącznik 1³⁰).

²⁹ Hanahan D., Weinberg R.A., Hallmarks of cancer: the next generation. *Cell*, 4 marca 2011 r.; 144(5): s. 74–646.

³⁰ Epidemiologia najczęściej występujących nowotworów w UE w 2018 r. Dane uzyskane z Global Cancer Observatory IARC, dostępne na stronie internetowej: <https://gco.iarc.fr/> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

Ponadto nowotwory klasyfikuje się i nazywa według typu komórki, w której przede wszystkim występuje nieprawidłowa proliferacja. Najczęściej są to komórki nabłonkowe, tj. pokrywające powierzchnię ciała oraz jam i narządów wewnętrznych; odpowiadają one na przykład za znaczną większość czy wręcz za wszystkie nowotwory piersi, jelita grubego, prostaty i płuc; w tym przypadku rak nazywany jest **carcinoma**. Złośliwa proliferacja może jednak dotknąć wiele innych typów komórek, w szczególności:

- tkanki kostne i miękkie, w tym mięśniową, tłuszczową, naczynia krwionośne, naczynia limfatyczne i tkankę włóknistą (**mięsaki**);
- komórki krwiotwórcze w szpiku kostnym (**białaczka**);
- zróżnicowane komórki układu odpornościowego, np. limfocyty T i B (**chłoniaki**) lub komórki plazmatyczne (**szpiczaki mnogie**);
- melanocyty, tj. wyspecjalizowane komórki skóry odpowiedzialne za produkcję melaniny (**czerniaki**)³¹.

Dalej nowotwory klasyfikuje się według zmian genetycznych powodujących karcynogenezę; rodzaje tych zmian wpływają zarówno na fizjopatologię pacjenta, jak i na leczenie, jakiemu można go poddać

Łącznie w UE wszystkie te rodzaje raka dotykają prawie 3 mln osób rocznie i odpowiadają za 1,2 mln zgonów.

1.1.2. Modyfikowalne czynniki ryzyka zachorowania na raka

Zgodnie z najnowszymi dostępnymi szacunkami **obecnie w Europie można by zapobiec około 40% wszystkich nowotworów, konkretnie tym związanym z czynnikami ryzyka, których można uniknąć (lub które można modyfikować)**^{32,33,34}. Jak widać na rysunku 2, czynniki te obejmują (od największego do najmniejszego odsetka obciążenia nowotworami, które można przypisać określonym czynnikom):

- czynniki związane ze stylem życia: używanie tytoniu i palenie, nadwaga lub otyłość, złe nawyki żywieniowe, niski poziom aktywności fizycznej oraz nadmierne spożycie alkoholu;
- zakażenia wirusami lub bakteriami rakotwórczymi, zwłaszcza HPV (wirus brodawczaka ludzkiego), HBV i HCV (wirusy zapalenia wątroby typu B i C) oraz *Helicobacter pylori*;
- czynniki środowiskowe: promieniowanie UV i promieniowanie jonizujące, zanieczyszczenie powietrza, wody i gleby, naturalnie występujące czynniki rakotwórcze;
- czynniki zawodowe, np. narażenie na działanie azbestu lub metali ciężkich;

³¹ Nota faktograficzna „Czym jest rak?” dostępna na stronie internetowej amerykańskiego Narodowego Instytutu Raka: <https://www.cancer.gov/about-cancer/understanding/what-is-cancer> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

³² Brown K.F., Rumgay H., Dunlop C. i in., The fraction of cancer attributable to modifiable risk factors in England, Wales, Scotland, Northern Ireland, and the United Kingdom in 2015. Br J Cancer, kwiecień 2018 r.; 118(8): s. 1130–1141.

³³ IARC (2018). Les cancers attribuables au mode de vie et à l'environnement en France métropolitaine. Lyon: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem. Dostępne na stronie internetowej: http://qco.iarc.fr/resources/paf-france_fr.php (dostęp: maj 2020 r.).

³⁴ Islami F., Goding Sauer A., Miller K.D. i in., Proportions and numbers of cancer cases and deaths attributable to potentially modifiable risk factors in the United States. CA Cancer J Clin, styczeń 2018 r.; 68(1): s. 31–54.

- czynniki medyczne lub reprodukcyjne: czynniki reprodukcyjne i hormonalne (brak karmienia piersią, hormonalna terapia zastępcza po menopauzie) oraz rakotwórcze leki farmaceutyczne³⁵.

Rysunek 2: Przyczyny raka – odsetek nowotworów, które można przypisać modyfikowalnym czynnikom ryzyka



Źródło: IARC (2018). Les cancers attribuables au mode de vie et à l'environnement en France métropolitaine. Lyon: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem. Dostępne na stronie internetowej: http://qco.iarc.fr/resources/paf-france_fr.php

Uwaga: Przedstawione dane odnoszą się do odsetka populacji obliczonego dla głównych zidentyfikowanych modyfikowalnych czynników ryzyka zachorowania na raka, dla mieszkańców Francji powyżej 30 roku życia, w 2015 r. Dokładne dane liczbowe mogą być nieco inne w poszczególnych państwach, ale rzędy wielkości są takie same dla całej UE.

Potencjał profilaktyki jest bardzo różny w zależności od typu nowotworu: od około 100% (tytu przypadków raka szyjki macicy spowodowanych zakażeniem HPV można zapobiec) do 0% w przypadku raka prostaty i raka mózgu, w których nadal nie znamy modyfikowalnych czynników ryzyka (zob. załącznik 2³⁶).

Należy zauważyć, że ze względu na długi okres latencji od chwili narażenia na większość wymienionych czynników ryzyka zachorowania do chwili rozwoju nowotworu (od 10 do 20 lat) dane te prawdopodobnie nie odzwierciedlają ostatnich zmian pod względem narażenia na niektóre czynniki ryzyka, np. zanieczyszczenia powietrza, wody i gleby³⁷.

a. Czynniki ryzyka zachorowania na raka związane ze stylem życia

i. Używanie tytoniu i palenie

Epidemia tytoniu, zabijająca na całym świecie ponad 7 mln osób rocznie, należy do największych współczesnych zagrożeń dla zdrowia publicznego³⁸. W Europie konsumpcja tytoniu jest najwyższa na

³⁵ World Cancer Report 2014. Genewa, Szwajcaria: Światowa Organizacja Zdrowia, Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, WHO Press, 2015 r.

³⁶ Odsetek populacji dla wszystkich czynników ryzyka zachorowania na najczęściej występujące rodzaje raka w Europie (udział nowotworów, którym można zapobiec). Dane o szacowanej zachorowalności w 2012 r. uzyskano z Globalnego Obserwatorium Raka Międzynarodowej Agencji Badań nad Rakiem (<https://qco.iarc.fr>), dane o odsetku, który można przypisać do danego czynnika ryzyka, zaczerpnięto z Brown KF, Rumgay H, Dunlop C i in. The fraction of cancer attributable to modifiable risk factors in England, Wales, Scotland, Northern Ireland, and the United Kingdom in 2015. Br J Cancer, kwiecień 2018 r.; 118(8): s. 1130–1141.

³⁷ Schüz J., Espina C., Wild C.P., Primary prevention: a need for concerted action. Mol Oncol, marzec 2019 r.; 13(3): s. 528–534.

³⁸ WHO report on the global tobacco epidemic 2017. Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2017 r., dostępne na stronie internetowej: https://www.who.int/tobacco/global_report/en/ (dostęp: czerwiec 2020 r.).

świecie. Według szacunków regionalnych około 29% osób powyżej 15 roku życia używa wyrobów tytoniowych, przy czym wśród mężczyzn konsumpcja jest wyższa niż wśród kobiet^{39,40}.

Konsumpcja tytoniu, a zwłaszcza palenie papierosów to zdecydowanie najważniejsza możliwa do uniknięcia przyczyna raka w Unii Europejskiej. Wszystkie wyroby tytoniowe zawierają wiele substancji rakotwórczych. Konsumenci wyrobów tytoniowych są również narażeni na nikotynę, co u wielu z nich prowadzi do uzależnienia od tytoniu⁴¹.

Używanie tytoniu powoduje nowotwory wielu narządów i jest główną przyczyną raka tchawicy, oskrzeli i płuc, czyli około 90% przypadków śmiertelnych wśród zachorowań na te nowotwory^{42,43}. W 2018 r. w UE odnotowano około 313 000 nowych przypadków raka płuc i 258 000 zgonów z jego powodu⁴⁴. Według najnowszych szacunków ogółem w Europie około 15–20% przypadków zachorowań na raka^{45,46} i 27% zgonów z jego powodu^{47,48} można obecnie przypisać konsumpcji tytoniu. Ponadto u palaczy występuje większe ryzyko chorób układu krążenia i układu oddechowego; połowa z nich umiera przedwcześnie (żyją średnio 14 lat krócej). Ogólnie palenie tytoniu jest w UE przyczyną prawie 700 000 zgonów rocznie⁴⁹.

Należy zauważyć, że konsumpcja tytoniu obejmuje również używanie bezdymnych wyrobów tytoniowych; jest to niejednorodna kategoria produktów, które również są rakotwórcze, ale powodują mniej zgonów z powodu raka niż palenie papierosów.

Palenie powoduje powstanie wtórnego dymu tytoniowego (SHS), będącego potwierdzoną przyczyną raka płuc. Wdychania SHS przez osoby niepalące nie wyeliminowano jeszcze całkowicie w zamkniętych miejscach pracy czy w budynkach publicznych, a w domach osób palących jest ono zjawiskiem powszechnym⁵⁰.

ii. Otyłość, dieta i aktywność fizyczna

Otyłość i przyczyny raka

Szacuje się, że ponad połowa ludności UE ma nadwagę lub jest otyła z powodu braku równowagi między wydatkiem energetycznym a ilością dostarczonej energii. Wynika to z otyłościogenego środowiska wyzwań społeczno-kulturowych, gospodarczych i marketingowych dotyczących kontroli

³⁹ WHO global report on trends in prevalence of tobacco smoking 2000–2025, wyd. 2. Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2018 r. (<https://www.who.int/tobacco/publications/surveillance/trends-tobacco-smoking-second-edition/en/>; dostęp: czerwiec 2020 r.).

⁴⁰ WHO (2019) European tobacco use: Trends report 2019, publikacja dostępna pod adresem: <http://www.euro.who.int/en/health-topics/disease-prevention/tobacco/publications/2019/european-tobacco-use-trends-report-2019-2019> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

⁴¹ Leon M.E., Peru A., McNeill A. i in., Europejski kodeks walki z rakiem, wyd. 4: Tobacco and cancer. Cancer Epidemiol, grudzień 2015 r.; 39 Suppl 1: s. 33–520.

⁴² Stanowisko Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem w sprawie europejskiego planu walki z rakiem: Europejski kodeks walki z rakiem: https://www.iccp-portal.org/sites/default/files/resources/ECL-vision-EU-Beating-Cancer-Plan_final.pdf (dostęp: czerwiec 2020 r.).

⁴³ WHO (2019) European tobacco use: Trends report 2019: <http://www.euro.who.int/en/health-topics/disease-prevention/tobacco/publications/2019/european-tobacco-use-trends-report-2019-2019> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

⁴⁴ Dane dotyczące współczynnika zachorowalności i umieralności z powodu raka płuc w 2018 r. w UE pochodzą z Globalnego Obserwatorium Raka IARC: <https://gco.iarc.fr>.

⁴⁵ Brown K.F., Rumgay H., Dunlop C. i in., The fraction of cancer attributable to modifiable risk factors in England, Wales, Scotland, Northern Ireland, and the United Kingdom in 2015. Br J Cancer, kwiecień 2018 r.; 118(8): s. 1130–1141.

⁴⁶ IARC (2018). Les cancers attribuables au mode de vie et à l'environnement en France métropolitaine. Lyon: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem. Dostępne na stronie internetowej: http://gco.iarc.fr/resources/paf-france_fr.php (dostęp: maj 2020 r.).

⁴⁷ Stanowisko Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem w sprawie europejskiego planu walki z rakiem: Europejski kodeks walki z rakiem: https://www.iccp-portal.org/sites/default/files/resources/ECL-vision-EU-Beating-Cancer-Plan_final.pdf (dostęp: czerwiec 2020 r.).

⁴⁸ WHO (2019) European tobacco use: Trends report 2019: <http://www.euro.who.int/en/health-topics/disease-prevention/tobacco/publications/2019/european-tobacco-use-trends-report-2019-2019> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

⁴⁹ <https://www.europarl.europa.eu/news/pl/headlines/society/20160518STO27901/700-000-deaths-a-year-tackling-smoking-in-the-eu>.

⁵⁰ Leon ME, Peruga A, McNeill A, i in. Europejski kodeks walki z rakiem, wyd. 4: Tobacco and cancer. Cancer Epidemiol, grudzień 2015 r.; 39 Suppl 1: s. 33–520.

masy ciała. **Nadmiar tkanki tłuszczowej w organizmie kojarzony jest z dziewięcioma lokalizacjami nowotworów** (przełyk, jelito grube, pęcherzyk żółciowy, trzustka, piersi u kobiet po menopauzie, błona śluzowa macicy, jajnik, nerki i prostata [zaawansowane stadium])⁵¹, stanowiących szacunkowo **5–6,5% europejskiego obciążenia chorobami nowotworowymi**^{52,53}.

Dieta i przyczyny raka

Oprócz istotnego wpływu diety na ilość tkanki tłuszczowej, będącą czynnikiem ryzyka wystąpienia kilku nowotworów, badania eksperymentalne wykazały, że **dieta może wpływać na proces nowotworzenia jeszcze na kilka innych sposobów**. Szacunkowo temu wpływowi diety można przypisać **kolejne 4,5–5,5% obciążenia nowotworami w Europie**^{54,55}.

Badania prospektywne wykazały, że dieta charakteryzująca się wyższym spożyciem owoców, warzyw i produktów pełnoziarnistych oraz niższym spożyciem czerwonego i przetworzonego mięsa oraz soli wiąże się z mniejszym ryzykiem zgonu i zachorowania na raka, a zdrowa dieta może poprawić ogólną przeżywalność po rozpoznaniu raka piersi i raka jelita grubego. Istnieją dowody na to, że wysokie spożycie owoców i warzyw może zmniejszyć ryzyko zachorowania na raka przewodu pokarmowego, a błonnik chroni przed rakiem jelita grubego.

Spożywanie czerwonego i przetworzonego mięsa zwiększa ryzyko zachorowania na raka jelita grubego. Dieta bogata w **produkty wysokokaloryczną, czyli tłuste i słodkie potrawy**, może prowadzić do zwiększonego spożycia kalorii, a tym samym sprzyjać otyłości i zwiększać ryzyko zachorowania na raka. Istnieją pewne dowody na to, że **spożywanie słodzonych napojów** zwiększa ryzyko raka trzustki⁵⁶.

Aktywność fizyczna i przyczyny raka

Aktywność fizyczna to złożony, wieloaspektowy typ zachowań, które często trudno zmierzyć. Niemniej jednak dane z badań na reprezentatywnych próbach pokazują, że 35% dorosłych Europejczyków nie jest aktywnych fizycznie.

Niewystarczający poziom aktywności fizycznej jest niepokojący, gdyż istnieją poważne dowody na to, że **aktywność fizyczna zmniejsza ryzyko wystąpienia raka okrężnicy, błony śluzowej trzonu macicy i piersi**. Uznaje się na przykład, że niewystarczający poziom aktywności fizycznej jest przyczyną 9% przypadków raka piersi i 10% przypadków raka jelita grubego w Europie. Uważa się też, że niewystarczająca aktywność fizyczna **odpowiada za około 0,5–1% obciążenia chorobami nowotworowymi w Europie**^{57,58}.

⁵¹ Anderson A.S., Key T.J., Norat T. i in., Europejski kodeks walki z rakiem, wyd. 4: Obesity, body fatness and cancer. Cancer Epidemiol, grudzień 2015 r.; 39 Suppl 1: s. 45–534.

⁵² Brown K.F., Rumgay H., Dunlop C. i in., The fraction of cancer attributable to modifiable risk factors in England, Wales, Scotland, Northern Ireland, and the United Kingdom in 2015. Br J Cancer, kwiecień 2018 r.; 118(8): s. 1130–1141.

⁵³ IARC (2018). Les cancers attribuables au mode de vie et à l'environnement en France métropolitaine. Lyon: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem. Dostępne na stronie internetowej: http://gco.iarc.fr/resources/paf-france_fr.php (dostęp: maj 2020 r.).

⁵⁴ Brown K.F., Rumgay H., Dunlop C. i in., The fraction of cancer attributable to modifiable risk factors in England, Wales, Scotland, Northern Ireland, and the United Kingdom in 2015. Br J Cancer, kwiecień 2018 r.; 118(8): s. 1130–1141.

⁵⁵ IARC (2018). Les cancers attribuables au mode de vie et à l'environnement en France métropolitaine. Lyon: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem. Dostępne na stronie internetowej: http://gco.iarc.fr/resources/paf-france_fr.php (dostęp: maj 2020 r.).

⁵⁶ Norat T., Scocianti C., Boutron-Ruault M.C. i in., Europejski kodeks walki z rakiem, wyd. 4: Diet and cancer. Cancer Epidemiol, grudzień 2015 r.; 39 Suppl 1: s. 66–556.

⁵⁷ Brown K.F., Rumgay H., Dunlop C. i in., The fraction of cancer attributable to modifiable risk factors in England, Wales, Scotland, Northern Ireland, and the United Kingdom in 2015. Br J Cancer, kwiecień 2018 r.; 118(8): s. 1130–1141.

⁵⁸ IARC (2018). Les cancers attribuables au mode de vie et à l'environnement en France métropolitaine. Lyon: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem. Dostępne na stronie internetowej: http://gco.iarc.fr/resources/paf-france_fr.php (dostęp: maj 2020 r.).

W ostatnich latach za kolejny potencjalny niezależny czynnik warunkujący ryzyko zachorowania na raka uznano siedzący tryb życia. U osób, które przebyły chorobę nowotworową, aktywność fizyczna pozytywnie wpływa na skład masy ciała, sprawność fizyczną, jakość życia, poziom lęku i poczucie własnej wartości.

Aktywność fizyczna może również zwiększać przeżywalność, jednak powiązanie większej aktywności fizycznej z taką większą przeżywalnością wymaga przedstawienia dalszych dowodów⁵⁹.

iii. *Alkohol*

Spożywanie alkoholu to problem w dziedzinie zdrowia publicznego w Europie; powoduje wiele przewlekłych schorzeń i wiele urazów oraz zajmuje trzecie miejsce wśród czynników ryzyka chorób i umieralności w Europie⁶⁰.

W monografiach IARC na temat ryzyka zachorowania na raka u ludzi zaliczono alkohol etylowy i aldehyd octowy zawarte w napojach alkoholowych do substancji rakotwórczych dla ludzi⁶¹; ustalono **związek przyczynowy** między spożywaniem napojów alkoholowych a rakiem jamy ustnej, gardła, krtani, przełyku, wątroby, jelita grubego i piersi.

Im większe spożycie alkoholu, tym wyższe ryzyko zachorowania na raka. Szacuje się, że w Europie **10% nowotworów u mężczyzn i 3% nowotworów u kobiet wynika ze spożycia alkoholu⁶².**

b. *Zakażenie wirusami lub bakteriami rakotwórczymi*

Przewlekłe zakażenia wirusami lub bakteriami zaliczono do istotnych czynników ryzyka wystąpienia określonych rodzajów nowotworów. IARC uznała łącznie 11 czynników zakaźnych⁶³ za potwierdzone czynniki rakotwórcze, najczęściej o bardzo wysokim ryzyku względnym rozwoju raka u osób zakażonych (>10) w porównaniu z osobami niezakażonymi⁶⁴. Cztery z tych czynników zakaźnych mają związek ze znacznym obciążeniem chorobami nowotworowymi w Europie i powodują niemal wszystkie nowotwory związane z zakażeniami w Europie:

i. *Brodawczak ludzki (HPV) a powstawanie raka*

Brodawczak ludzki (HPV) to nazwa dużej grupy ponad 100 podtypów wirusa współodpowiedzialnych za bardzo częste infekcje przenoszone drogą płciową: do 90% aktywnych seksualnie kobiet i mężczyzn zakazi się HPV⁶⁵. Zakażenie zazwyczaj ustępuje bezobjawowo w ciągu roku do dwóch lat, ale u osób, których układ odpornościowy nie zwalczy zakażenia HPV, niektóre podtypy wirusa mogą przez dłuższy czas powodować różnego rodzaju nowotwory⁶⁶.

⁵⁹ Leitzmann M., Powers H., Anderson A.S. i in., Europejski kodeks walki z rakiem, wyd. 4: Physical activity and cancer. Cancer Epidemiol., grudzień 2015 r.; 39 Suppl 1: s. 55–546.

⁶⁰ Stanowisko Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem w sprawie europejskiego planu walki z rakiem: Europejski kodeks walki z rakiem: https://www.iccp-portal.org/sites/default/files/resources/ECL-vision-EU-Beating-Cancer-Plan_final.pdf (dostęp: czerwiec 2020 r.).

⁶¹ International Agency for Research on Cancer (IARC)'s Monographs on the identification of carcinogenic hazards to humans. List of classified agents, t. 1–125: <https://monographs.iarc.fr/agents-classified-by-the-iarc/> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

⁶² Scoccianti C., Cecchini M., Anderson A.S. i in., Europejski kodeks walki z rakiem, wyd. 4: Alcohol drinking and cancer. Cancer Epidemiol., grudzień 2016 r.; 45: s. 181–188.

⁶³ International Agency for Research on Cancer (IARC)'s Monographs on the identification of carcinogenic hazards to humans. List of classified agents, t. 1–125: <https://monographs.iarc.fr/agents-classified-by-the-iarc/> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

⁶⁴ World Cancer Report 2014. Genewa, Szwajcaria: Światowa Organizacja Zdrowia, Międzynarodowa Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, WHO Press, 2015 r.

⁶⁵ Europejska Organizacja ds. Raka. Eliminating HPV-caused cancers and diseases in Europe: Case for Action. <https://www.european-cancer.org/resources/51:eliminating-hpv-caused-cancers-and-diseases-in-europe-case-for-action.html> (opublikowano w grudniu 2019 r.; dostęp: czerwiec 2020 r.).

⁶⁶ Wild C.P., Weiderpass E., Stewart B.W., red. (2020). World Cancer Report: Cancer Research for Cancer Prevention. Lyon, Francja: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem.

HPV to obecnie najczęstsza w Europie przyczyna nowotworów związanych z zakażeniami; odpowiada za około 1,8% obciążenia chorobami nowotworowymi w Europie⁶⁷ i 3,8% takiego obciążenia na świecie. Jest przyczyną wszystkich przypadków raka szyjki macicy i raka płaskonabłonkowego odbytu, a także – w różnym stopniu – innych nowotworów narządów płciowych (25% nowotworów sromu, 53% nowotworów prącia i 78% nowotworów pochwy), 30% nowotworów jamy nosowo-gardłowej oraz 2% nowotworów jamy ustnej i krtani na świecie⁶⁸. Co znaczące, **20–30% nowotworów spowodowanych przez HPV występuje u mężczyzn i widoczna jest w tym zakresie tendencja wzrostowa⁶⁹.**

IARC zaliczyła 12 podtypów HPV do potwierdzonych czynników rakotwórczych⁷⁰. Poziom ryzyka zachorowania związany z każdym z tych podtypów może być inny; dwa z nich (HPV16 i HPV18) są odpowiedzialne za większość nowotworów szyjki macicy⁷¹, co ma to duże znaczenie w pracach nad szczepionką przeciwko HPV.

ii. *Helicobacter pylori* i powstawanie raka

Helicobacter pylori zaraża głównie dzieci drogą kropelkową lub fekalno-oralną; w krajach rozwiniętych występuje tendencja spadkowa chorobowości⁷²; bakteria ta powoduje przewlekłe zapalenie żołądka i u niewielkiego odsetka zakażonych powoli (w czasie kilkudziesięciu lat) prowadzi do powstania dwóch typów raka żołądka. Bakterię tę **wiąże się głównie z dwoma typami raka żołądka** występującymi w Europie: przypisuje się jej około 89% przypadków niekardialnego raka żołądka i 73% przypadków nieziarniczego chłoniaka żołądka na świecie. Ogółem *Helicobacter pylori* odpowiada za około 1,3% obciążenia chorobami nowotworowymi w Europie⁷³.

iii. *Wirusy zapalenia wątroby typu B i C (HBV i HCV) i powstawanie raka*

Wirusy zapalenia wątroby typu B i C (HBV i HCV) są bardzo powszechne; nosicielami każdego z nich jest obecnie ponad 200 mln osób na świecie; przenoszony jest głównie drogą okołoporodową, pozajelitową (np. transfuzja krwi lub zakażenie dożylnie) i płciową. Ryzyko przewlekłego nosicielstwa jest znacznie wyższe u niemowląt (90%) niż u osób zakażonych w wieku dorosłym (5%). Ten ostatni typ przenoszenia zakażenia występuje głównie w krajach o wysokich dochodach. **HBV i HCV są głównymi przyczynami raka wątroby, odpowiedzialnymi łącznie za około 75% przypadków raka wątrobowokomórkowego na świecie.** Ponadto HCV uczestniczy w powstawaniu niektórych B-komórkowych chłoniaków nieziarnicznych (około 3% przypadków tych chłoniaków na świecie).

Inne czynniki zakaźne uznane przez IARC za rakotwórcze, a obecne w Europie, to **wirus Epsteina-Barra (EBV)**, wiązany z szeregiem chłoniaków i przypadków raka jamy nosowo-gardłowej, oraz **herpeswirus**

⁶⁷ IARC (2018). Les cancers attribuables au mode de vie et à l'environnement en France métropolitaine. Lyon: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem. Dostępne na stronie internetowej: http://qco.iarc.fr/resources/paf-france_fr.php (dostęp: maj 2020 r.).

⁶⁸ De Martel C., Georges D., Bray F. i in., Global burden of cancers attributable to infections in 2018: a worldwide incidence analysis. *Lancet Glob Health*, luty 2020 r.; 8(2): e180–90.

⁶⁹ Hartwig S., Syrjänen S., Dominiak-Felden G. i in., Estimation of the epidemiological burden of human papillomavirus-related cancers and non-malignant diseases in men in Europe: a review. *BMC Cancer*, 20 stycznia 2012 r.; 12(30).

⁷⁰ International Agency for Research on Cancer (IARC)'s Monographs on the identification of carcinogenic hazards to humans. List of classified agents, t. 1–125: <https://monographs.iarc.fr/agents-classified-by-the-iarc/> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

⁷¹ Wild C.P., Weiderpass E., Stewart B.W., red. (2020). *World Cancer Report: Cancer Research for Cancer Prevention*. Lyon, Francja: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem.

⁷² Współczynnik chorobowości definiuje się w epidemiologii jako liczbę osób dotkniętych w danym czasie określoną chorobą w określonej populacji.

⁷³ IARC (2018). Les cancers attribuables au mode de vie et à l'environnement en France métropolitaine. Lyon: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem. Dostępne na stronie internetowej: http://qco.iarc.fr/resources/paf-france_fr.php (dostęp: maj 2020 r.).

mięsaka Kaposiego (KSHV, znany również jako ludzki herpeswirus typu 8), któremu przypisuje się wszystkie przypadki mięsaka Kaposiego^{74,75}.

Według najnowszych szacunków zakażenia te odpowiadają łącznie za około **3,5–4% obciążenia chorobami nowotworowymi w Europie**^{76,77}.

Duże znaczenie dla zdrowia publicznego ma nadal w kilku krajach UE zakażenie ludzkim wirusem niedoboru odporności (HIV). Chociaż HIV nie jest bezpośrednim czynnikiem rakotwórczym, to zakażenie nim powoduje immunosupresję, a tym samym zwiększa ryzyko powstania licznych nowotworów wywoływanych przez inne infekcje, w tym mięsaków Kaposiego, chłoniaków, nowotworów szyjki macicy i odbytu^{78,79}.

c. Środowiskowe i zawodowe czynniki ryzyka zachorowania na raka

i. Promieniowanie ultrafioletowe i powstawanie raka

Promieniowanie ultrafioletowe (UV) jest częścią widma fal elektromagnetycznych emitowanych naturalnie przez słońce lub pochodzących ze sztucznych źródeł, np. urządzeń opalających (solarium). Promieniowanie UV powoduje uszkodzenie skóry, w tym rumień (zaczerwienienie skóry) lub oparzenia, a także opaleniznę, wywołaną uszkodzeniem DNA przez promieniowanie. W dłuższym czasie uszkodzenie takie może prowadzić do raka skóry⁸⁰.

Narażenie na promieniowanie UV jest główną przyczyną raka skóry, w tym czerniaka złośliwego, raka podstawnokomórkowego i raka płaskonabłonkowego. Co istotne, **dowody epidemiologiczne jasno wykazały, że opalanie w solarium zwiększa ryzyko wystąpienia raka skóry**, a promieniowanie z urządzeń opalających uznano za rakotwórcze dla ludzi w monografiach IARC na temat identyfikacji zagrożeń rakotwórczych dla ludzi⁸¹. W ciągu ostatnich dziesięcioleci gwałtownie wzrósł współczynnik zachorowalności na raka skóry, zwłaszcza u osób o jasnej skórze. Według szacunków z 2018 r. w Europie odnotowano około 103 000 nowych przypadków czerniaka skóry i około 17 000 zgonów z powodu jego wystąpienia⁸²; ogółem promieniowanie UV odpowiada za około 3–4% obciążenia nowotworami w Europie^{83,84}.

⁷⁴ Wild C.P., Weiderpass E., Stewart B.W., red. (2020). World Cancer Report: Cancer Research for Cancer Prevention. Lyon, Francja: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem.

⁷⁵ De Martel C., Georges D., Bray F. i in., Global burden of cancers attributable to infections in 2018: a worldwide incidence analysis. Lancet Glob Health, luty 2020 r.; 8(2): e180–90.

⁷⁶ Brown K.F., Rumgay H., Dunlop C. i in., The fraction of cancer attributable to modifiable risk factors in England, Wales, Scotland, Northern Ireland, and the United Kingdom in 2015. Br J Cancer, kwiecień 2018 r.; 118(8): s. 1130–1141.

⁷⁷ IARC (2018). Les cancers attribuables au mode de vie et à l'environnement en France métropolitaine. Lyon: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem. Dostępne na stronie internetowej: http://qco.iarc.fr/resources/paf-france_fr.php (dostęp: maj 2020 r.).

⁷⁸ Wild C.P., Weiderpass E., Stewart B.W., red. (2020). World Cancer Report: Cancer Research for Cancer Prevention. Lyon, Francja: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem.

⁷⁹ Villain P., Gonzalez P., Almonte M. i in., Europejski kodeks walki z rakiem, wyd. 4: Infections and Cancer. Cancer Epidemiol., grudzień 2015 r.; 39 Suppl 1: s. 38–5120.

⁸⁰ Stanowisko Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem w sprawie europejskiego planu walki z rakiem: Europejski kodeks walki z rakiem: https://www.iccp-portal.org/sites/default/files/resources/ECL-vision-EU-Beating-Cancer-Plan_final.pdf (dostęp: czerwiec 2020 r.).

⁸¹ International Agency for Research on Cancer (IARC)'s Monographs on the identification of carcinogenic hazards to humans. List of classified agents, t. 1–125: <https://monographs.iarc.fr/agents-classified-by-the-iarc/> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

⁸² Dane o zachorowalności i umieralności z powodu czerniaka skóry w 2018 r. w UE pochodzą z Globalnego Obserwatorium Raka IARC: <https://qco.iarc.fr>

⁸³ Brown K.F., Rumgay H., Dunlop C. i in., The fraction of cancer attributable to modifiable risk factors in England, Wales, Scotland, Northern Ireland, and the United Kingdom in 2015. Br J Cancer, kwiecień 2018 r.; 118(8): s. 1130–1141.

⁸⁴ IARC (2018). Les cancers attribuables au mode de vie et à l'environnement en France métropolitaine. Lyon: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem. Dostępne na stronie internetowej: http://qco.iarc.fr/resources/paf-france_fr.php (dostęp: maj 2020 r.).

Główne mechanizmy powstawania raka pod wpływem promieniowania UV są dobrze poznane. Szczególnie szkodliwe wydaje się narażenie w dzieciństwie⁸⁵.

ii. Promieniowanie jonizujące i powstawanie raka

Promieniowanie jonizujące definiuje się jako wysokoenergetyczne, bardzo krótkie fale elektromagnetyczne, zdolne przenosić energię wystarczającą do oderwania (normalnie ściśle związanego) elektronu od atomu i jonizacji cząsteczki. Może mieć postać promieni elektromagnetycznych (promieniowanie rentgenowskie i gamma) albo cząstek subatomowych lub pokrewnych, takich jak protony czy neutrony, a także cząstek α i β ⁸⁶.

Podczas interakcji z komórkami siła jonizująca tego promieniowania może prowadzić do zmian chemicznych, w tym do uszkodzenia DNA i mutacji. Zgodnie z najnowszymi szacunkami **około 2% obciążenia chorobami nowotworowymi w Europie można przypisać promieniowaniu jonizującemu**^{87,88}. Kluczowe dowody na działanie rakotwórcze promieniowania jonizującego pochodzą z badań następczych u osób, które przeżyły zrzuconie bomb atomowej w Japonii, badań epidemiologicznych na grupach narażonych na promieniowanie ze źródeł medycznych, zawodowych lub środowiskowych, doświadczeń na zwierzętach oraz badań reakcji komórek na promieniowanie.

Narażenie na promieniowanie jonizujące może wystąpić w wielu różnych okolicznościach. W kontekście zawodowym dotyczy zazwyczaj **określonych kategorii pracowników, np. załóg linii lotniczych i pracowników elektrowni jądrowych**; promieniowanie jonizujące wykorzystuje się również w **powszechnych procedurach medycznych, np. w radiologii, radioterapii i medycynie jądrowej**⁸⁹. Procedury te mogą przynosić znaczne korzyści w leczeniu nowotworów. Potrzebna jest jednak ostrożność, by techniki i procedury dające potrzebne informacje diagnostyczne lub korzyści terapeutyczne stosowano przy jak najniższym narażeniu na promieniowanie^{90,91,92}.

Narażenie na promieniowanie jonizujące ze środowiska to najczęściej wdychanie naturalnie występującego radonu – w dawkach większych niż promieniowanie z wytwarzania energii w elektrowniach jądrowych czy z opadu promieniotwórczego. **Narażenie na radon i produkty jego rozpadu w pomieszczeniach jest drugą główną przyczyną raka płuc** – może w przybliżeniu odpowiadać za **co dziesiąty przypadek raka płuc w Europie**⁹³.

iii. Inne zawodowe i środowiskowe czynniki ryzyka zachorowania na raka

Ludzie przez całe życie narażeni są na wiele różnych zanieczyszczeń środowiskowych i zawodowych z różnych źródeł: w domu, w miejscu pracy czy ogólnie w środowisku. Takiego **narażenia nie da się**

⁸⁵ Greinert R., De Vries E., Erdmann F. i in., Europejski kodeks walki z rakiem, wyd. 4: Ultraviolet radiation and cancer. Cancer Epidemiol., grudzień 2015 r.; 39 Suppl 1: s. 83–575.

⁸⁶ World Cancer Report 2014. Genewa, Szwajcaria: Światowa Organizacja Zdrowia, Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, WHO Press, 2015 r.

⁸⁷ Brown K.F., Rumgay H., Dunlop C. i in., The fraction of cancer attributable to modifiable risk factors in England, Wales, Scotland, Northern Ireland, and the United Kingdom in 2015. Br J Cancer, kwiecień 2018 r.; 118(8): s. 1130–1141.

⁸⁸ IARC (2018). Les cancers attribuables au mode de vie et à l'environnement en France métropolitaine. Lyon: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem. Dostępne na stronie internetowej: http://qco.iarc.fr/resources/paf-france_fr.php (dostęp: maj 2020 r.).

⁸⁹ Definicja medycyny nuklearnej; zob. sekcja 3.1.2.

⁹⁰ Friis S., Kesminiene A., Espina C. i in., Europejski kodeks walki z rakiem, wyd. 4: Medical exposures, including hormone therapy, and cancer. Cancer Epidemiol., grudzień 2015 r.; 39 Suppl 1: s. 19–S107.

⁹¹ Dyrektywa Rady 2013/59/Euratom z dnia 5 grudnia 2013 r. ustanawiająca podstawowe normy bezpieczeństwa w celu ochrony przed zagrożeniami wynikającymi z narażenia na działanie promieniowania jonizującego.

⁹² Vano E., Frija G., Stiller W. i in., Harmonisation of Imaging Dosimetry in Clinical Practice: Practical Approaches and Guidance From the ESR EuroSafe Imaging Initiative. Insights Imaging, 30 marca 2020 r.; 11(1):54.

⁹³ McColl N., Auvinen A., Kesminiene A. i in., Europejski kodeks walki z rakiem, wyd. 4: Ionising and non-ionising radiation and cancer. Cancer Epidemiol., grudzień 2015 r.; 39 Suppl 1: s. 100–593.

bezpośrednio kontrolować. Według najnowszych szacunków około **4–5% obciążenia chorobami nowotworowymi w Europie można przypisać takiemu narażeniu**, w tym 3,5–4% można przypisać zawodowym czynnikom ryzyka zachorowania na raka, a 0,5–1% czynnikom ryzyka środowiskowego, takim jak zanieczyszczenie powietrza^{94,95}.

Zawodowe czynniki ryzyka zachorowania na raka

Wiele **chemikaliów, metali, pyłów czy włókien, a także zawodów** uznano za powiązane przyczynowo ze **zwiększonym ryzykiem wystąpienia określonych rodzajów raka**⁹⁶. W tym wykazie największe obciążenie chorobami nowotworowymi przypisuje się **azbestowi**. Włókno to, stosowane przez wiele lat w budownictwie, wiąże się ze zwiększoną zachorowalnością na raka płuc, krtani i jajników u osób narażonych na jego działanie. Ponadto odpowiada ono za prawie wszystkie przypadki międzybłoniaka opłucnej. Inne potwierdzone czynniki rakotwórcze pochodzenia zawodowego to występujący w budownictwie i górnictwie **pył krzemionkowy**, który zwiększa ryzyko wystąpienia raka płuc, oraz **stosowany w przemyśle chemicznym benzen**, który zwiększa ryzyko wystąpienia białaczki. **Malarze** są największą grupą zawodową o zwiększonym ryzyku zachorowania na raka (pęcherza moczowego i płuc), jednak czynniki odpowiedzialne za to ryzyko nie zostały zidentyfikowane.

Podwyższone ryzyko zachorowania na raka związane ze wspomnianymi czynnikami zawodowymi i okolicznościami narażenia nie ogranicza się wyłącznie do pracowników narażonych na nie w miejscu pracy. Osobami narażonymi mogą być również ich krewni oraz osoby mieszkające w sąsiedztwie zakładów wykorzystujących substancje rakotwórcze. Ponadto większość potwierdzonych zawodowych czynników rakotwórczych nie występuje wyłącznie w miejscu pracy, ale może występować również w środowisku ogólnym, a w niektórych przypadkach również w domach i mieszkaniach (np. azbest)⁹⁷.

Środowiskowe czynniki ryzyka zachorowania na raka: zanieczyszczenie żywności, powietrza i wody

W szerszym ujęciu narażenie środowiskowe spowodowane zanieczyszczeniem, czyli skażeniem chemicznym wdychanego powietrza, wody, żywności oraz gleby, osadów, wód powierzchniowych i gruntowych w naszej przestrzeni życiowej, również odpowiada za zwiększone ryzyko zachorowania na raka. Wiele czynników rakotwórczych rzeczywiście można znaleźć w środowisku, a wszyscy ludzie noszą w organizmie śladowe ilości tych zanieczyszczeń⁹⁸.

Zanieczyszczenie powietrza

W UE nadal emituje się znaczne ilości zanieczyszczeń powietrza, głównie pochodzących z transportu drogowego i przemysłu. **Zanieczyszczenie powietrza atmosferycznego, cząstki stałe zawarte w powietrzu atmosferycznym**, powstające w wyniku spalania paliw kopalnych i biomasy przy wytwarzaniu energii elektrycznej, gotowaniu i transporcie, **oraz emisje z silników wysokoprężnych** podejrzewa się o działanie mutagenne na ludzi i wiąże z wyższym ryzykiem wystąpienia szeregu

⁹⁴ Brown K.F., Rumgay H., Dunlop C. i in., The fraction of cancer attributable to modifiable risk factors in England, Wales, Scotland, Northern Ireland, and the United Kingdom in 2015. Br J Cancer, kwiecień 2018 r.; 118(8): s. 1130–1141.

⁹⁵ IARC (2018). Les cancers attribuables au mode de vie et à l'environnement en France métropolitaine. Lyon: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem. Dostępne na stronie internetowej: http://gco.iarc.fr/resources/paf-france_fr.php (dostęp: maj 2020 r.).

⁹⁶ Espina C., Straif K., Friis S. i in., Europejski kodeks walki z rakiem, wyd. 4: Environment, occupation and cancer. Cancer Epidemiol., grudzień 2015 r.; 39 Suppl 1: s. 92–584.

⁹⁷ World Cancer Report 2014. Genewa, Szwajcaria: Światowa Organizacja Zdrowia, Międzynarodowa Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, WHO Press, 2015 r.

⁹⁸ World Cancer Report 2014. Genewa, Szwajcaria: Światowa Organizacja Zdrowia, Międzynarodowa Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, WHO Press, 2015 r.

nowotworów u osób narażonych, w tym raka płuc i pęcherza moczowego⁹⁹. Te trzy czynniki **uznano za potwierdzone czynniki rakotwórcze** w monografiach IARC na temat identyfikacji zagrożeń rakotwórczych dla ludzi¹⁰⁰. Ponadto zwiększoną zachorowalność na raka płuc przypisano zanieczyszczeniu powietrza nawet na obszarach, na których dzienny poziom zanieczyszczenia powietrza nie przekracza limitów UE.

Uważa się, że zanieczyszczenie powietrza chlorofluorowęglowodorami jest pośrednio odpowiedzialne za wzrost zachorowalności na raka skóry w ostatnich dziesięcioleciach na całym świecie. Te chemikalia, emitowane z domowych klimatyzatorów, poduszek piankowych i wielu innych produktów, są przenoszone przez wiatr do stratosfery, gdzie pod wpływem silnego promieniowania słonecznego niszczą cząsteczki ozonu. Uważa się, że to zubożenie warstwy ozonowej jest przyczyną globalnego wzrostu promieniowania ultrafioletowego UVB, a przez to wyższego ryzyka wystąpienia raka skóry u osób narażonych¹⁰¹. Ponadto (w Europie w mniejszym stopniu niż w krajach rozwijających się) zanieczyszczenie powietrza w pomieszczeniach wynikające ze spalania w budynkach paliw stałych (węгля lub biomasy) również jest potwierdzonym czynnikiem rakotwórczym zwiększającym ryzyko zachorowania na raka płuc¹⁰².

Zanieczyszczenie żywności i wody

Do powszechnego narażenia ludzi dodatkowo może prowadzić wiele różnych **pestycydów, a także chemikaliów przemysłowych i produktów chemii gospodarczej**, występujących głównie w żywności i wodzie¹⁰³.

Najważniejszą substancją zanieczyszczającą wodę jest arsen, o potwierdzonym działaniu rakotwórczym, zwiększający ryzyko wystąpienia raka płuc, skóry i pęcherza moczowego. Wysoki poziom narażenia na działanie arsenu w wodzie pitnej występuje jednak głównie w krajach rozwijających się, a nie w Europie.

Narażenie na kontakt z pestycydami w pracy lub w środowisku naturalnym, głównie przez zanieczyszczenie wody i żywności, budzi w Europie szczególne obawy, ponieważ wiele z tych chemikaliów mających zwiększać produkcję rolną podejrzewa się o działanie rakotwórcze u ludzi. IARC uznała niektóre pestycydy, np. nieorganiczne związki arsenu, za potwierdzone substancje rakotwórcze, jednak w większości przypadków nadal brakuje rozstrzygających dowodów naukowych na rakotwórczość danej substancji u ludzi, dlatego **obecnie IARC zalicza wiele pestycydów tylko do substancji „prawdopodobnie” lub „potencjalnie” rakotwórczych**¹⁰⁴. Dotyczy to np. herbicydu glifosat, który w ostatniej ocenie przeprowadzonej przez IARC w 2015 r. uznano za „substancję prawdopodobnie rakotwórczą dla ludzi”¹⁰⁵.

⁹⁹ Loomis D., Brutto Y., Lauby-Secretan B. i in., The carcinogenicity of outdoor air pollution. *Lancet Oncol.*, 14 grudnia 2013 r.; 14(13): s. 1262–3.

¹⁰⁰ International Agency for Research on Cancer (IARC)'s Monographs on the identification of carcinogenic hazards to humans. List of classified agents, t. 1–125: <https://monographs.iarc.fr/agents-classified-by-the-iarc/> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

¹⁰¹ IARC (2012). Promieniowanie. Monografia IARC poświęcona ocenie zagrożeń rakotwórczych dla ludzi, 100D:1–437.

¹⁰² World Cancer Report 2014. Genewa, Szwajcaria: Światowa Organizacja Zdrowia, Międzynarodowa Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, WHO Press, 2015 r.

¹⁰³ Espina C., Straif K., Friis S. i in. Europejski kodeks walki z rakiem, wyd. 4: Environment, occupation and cancer. *Cancer Epidemiol.*, grudzień 2015 r.; 39 Suppl 1: s. 92–584.

¹⁰⁴ Monografie Międzynarodowej Agencji Badań nad Rakiem (IARC) dotyczące identyfikacji zagrożeń rakotwórczych dla ludzi. List of classified agents, t. 1–125: <https://monographs.iarc.fr/agents-classified-by-the-iarc/> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

¹⁰⁵ Nota faktograficzna IARC „IARC Monographs volume 112: evaluation of five organophosphate insecticides and herbicides”: <https://www.iarc.fr/wp-content/uploads/2018/07/MonographVolume112-1.pdf> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

d. Medyczne lub reprodukcyjne czynniki ryzyka zachorowania na raka

Z aktualnych danych wynika, że hormonalna terapia zastępcza (HTZ), zalecana z reguły w czasie menopauzy, wiąże się ze zwiększonym ryzykiem zachorowania na raka piersi, jajników i błony śluzowej trzonu macicy, a ryzyko zależy od takich czynników jak rodzaj terapii (tylko estrogenami lub łącznie estrogenami i progestagenami), czas trwania leczenia oraz czas rozpoczęcia leczenia w stosunku do czasu wystąpienia menopauzy.

Stwierdzono również rakotwórczość środków przeciwnowotworowych stosowanych w leczeniu raka, leków immunosupresyjnych, estrogenowo-progestagenowych środków antykoncepcyjnych oraz tamoksyfenu. W razie narażenia na działanie promieniowania w celach medycznych oraz produktów leczniczych o potwierdzonej rakotwórczości korzyści zdrowotne należy oceniać w zestawieniu z poziomem ryzyka. Potencjalnie większe ryzyko zachorowania na raka w dłuższej perspektywie należy rozpatrywać na tle często znacznych i natychmiastowych korzyści dla zdrowia wynikających z rozpoznania lub leczenia¹⁰⁶.

Niewielki wzrost ryzyka zachorowania na raka piersi stwierdzono u kobiet stosujących doustne środki antykoncepcyjne. Dotyczy to również raka szyjki macicy, ale tylko u kobiet stosujących złożone tabletki antykoncepcyjne przez ponad pięć lat. Ryzyko to jednak ponownie spada u kobiet, które przestały przyjmować takie środki na dłużej niż 10 lat. Istnieją również informacje, że złożone tabletki antykoncepcyjne chronią przed zachorowaniem na raka jajnika i macicy nawet kilkadziesiąt lat po zaprzestaniu ich przyjmowania.

Dlatego chociaż doustne środki antykoncepcyjne czasem zalicza się do czynników ryzyka zachorowania na raka, którym można przypisać pewną część obciążenia chorobami nowotworowymi, to najnowsze dane wskazują, że działanie ochronne tych środków przeważa nad ryzykiem związanym z ich przyjmowaniem¹⁰⁷.

Rak piersi jest najczęstszym nowotworem złośliwym u kobiet; zachorowalność w państwach UE rosła w ostatnich dziesięcioleciach. Wzrost ten przypisywano po części spadkowi wskaźników karmienia piersią. Dowody na **związek między karmieniem piersią a ochroną przed rakiem piersi w każdym wieku** są przekonujące. Wskazywano również na niewielki związek między karmieniem piersią a ochroną przed rakiem jajnika i błony śluzowej trzonu macicy. Szacuje się, że wydłużenie czasu karmienia piersią w ciągu życia o pięć miesięcy zmniejsza ryzyko zachorowania na raka piersi o 2%. **Im dłużej kobieta karmi piersią, tym lepiej jest chroniona przed rakiem piersi.** Ponadto karmienie piersią daje szereg korzyści zdrowotnych zarówno dla matki, jak i dla karmionego dziecka¹⁰⁸.

1.1.3. Prognozowanie ryzyka zachorowania na raka i opracowywanie odpowiednio dostosowanych strategii

a. Uzasadnienie i potencjał prognozowania ryzyka zachorowania na raka

Jak szczegółowo omówiono w poniższych sekcjach, wiedza o czynnikach powodujących raka może być pomocna w zapobieganiu tej chorobie, zwłaszcza przez łagodzenie narażenia ogółu ludności na zidentyfikowane modyfikowalne czynniki ryzyka¹⁰⁹. Wiedza ta może również pomóc w opracowywaniu

¹⁰⁶ Friis S., Kesminiene A., Espina C. i in., Europejski kodeks walki z rakiem, wyd. 4: Medical exposures, including hormone therapy, and cancer. Cancer Epidemiol., grudzień 2015 r.; 39 Suppl 1: s. 19–S107.

¹⁰⁷ Nota faktograficzna Cancer Research UK: „Czy tabletki antykoncepcyjne zwiększają ryzyko zachorowania na raka?” <https://www.cancerresearchuk.org/about-cancer/causes-of-cancer/hormones-and-cancer/does-the-contraceptive-pill-increase-cancer-risk> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

¹⁰⁸ Scoccianti C., Key T.J., Anderson A.S. i in., Europejski kodeks walki z rakiem, wyd. 4: Breastfeeding and cancer. Cancer Epidemiol., grudzień 2015 r.; 39 Suppl 1: s. 6–S101.

¹⁰⁹ Zob. sekcja 1.2. dotycząca profilaktyki pierwotnej raka.

zindywidualizowanych prognoz ryzyka zachorowania na raka, czyli oceny ryzyka zachorowania na raka u danej osoby, z uwzględnieniem znanych czynników powodujących raka, w tym narażenia na modyfikowalne czynniki ryzyka zachorowania na raka i predyspozycji genetycznych. Takie prognozy umożliwiają **stratyfikację ryzyka w zarządzaniu rakiem**, tj. zaliczenie danych osób do „grup ryzyka” na podstawie oceny poziomu ryzyka zachorowania na raka, oraz **opracowanie odrębnych, dostosowanych do ryzyka strategii** dla poszczególnych grup, w tym specjalnych strategii dla osób ze stwierdzonym wyższym ryzykiem zachorowania na raka. **Strategie takie mogą mieć na celu w szczególności:**

- **Lepsze zapobieganie wystąpieniu raka** dzięki zindywidualizowanej profilaktyce pierwotnej dla osób z grupy wysokiego ryzyka.

Może to obejmować programy zmiany zachowań ukierunkowane na osoby, u których zidentyfikowano zachowanie wysokiego ryzyka (np. programy zaprzestania palenia dla osób palących duże ilości papierosów)¹¹⁰ oraz strategie zmniejszania ryzyka polegające na doradzaniu osobom ze zidentyfikowaną genetyczną podatnością na określony rodzaj raka, aby starały się zmniejszać narażenie na modyfikowalne czynniki ryzyka, o których wiadomo, że są związane z tym rodzajem raka¹¹¹ (np. ograniczenie ekspozycji na słońce w przypadku osób z genetyczną podatnością na raka skóry¹¹²).

- **Ułatwianie wcześniejszego wykrywania raka** dzięki zindywidualizowanym strategiom profilaktyki wtórnej dla osób z grupy wysokiego ryzyka.

Może to obejmować dostosowane do ryzyka badania przesiewowe, tj. dobór osób do badań przesiewowych nie tylko na podstawie wieku, lecz także na podstawie oceny ryzyka zachorowania¹¹³, a także programy nadzoru ukierunkowanego mające na celu wcześniejsze rozpoznawanie raka¹¹⁴.

W ostatnich latach koncepcji stratyfikacji ryzyka poświęca się coraz większą uwagę w zarządzaniu chorobami niezakaźnymi, w tym rakiem, i uznaje się ją za obiecującą pod względem zmniejszenia obciążenia tymi chorobami i poprawy opłacalności zarządzania nimi.

b. Rodzaje podejścia do prognozowania ryzyka zachorowania na raka i wymogi w tym zakresie

Podstawowe podejście do prognozowania ryzyka zachorowania na raka polega na **identyfikacji osób, u których występują pojedyncze czynniki o znanym związku z wysokim ryzykiem zachorowania**.

i. Prognozowanie ryzyka zachorowania na raka na podstawie modyfikowalnych czynników ryzyka

W odniesieniu do modyfikowalnych czynników ryzyka zachorowania na raka obejmuje to głównie zapewnienie pracownikom służby zdrowia – również pracującym w dziedzinach innych niż onkologia, a zwłaszcza w podstawowej opiece zdrowotnej – wiedzy o tych czynnikach ryzyka. Optymalna koordynacja i przepływ informacji między wszystkimi pracownikami służby zdrowia opiekującymi się tym samym pacjentem również mają tu kluczowe znaczenie, zwłaszcza że wiele

¹¹⁰ Zob. sekcja 1.2.1. lit. a) ppkt (ii) dotycząca zindywidualizowanego podejścia do promocji zdrowia w profilaktyce pierwotnej nowotworów.

¹¹¹ Zob. sekcja 1.2.2. dotycząca profilaktyki pierwotnej w przypadku genetycznej podatności na raka.

¹¹² Nota faktograficzna amerykańskiego Narodowego Instytutu Raka na temat genetyki raka skóry: <https://www.cancer.gov/types/skin/hp/skin-genetics-pdq> (dostęp: maj 2020 r.).

¹¹³ Zob. sekcja 2.1.3. lit. c) dotycząca dostosowywania programów badań przesiewowych w kierunku raka do osiągnięć naukowych i technologicznych.

¹¹⁴ Zob. sekcja 2.2.1. dotycząca uczenia świadczeniodawców opieki zdrowotnej i ogółu społeczeństwa o objawach ostrzegawczych mogących wskazywać na raka.

czynników ryzyka zachorowania na raka to również czynniki podwyższonego ryzyka wystąpienia wielu innych schorzeń, takich jak choroby układu krążenia, płuc czy układu pokarmowego.

ii. *Prognozowanie ryzyka zachorowania na raka na podstawie genetycznych czynników ryzyka: badania genetyczne w kierunku mutacji germinalnych*

Do wskaźników **genetycznych czynników ryzyka zachorowania na raka** należą: dodatni wywiad rodzinny, przynależność do populacji dotkniętej znanymi mutacjami założycielskimi związanymi z predyspozycją do raka, wczesny wiek w momencie rozpoznania tego typu raka i występowanie wielu guzów pierwotnych¹¹⁵. **Dokładne prognozowanie ryzyka zachorowania na raka wymaga jednak przeprowadzenia badań genetycznych w kierunku mutacji germinalnych**, tj. zbadania danych osób pod kątem mutacji germinalnych, których obecność się u nich podejrzewa.

W razie wystąpienia takich wskaźników **można zaoferować badanie genetyczne w kierunku mutacji germinalnych osobom niecierpiącym na raka** (jeżeli kryterium kwalifikowalności jest dodatni wywiad rodzinny lub przynależność do populacji dotkniętej znanymi mutacjami założycielskimi związanymi z predyspozycją do raka) **albo pacjentom chorym na raka** (jeżeli kryterium kwalifikowalności jest wczesny wiek w momencie rozpoznania tego typu raka lub występowanie wielu guzów pierwotnych), aby potwierdzić podejrzaną dziedzicznie uwarunkowaną predyspozycję do raka. To drugie podejście, czyli badanie przede wszystkim pacjentów chorych na nowotwór o cechach wskazujących na genetyczną mutację germinalną, uważa się za najlepszą metodę wykrywania mutacji germinalnych związanych z predyspozycją do raka, a zatem za złoty standard w badaniach genetycznych w kierunku takich mutacji. Z drugiej strony obecnie nie oferuje się rutynowo podstawowych badań genetycznych na obecność mutacji germinalnych osobom zdrowym z populacji o większej częstotliwości występowania dziedzicznie uwarunkowanej predyspozycji do raka (na co wskazuje dodatni wywiad rodzinny lub znane mutacje założycielskie związane z predyspozycją do raka), mimo że takie podejście w niektórych okolicznościach okazało się korzystne¹¹⁶.

Po zidentyfikowaniu mutacji germinalnej badania proponuje się zdrowym krewnym danej osoby. Co roku w Europie diagnozuje się tysiące pacjentów z dziedzicznie uwarunkowaną predyspozycją do raka i odpowiednio większą liczbę ich krewnych z wysokim ryzykiem genetycznym. Odpowiednie strategie prognozowania ryzyka i dostosowane strategie dają znaczne korzyści, w tym wcześniejsze diagnozowanie i mniej rozległe leczenie osób, u których po dodatnim wyniku testu genetycznego ostatecznie wystąpi nowotwór.

Chociaż wymienione wskaźniki dziedzicznie uwarunkowanej predyspozycji do raka są powszechnie stosowane jako kryteria kwalifikowalności do badań genetycznych w kierunku mutacji germinalnych, z ostatnich badań wynika, że **to podejście może być zbyt wąskie**, by wykryć wszystkie zagrożone osoby i rodziny. **W przypadku niektórych typów nowotworów, takich jak rak jajnika, badania genetyczne oferowano już wszystkim pacjentom**, niezależnie od wieku w momencie rozpoznania i wywiadu rodzinnego, i wykazano, że pozwala to wychwycić znaczny odsetek osób będących nosicielami mutacji germinalnych związanych z predyspozycją do raka, w tym osób, które pominięto by przy zastosowaniu bardziej restrykcyjnych kryteriów¹¹⁷; umożliwiałoby to zdrowym krewnym tych pacjentów skorzystanie z badań w kierunku tych samych mutacji germinalnych. Podejście takie

¹¹⁵ Zob. sekcja 1.1.1. lit. b) ppkt (ii) dotycząca mutacji germinalnych i genetycznej podatności na raka.

¹¹⁶ Hadar T., Mor P., Amit G. i in., Impact of germline BRCA identification on subsequent breast cancer stage and therapy: Implications for routine screening. *J Clin Oncol.*, 20 maja 2018 r.; 36(15 suppl): s. 1584.

¹¹⁷ George A., Kaye S., Banerjee S., Delivering widespread BRCA testing and PARP inhibition to patients with ovarian cancer. *Nat Rev Clin Oncol.*, maj 2017 r.; 14(5): s. 284–296.

proponowano również w odniesieniu do raka piersi¹¹⁸, a eksperci zalecają rozszerzenie go w stosownych przypadkach na inne typy nowotworów.

Ponadto ogólne badania genetyczne zdrowej populacji, np. programy badań genetycznych noworodków, również mogą pozwolić teoretycznie na wczesne wykrycie potencjalnie wszystkich osób z genetycznie uwarunkowaną predyspozycją do raka. Potrzebne są jednak dalsze badania naukowe, zanim można będzie wiarygodnie prognozować ryzyko u osób zdrowych o ujemnym wywiadzie rodzinnym¹¹⁹.

Badania genetyczne w kierunku mutacji germinalnych związanych z predyspozycją do raka mają również coraz większe znaczenie poza obszarem prognozowania ryzyka, ponieważ mutacje takie są również biomarkerami predykcyjnymi potencjalnych korzyści z ukierunkowanego leczenia raka¹²⁰.

Niemniej mimo potencjalnych korzyści dla zdrowia danej osoby oraz mimo malejących kosztów badań genetycznych i ich potwierdzonej opłacalności dostęp do badań genetycznych w kierunku mutacji germinalnych związanych z predyspozycją do raka nie jest jeszcze w Europie powszechny. Ponadto utrzymują się znaczne nierówności pod względem dostosowanej profilaktyki u osób zdrowych z pozytywnym wynikiem badań w kierunku mutacji germinalnych związanych z predyspozycją do raka^{121,122,123}.

Co ważne, takim badaniom genetycznym w kierunku mutacji germinalnych **zawsze musi towarzyszyć dostęp do poradnictwa genetycznego**, zapewnianego przez wyszkolonego pracownika służby zdrowia, by wspierać dane osoby przed badaniem genetycznym i po nim, informować je o ryzyku zachorowania, doradzać, czy należy wykonać badania genetyczne w kierunku mutacji germinalnych oraz jak zminimalizować ryzyko, a także pomagać w radzeniu sobie z wieloma skutkami psychospołecznymi, które wynikają z wyższego ryzyka zachorowania na raka¹²⁴. **Należy szczegółowo rozważyć kwestie etyczne** przy zalecaniu badań genetycznych w kierunku mutacji germinalnych u osób zdrowych, zwłaszcza w populacji pediatrycznej¹²⁵, jak również w przypadku sprzecznych interesów pacjentów i ich krewnych odnośnie do przeprowadzania takich badań genetycznych lub ujawniania ich wyników¹²⁶.

¹¹⁸ Sun L., Brentnall A., Patel S. i in., A Cost-effectiveness Analysis of Multigene Testing for All Patients with Breast Cancer. *JAMA Oncol.*, 3 października 2019 r.; 5(12): s. 1718–1730.

¹¹⁹ Turner H., Jackson L., Evidence for penetrance in patients without a family history of disease: a systematic review. *Eur J Hum Genet.* Maj 2020 r.; 28(5): s. 539–550.

¹²⁰ Zob. sekcja podrozdziału 3.1. dotycząca onkologii precyzyjnej i diagnostyki w terapii celowanej.

¹²¹ Zob. sekcja 1.2.2. dotycząca profilaktyki pierwotnej w przypadku genetycznej podatności na raka.

¹²² Zob. sekcja 2.1.3. lit. c) dotycząca dostosowywania programów badań przesiewowych w kierunku raka do osiągnięć naukowych i technologicznych.

¹²³ Zob. sekcja 2.2.1. dotycząca uczenia świadczeniodawców opieki zdrowotnej i ogółu społeczeństwa o objawach ostrzegawczych mogących wskazywać na raka.

¹²⁴ Nota faktograficzna amerykańskiego Narodowego Instytutu Raka na temat poradnictwa genetycznego <https://www.genome.gov/genetics-glossary/Genetic-Counseling> (dostęp: maj 2020 r.).

¹²⁵ Kesserwan C., Friedman Ross L., Bradbury A.R. i in., The Advantages and Challenges of Testing Children for Heritable Predisposition to Cancer. *Am Soc Clin Oncol Educ Book.* 2016 r.; 35: s. 69–251.

¹²⁶ Kenny J., Burcher S., Kohut K. i in., Ethical Issues in Genetic Testing for Inherited Cancer Predisposition Syndromes: The Potentially Conflicting Interests of Patients and Their Relatives. *Curr Genet Med Rep.*, 2020 r.; 8: s. 72–77.

Zalecenie: Rozwój prognozowania ryzyka zachorowania na raka i stratyfikacji ryzyka

By zmniejszyć obciążenie chorobami nowotworowymi, UE powinna wspierać rozwój prognozowania ryzyka zachorowania na raka oraz włączanie stratyfikacji ryzyka jako ważnego elementu strategii profilaktyki pierwotnej i wtórnej raka.

W parametrach unijnego zestawu wskaźników dotyczących raka, który służy do monitorowania dostępu pacjentów chorych na raka do wysokiej jakości opieki w całej Europie, należy uwzględnić dostęp do badań genetycznych w kierunku mutacji germinalnych i do odpowiedniego poradnictwa genetycznego.

Opracowanie lub zatwierdzenie przejrzystych wytycznych na szczeblu europejskim może również okazać się kluczowe dla kierowania tym rozwojem na szczeblu krajowym oraz dla zapewnienia osobom zdrowym i pacjentom chorym na raka najlepszych standardów klinicznych i etycznych w odniesieniu do testów genetycznych.

Drugorzędne podejście do prognozowania ryzyka zachorowania na raka polega na używaniu integracyjnych modeli prognozowania, wykorzystujących potencjał genomiki translacyjnej i narzędzi cyfrowych. Modele takie łączą testy profilowania genomowego, czyli informacje nie tylko o kilku określonych genach czy mutacjach, lecz o całym genomie danej osoby, z czynnikami niegenetycznymi, takimi jak czynniki ryzyka związane ze stylem życia, osobisty wywiad chorobowy lub wyniki obrazowania danego narządu, w jedno kompleksowe narzędzie cyfrowe do prognozowania ryzyka, które automatycznie stratyfikuje poziom ryzyka. Modele takie opracowuje się lub już stosuje w odniesieniu do kilku ważnych typów raka, np. raka piersi¹²⁷ i gruczołu krokowego¹²⁸; mogą być obiecujące pod względem prognozowania i stratyfikacji ryzyka zachorowania na raka.

Ponadto koncepcje prognozowania i stratyfikacji ryzyka stosuje się również w opiece rekonwalescencyjnej, aby umożliwić optymalne zarządzanie długoterminowymi skutkami ubocznymi raka i leczenia onkologicznego^{129,130}.

¹²⁷ Gagnon J., Lévesque E., Kliniczny Komitet Doradczy ds. Badań Przesiewowych w Kierunku Raka Piersi i Zapobiegania Mu, i in. Recommendations on breast cancer screening and prevention in the context of implementing risk stratification: impending changes to current policies. *Curr Oncol.*, grudzień 2016 r.; 23(6): e615–e625.

¹²⁸ Palsdottir T., Nordström T., Aly M. i in., A Unified Prostate Cancer Risk Prediction Model Combining the Stockholm3 Test and Magnetic Resonance Imaging. *Eur Urol Oncol.*, wrzesień 2019 r.; 2(5): s. 490–496.

¹²⁹ Zob. sekcja 3.2.2. dotycząca potrzeb osób, które przeżyły chorobę nowotworową, i opieki rekonwalescencyjnej.

¹³⁰ Przewodnik brytyjskiej Krajowej Służby Zdrowia dotyczący wdrażania stratyfikowanych ścieżek opieki nad osobami, które żyją z rakiem lub go przeżyły: <https://www.england.nhs.uk/wp-content/uploads/2016/04/stratified-pathways-update.pdf> (dostęp: maj 2020 r.).

1.2. Profilaktyka pierwotna raka

KLUCZOWE WNIOSKI I ZALECENIA: PROFILAKTYKA PIERWOTNA RAKA

Interwencje w zakresie profilaktyki pierwotnej, których celem jest minimalizacja zachorowalności, tj. zapobieganie wystąpieniu choroby przez działania wymierzone w czynniki powodujące raka, są najbardziej opłacalną strategią walki z rakiem. Interwencje te obejmują w szczególności: promocję zdrowia w postaci kampanii skierowanych do całej populacji, takie jak Europejski kodeks walki z rakiem; inicjatywy ustawodawcze i regulacyjne dotyczące zarówno związanego z zachowaniem, jak i mimowolnego narażenia na czynniki ryzyka zachorowania na raka; zwalczanie rakotwórczych czynników zakaźnych przez szczepienia.

Pomimo swojego potencjału profilaktyka pierwotna raka jest nadal słabo rozwinięta i niedofinansowana. **Należy znacznie wzmocnić wspólne wysiłki państw członkowskich UE na rzecz profilaktyki raka**, w tym środki ograniczania użycia tytoniu, regulacje dotyczące urządzeń do sztucznego opalania oraz wspólne inicjatywy na rzecz poprawy diety i zdrowszego życia, np. dotyczące etykietowania żywności i regulowania promocji alkoholu.

UE powinna podjąć stałe, długofalowe zobowiązanie do wspierania promocji Europejskiego kodeksu walki z rakiem wśród ogółu społeczeństwa we wszystkich państwach.

Możliwości **dalszych środków ograniczania użycia tytoniu** obejmują podniesienie minimalnej akcyzy na wszystkie wyroby tytoniowe oraz egzekwowanie obowiązku stosowania jednolitych czy znormalizowanych opakowań wszystkich wyrobów tytoniowych i papierosów elektronicznych.

Jeżeli chodzi o promowanie zdrowszej diety, potencjalne działania w polityce UE obejmują wspomaganie konsumentów w świadomym wyborze produktów spożywczych przez **wprowadzenie norm znakowania środków spożywczych etykietą „najlepsze w swojej klasie”** oraz wspieranie państw członkowskich w **nakładaniu ograniczeń na reklamowanie wysokoprzetworzonych produktów spożywczych oraz słodkich i słodzonych napojów**, w tym w mediach społecznościowych.

Możliwości propagowania bardziej odpowiedzialnego spożywania alkoholu obejmują **lepsze etykietowanie napojów alkoholowych**, tak aby etykieta zawierała wyraźne ostrzeżenia i informacje o wartości odżywczej, oraz **zakaz sponsorowania sportu przez branżę alkoholową**.

Możliwości ochrony obywateli przed szkodliwym narażeniem zawodowym i środowiskowym na czynniki rakotwórcze obejmują: **zapewnienie, aby pracodawcy uznawali czynniki rakotwórcze w miejscu pracy** i przestrzegali ustalonych granicznych poziomów oddziaływania; **wdrożenie na szczeblu UE planu dotyczącego azbestu**, zobowiązującego państwa członkowskie UE do wspierania bezpiecznego oczyszczania i usuwania azbestu; **odpowiednie środki poprawy jakości powietrza w europejskich przestrzeniach miejskich**.

Postępy w zakresie szczepień pozwalają zakładać wyeliminowanie niektórych nowotworów powodowanych czynnikami zakaźnymi, w tym wywołanych HPV. W kontekście strategii WHO na rzecz wyeliminowania raka szyjki macicy UE powinna stać się światowym liderem w prowadzeniu badań przesiewowych i leczeniu. Można to osiągnąć przez **wprowadzenie neutralnego pod względem płci szczepienia przeciwko HPV** dla chłopców i dziewcząt w państwach członkowskich UE, aby doprowadzić do skutecznego wyeliminowania wszelkich nowotworów wywołanych przez HPV jako problemu zdrowia publicznego. Należy również nawiązać współpracę z państwami członkowskimi UE i zainteresowanymi podmiotami międzynarodowymi, by **zwalzczać wpływ fałszywych informacji o szczepieniach** oraz rozwiązać problem uchylania się od szczepień.

Ważnym elementem misji UE na rzecz walki z rakiem powinna być profilaktyka, w tym badania etiologiczne nad czynnikami powodującymi raka i nad nierównościami związanymi z rakiem, badania epidemiologiczne nad obciążeniem chorobami nowotworowymi w kontekście czynników ryzyka zachorowania na raka oraz badania nad wdrażaniem mające wskazywać skuteczne działania profilaktyki pierwotnej i poprawiać ich wdrażanie.

Określenie trzech poziomów profilaktyki chorób

Według WHO profilaktykę chorób można zdefiniować jako zestaw środków mających minimalizować obciążenie daną chorobą przez zmniejszenie liczby przypadków i ich powagi. **Działania w zakresie profilaktyki chorób zazwyczaj dzielą się na trzy poziomy**^{131, 132}:

- **profilaktyka pierwotna**, mająca minimalizować zachorowalność, tj. zapobiegać wystąpieniu choroby przez działania wymierzone w czynniki powodujące raka;
- **profilaktyka wtórna**, mająca na celu szybkie wykrywanie choroby i interwencję w razie jej wystąpienia, aby zmniejszyć jej wpływ na pacjenta i zwiększyć szanse na uzyskanie pozytywnych wyników, a tym samym zminimalizować częstość występowania choroby i umieralność;
- **profilaktyka trzeciego stopnia**, mająca zmniejszać długoterminowy wpływ danej choroby i służąca zarządzaniu tym wpływem, obejmującym chorobowość (spowodowaną samą chorobą lub leczeniem), niepełnosprawność, ryzyko nawrotu choroby oraz skutki psychospołeczne, aby przywrócić normalne funkcjonowanie i poprawić jakość życia pacjentów i osób, które przebyły chorobę, jak również ich udział w życiu społecznym¹³³.

W poniższych sekcjach skoncentrowano się na profilaktyce pierwotnej raka; profilaktykę wtórną i profilaktykę trzeciego stopnia omówiono w kolejnych rozdziałach^{134, 135}.

Profilaktyka pierwotna raka: kluczowe elementy i uzasadnienie

Środki profilaktyki pierwotnej mają zazwyczaj zmniejszać narażenie na zidentyfikowane lub podejrzewane modyfikowalne czynniki ryzyka. Nowotwory związane z takimi czynnikami ryzyka uważa się za możliwe do uniknięcia; według najnowszych badań stanowią one szacunkowo 40% nowych przypadków raka diagnozowanych co roku w UE^{136, 137, 138, 139}. Środki profilaktyki pierwotnej obejmują:

- **promocję zdrowia poprzez kampanie obejmujące całą populację, takie jak Europejski kodeks walki z rakiem**¹⁴⁰, lub przez **podejście zindywidualizowane** mające zmienić indywidualne zachowania i spowodować przyjęcie zdrowego stylu życia;
- **inicjatywy ustawodawcze i regulacyjne** mające zmniejszać narażenie na czynniki ryzyka zachorowania na raka, m.in. przez **ograniczenie użycia tytoniu, etykietowanie żywności i alkoholu**, regulowanie stosowania urządzeń do sztucznego opalania (**solariów**) oraz zarządzanie narażeniem zawodowym na czynniki rakotwórcze, w tym niebezpieczne leki w placówkach opieki zdrowotnej;

¹³¹ Nota faktograficzna kanadyjskiego Instytutu Pracy i Zdrowia na temat trzech poziomów profilaktyki chorób: <https://www.iwh.on.ca/what-researchers-mean-by/primary-secondary-and-tertiary-prevention> (dostęp: maj 2020 r.).

¹³² Zob. nota faktograficzna amerykańskich Centrów Kontroli i Zapobiegania Chorobom na temat profilaktyki chorób: https://www.cdc.gov/pictureofamerica/pdfs/picture_of_america_prevention.pdf (dostęp: maj 2020 r.).

¹³³ Philip T., Karjalainen S., De Lorenzo F. i in., What could be a cancer mission objective if we join our forces in the fight against cancer? *Tumori*. grudzień 2019 r.; 105(6): s. 447–455.

¹³⁴ Zob. rozdział 2 dotyczący profilaktyki wtórnej raka polegającej na wczesnym wykrywaniu.

¹³⁵ Zob. rozdział 3 dotyczący profilaktyki wtórnej raka polegającej na opiece nad osobami, które przebyły chorobę nowotworową.

¹³⁶ Zob. sekcja 1.1.2. dotycząca modyfikowalnych czynników ryzyka zachorowania na raka.

¹³⁷ Brown K.F., Rumgay H., Dunlop C. i in., The fraction of cancer attributable to modifiable risk factors in England, Wales, Scotland, Northern Ireland, and the United Kingdom in 2015. *Br J Cancer*, kwiecień 2018 r.; 118(8): s. 1130–1141.

¹³⁸ IARC (2018). Les cancers attribuables au mode de vie et à l'environnement en France métropolitaine. Lyon: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem. Dostępne na stronie internetowej: http://qco.iarc.fr/resources/paf-france_fr.php (dostęp: maj 2020 r.).

¹³⁹ Islami F., Goding Sauer A., Miller K.D. i in., Proportions and numbers of cancer cases and deaths attributable to potentially modifiable risk factors in the United States. *CA Cancer J Clin.*, styczeń 2018 r.; 68(1): s. 31–54.

¹⁴⁰ Zob. <https://cancer-code-europe.iarc.fr/index.php/pl/> (dostęp: maj 2020 r.).

- **programy szczepień** przeciwko rakotwórczym czynnikom zakaźnym, takim jak **HPV i HBV**¹⁴¹.

Chociaż nowotwory związane z niemodyfikowalnymi, dziedzicznymi mutacjami genetycznymi klasycznie uważa się za niemożliwe do uniknięcia, **istnieją jednak sposoby skutecznego opóźnienia ich wystąpienia lub zapobiegania mu**. Interwencje takie można uznać za środki profilaktyki pierwotnej; obejmują one w szczególności chirurgię profilaktyczną (zmniejszającą ryzyko)¹⁴² oraz chemoprewencję¹⁴³.

Ze względu na ten istotny potencjał oraz rosnące koszty leczenia raka i opieki nad chorymi **profilaktykę pierwotną uznaje się za najbardziej opłacalną strategię walki z rakiem i ogólnie z chorobami niezakaźnymi**^{144,145}. Zmiany demograficzne prowadzące do starzenia się społeczeństwa w UE oraz rosnąca presja na budżety opieki zdrowotnej sprawiają, że tym bardziej **potrzebne są optymalne strategie profilaktyki pierwotnej raka, jako zasadniczy element każdej strategii ograniczania wzrostu zachorowalności i umieralności na raka w nadchodzących dekadach**¹⁴⁶.

Ponadto należy pamiętać, że ze względu na długi okres latencji między narażeniem osób na niektóre czynniki ryzyka zachorowania na raka a wystąpieniem raka tegoż od wdrożenia większości środków profilaktyki pierwotnej do zaobserwowania ich znaczącego wpływu upływa długi czas¹⁴⁷, dlatego **szczególne znaczenie ma długofalowa polityka profilaktyki pierwotnej raka**.

Profilaktyka pierwotna raka: kluczowe wyzwania przekrojowe

Pomimo wyjaśnionego już potencjału i uzasadnienia profilaktyka pierwotna raka jest nadal słabo rozwinięta i niedofinansowana¹⁴⁸. Infrastruktura profilaktyki pierwotnej raka jest na ogół rozdrobniona między różnymi państwami UE i w ich obrębie¹⁴⁹; ten **brak koordynacji** utrudnia wpływ profilaktyki pierwotnej na zachorowalność na raka w UE; **trzeba poprawić wdrażanie w państwach członkowskich UE kluczowych środków o udowodnionej skuteczności**. Zainteresowane strony i eksperci podkreślają **potrzebę wspólnego działania i całościowego podejścia do profilaktyki pierwotnej**. Trzeba zrozumieć, że profilaktyka pierwotna nie polega tylko na zmianie indywidualnych zachowań w oderwaniu od innych czynników, lecz wymaga szerszych zmian społecznych, gospodarczych, politycznych, środowiskowych i kulturowych. Potrzebne są zatem zdolności i zasoby oraz działania publiczne, jak również środki wielosektorowe w odniesieniu do podstawowych, nakładających się na siebie i wzajemnie oddziałujących społecznych uwarunkowań chorób niezakaźnych^{150,151}.

Również badania naukowe mają zasadnicze znaczenie dla dalszej poprawy profilaktyki pierwotnej raka. Badania etiologiczne są naprawdę niezbędne, aby rozszyfrować wciąż istotne

¹⁴¹ World Cancer Report 2014. Genewa, Szwajcaria: Światowa Organizacja Zdrowia, Międzynarodowa Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, WHO Press, 2015 r.

¹⁴² Zob. sekcja 1.2.2. lit. b) dotycząca profilaktyki pierwotnej polegającej na profilaktycznych procedurach chirurgicznych w przypadku genetycznej podatności na raka.

¹⁴³ Chemoprewencja: stosowanie leków, witamin lub innych środków w celu zmniejszenia ryzyka wystąpienia raka lub opóźnienia rozwoju lub nawrotu raka. Zob. definicja chemoprewencji opracowana przez amerykański Narodowy Instytut Raka: <https://www.cancer.gov/publications/dictionaries/cancer-terms/def/chemoprevention> (dostęp: maj 2020 r.).

¹⁴⁴ Cancer control: prevention. WHO Guide for effective programmes. Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2007 r.

¹⁴⁵ Nota faktograficzna WHO na temat profilaktyki raka: <https://www.who.int/cancer/prevention/en/> (dostęp: maj 2020 r.).

¹⁴⁶ Philip T., Karjalainen S., De Lorenzo F. i in., What could be a cancer mission objective if we join our forces in the fight against cancer? Tumori. grudzień 2019 r.; 105(6): s. 447–455.

¹⁴⁷ Schüz J., Espina C., Wild C.P. Primary prevention: a need for concerted action. Mol Oncol., marzec 2019 r.; 13(3): s. 528–534.

¹⁴⁸ Schüz J., Espina C., Wild C.P., Primary prevention: a need for concerted action. Mol Oncol., marzec 2019 r.; 13(3): s. 528–534.

¹⁴⁹ Wild C.P., Espina C., Bauld L. i in., Cancer Prevention Europe. Mol Oncol, marzec 2019 r.; 13(3): s. 528–534.

¹⁵⁰ Schüz J., Espina C., Wild C.P., Primary prevention: a need for concerted action. Mol Oncol., marzec 2019 r.; 13(3): s. 528–534.

¹⁵¹ Światowa Organizacja Zdrowia (WHO). Global Action Plan for the Prevention and Control of Noncommunicable Diseases 2013–2020. W: Follow-up to the Political Declaration of the High-level Meeting of the General Assembly on the Prevention and Control of Non-communicable Diseases. Sześćdziesiąte szóste Światowe Zgromadzenie Zdrowia, 2013 r.

„znane niewiadome” dotyczące przyczyn raka i lepiej zrozumieć obserwowane różnice społeczno-ekonomiczne pod względem zachorowalności i umieralności na raka w całej Europie, a nawet w poszczególnych państwach, niedające się wyjaśnić wyłącznie czynnikami ryzyka związanymi z zachowaniem^{152, 153}. Oprócz badań etiologicznych konieczne są **badania epidemiologiczne**, aby zmierzyć obciążenie chorobami nowotworowymi i te jego części, które można przypisać danym czynnikom powodującym raka, i w ten sposób opracować dane ilościowe niezbędne do opracowania odpowiedniej polityki profilaktyki pierwotnej. Ponadto potrzebne są **badania nad wdrażaniem**, aby wskazywać nowatorskie środki profilaktyki pierwotnej raka oraz czynniki utrudniające ich wdrażanie w systemach opieki zdrowotnej i w społeczeństwie¹⁵⁴. W tym kontekście w 2018 r. utworzono międzynarodowe wielodyscyplinarne konsorcjum Cancer Prevention Europe, aby móc prowadzić światowej klasy badania nad profilaktyką, dające się przełożyć na skuteczne wytyczne i politykę profilaktyki raka na szczeblu krajowym i międzynarodowym¹⁵⁵.

Zalecenie: Wspieranie europejskich badań nad profilaktyką pierwotną raka

Oprócz polityki wdrażania profilaktyki pierwotnej raka dziedzinę tę należy uznać za ważny element przyszłej misji UE na rzecz walki z rakiem i włączyć do następnego programu ramowego UE w zakresie badań naukowych i innowacji „Horyzont Europa”. Badania nad profilaktyką raka należy wspierać, stosując podejście całościowe, uwzględniające badania etiologiczne nad czynnikami powodującymi raka i nad nierównościami związanymi z rakiem, badania epidemiologiczne nad obciążeniem chorobami nowotworowymi w świetle czynników ryzyka zachorowania na raka oraz badania nad wdrażaniem mające na celu wskazywanie skutecznych działań profilaktyki pierwotnej i poprawę ich wdrażania.

1.2.1. Profilaktyka pierwotna ukierunkowana na modyfikowalne czynniki ryzyka zachorowania na raka

a. Promocja zdrowia mająca na celu zmianę indywidualnych zachowań i przyjęcie zdrowego stylu życia

Promocję zdrowia można zdefiniować jako wszystkie elementy umożliwiające danej osobie ochronę własnego zdrowia i jakości życia przez eliminowanie pierwotnych przyczyn złego stanu zdrowia i zapobieganie im¹⁵⁶. Dlatego też promocja zdrowia znacznie wykracza poza podnoszenie świadomości, ponieważ ma na celu zmianę indywidualnych zachowań i przyjęcie zdrowego stylu życia chroniącego przed chorobami, a nie tylko pogłębianie wiedzy o chorobie, czynnikach ją wywołujących i metodach jej zapobiegania. Ze względu na znaczenie czynników ryzyka związanych ze stylem życia w przypadku raka oraz istnienie odpowiednio zidentyfikowanych, ale nieobowiązkowych interwencji profilaktyki pierwotnej raka promocja zdrowia ma kluczowe znaczenie dla zmniejszenia obciążenia chorobami nowotworowymi. Może obejmować głównie dwa rozwiązania w dziedzinie profilaktyki raka: kampanie obejmujące całą populację oraz podejście zindywidualizowane.

¹⁵² Philip T., Karjalainen S., De Lorenzo F. i in., What could be a cancer mission objective if we join our forces in the fight against cancer? *Tumori*. grudzień 2019 r.; 105(6): s. 447–455.

¹⁵³ Schüz J., Espina C., Wild C.P., Primary prevention: a need for concerted action. *Mol Oncol.*, marzec 2019 r.; 13(3): s. 528–534.

¹⁵⁴ Philip T., Karjalainen S., De Lorenzo F. i in., What could be a cancer mission objective if we join our forces in the fight against cancer? *Tumori*. grudzień 2019 r.; 105(6): s. 447–455.

¹⁵⁵ Philip T., Karjalainen S., De Lorenzo F. i in., What could be a cancer mission objective if we join our forces in the fight against cancer? *Tumori*. grudzień 2019 r.; 105(6): s. 447–455.

¹⁵⁶ Nota faktograficzna WHO na temat promocji zdrowia: <https://www.who.int/news-room/q-a-detail/what-is-health-promotion> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

i. Promocja zdrowia przez kampanie profilaktyki raka obejmujące całą populację

Uzasadnienie i cechy kampanii profilaktyki raka obejmujących całą populację

Kampanie profilaktyki obejmujące całą populację mogą skutecznie i efektywnie modyfikować ryzyko zachorowania na raka¹⁵⁷. Ze względu na mnogość często mylących, niejednoznacznych lub wyraźnie sprzecznych komunikatów dotyczących profilaktyki chorób, zalewających ogół ludności z dzisiejszych różnorodnych mediów, takie kampanie, poparte autorytetem i wiarygodnością ekspertów naukowych, to kluczowe źródło wiarygodnych, jasnych i naukowo potwierdzonych informacji o aktywnych metodach zmniejszenia u siebie ryzyka zachorowania na raka¹⁵⁸.

W kampaniach takich wykorzystuje się środki masowego przekazu, często starannie zaplanowane płatne reklamy, a także inne prowadzone jednocześnie działania komunikacyjne i polityczne¹⁵⁹. Celem tych kampanii jest nie tylko zwiększanie wiedzy o nowotworach i czynnikach ryzyka, co w niektórych przypadkach ma wątpliwą wartość dla zdrowia publicznego i może prowadzić do nieodpowiednich zachowań^{160,161}. Mają one raczej **prowadzić do zmiany określonych zachowań indywidualnych lub do większego udziału w działaniach profilaktyki pierwotnej**.

Ponieważ kampanie takie mają docierać do ogółu ludności, lepiej nadają się do przekazywania informacji o szeroko rozpowszechnionych czynnikach ryzyka zachorowania na raka; środki profilaktyki nowotworów rzadkich lub określonych subpopulacji należy natomiast wdrażać raczej w sposób bardziej ukierunkowany, indywidualny. Profilaktyka pierwotna raka, której dotyczą takie kampanie, obejmują zatem częste zachowania, takie jak używanie tytoniu, przejadanie się, zbyt niska aktywność fizyczna i spożywanie alkoholu, a także powszechne działania profilaktyki pierwotnej, np. programy szczepień przeciwko HPV lub HBV.

Wykazano, że kampanie takie skutecznie wywołują tego rodzaju zmiany związane z profilaktyką pierwotną raka. Wpływ ten jest większy w przypadku udziału w programach profilaktyki pierwotnej niż w przypadku zmiany zachowań, co wynika z nieodłącznego oporu przed zmianą indywidualnych nawyków życiowych (a także uzależniającego charakteru niektórych czynników ryzyka zachorowania na raka) w porównaniu z działaniami podejmowanymi tylko raz lub dwa, takimi jak szczepienia, do których zwykle łatwiej jest skłonić ludzi. Niemniej jednak warto zauważyć, że nawet stopniowe zmiany zachowań stanowiących czynniki ryzyka przekładają się na dużą liczbę osób, jeżeli dany czynnik ryzyka jest powszechny wśród ogółu ludności, a jeśli ryzyko względne związane z tymi czynnikami jest duże, to możliwości zmniejszenia liczby przedwczesnych zgonów spowodowanych rakiem są znaczące – dotyczy to zwłaszcza używania tytoniu. Te wyzwania dotyczące zmiany indywidualnych zachowań dzięki kampaniom profilaktyki raka obejmującym całą populację pokazują, że opracowując komunikaty przekazywane w czasie kampanii, trzeba zwrócić szczególną uwagę na czynniki psychologiczne utrudniające – lub ułatwiające – wywołanie takich indywidualnych zmian, oraz systematycznie oceniać wyniki kampanii¹⁶².

¹⁵⁷ World Cancer Report 2014. Genewa, Szwajcaria: Światowa Organizacja Zdrowia, Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, WHO Press, 2015 r.

¹⁵⁸ Espina C., Herrero R., Sankaranarayanan R. i in., Toward the World Code Against Cancer. *J Glob Oncol.*, wrzesień 2018 r.; 4: s. 1–8.

¹⁵⁹ World Cancer Report 2014. Genewa, Szwajcaria: Światowa Organizacja Zdrowia, Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, WHO Press, 2015 r.

¹⁶⁰ Chapman S., Barratt A., Stockler M. (2010). *Let Sleeping Dogs Lie? What Men Should Know before Getting Tested for Prostate Cancer.* Sydney, Australia: Sydney University Press.

¹⁶¹ Schröder F.H., Hugosson J., Roobol M.J. i in., Screening and prostate-cancer mortality in a randomised European study. *N Engl J Med.*, 26 marca 2009 r.; 360(13): s. 8–1320.

¹⁶² World Cancer Report 2014. Genewa, Szwajcaria: Światowa Organizacja Zdrowia, Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, WHO Press, 2015 r.

Europejska kampania profilaktyki raka obejmująca całą populację: Europejski kodeks walki z rakiem

Na szczęblu europejskim ważną inicjatywą w dziedzinie kampanii profilaktyki raka obejmujących całą populację jest Europejski kodeks walki z rakiem, zainicjowany przez Komisję Europejską i opracowany przez Międzynarodową Agencję Badań nad Rakiem. W 2015 r. opublikowano czwarte wydanie kodeksu. To narzędzie profilaktyczne mające zmniejszać obciążenie chorobami nowotworowymi przez **informowanie o tym, jak unikać narażenia na czynniki rakotwórcze lub ograniczać to narażenie, wypracowywać zachowania zmniejszające ryzyko zachorowania na raka lub wziąć udział w zorganizowanych programach profilaktyki. Kodeks ma postać 12 zaleceń**, do których większość osób może stosować się bez żadnych specjalnych umiejętności czy porad¹⁶³¹⁶⁴ (zob. **załącznik 3**¹⁶⁵). Zalecenia sformułowano na podstawie najnowszych danych naukowych opracowanych przez czołowych naukowców ds. raka z całej Europy pod kierownictwem IARC. Na przestrzeni lat kodeks był szeroko propagowany w całej Europie, stając się ważnym elementem europejskiej strategii zapobiegania rakowi¹⁶⁶. Niemniej krajowe strategie realizacji każdego z 12 zaleceń kodeksu są nadal wdrażane w państwach członkowskich UE nierównomiernie, jak pokazują narzędzia monitorowania opracowane przez zainteresowane strony z europejskiego środowiska specjalistów ds. raka¹⁶⁷.

Zalecenie: Długofalowe wsparcie dla Europejskiego kodeksu walki z rakiem

Organy ds. zdrowia publicznego często planują i finansują kampanie profilaktyki raka obejmujące całą populację jako działania ograniczone w czasie; tymczasem ich cele rzadko można osiągnąć lub utrzymać bez długofalowych nakładów czasu, starań i pieniędzy. Eksperti uważają, że o takich kampaniach lepiej myśleć jak o świadczeniu zdrowotnym, które jest ciągle potrzebne, niż traktować je jak „projekt”, który ma określony punkt końcowy.

Profilaktyka raka w UE ogromnie by skorzystała, gdyby EU zobowiązała się długofalowo do promocji Europejskiego kodeksu walki z rakiem wśród ogółu społeczeństwa we wszystkich państwach, a także na dalszych aktualizacjach tego kodeksu w celu uwzględnienia najnowszych danych o czynnikach ryzyka zachorowania na raka oraz najskuteczniejszych interwencjach profilaktyki pierwotnej pozwalających chronić się przed tymi czynnikami.

Źródło: World Cancer Report 2014. Genewa, Szwajcaria: Światowa Organizacja Zdrowia, Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, WHO Press, 2015 r.

Należy zauważyć, że podobnie jak w przypadku Europejskiego kodeksu walki z rakiem¹⁶⁸ kampanie profilaktyki obejmujące całą populację mogą również obejmować przekazywanie informacji o profilaktyce wtórnej, np. o programach badań przesiewowych. Nie uważa się ich jednak za istotny

¹⁶³ Zob. <https://cancer-code-europe.iarc.fr/index.php/pl/> (dostęp: maj 2020 r.).

¹⁶⁴ Schuz J., Espina C., Villain P. i in. Europejski kodeks walki z rakiem, wyd. 4: 12 sposobów na zmniejszenie u siebie ryzyka zachorowania na raka. *Cancer Epidemiol.*, grudzień 2015 r.; 39 Suppl 1: S1–10.

¹⁶⁵ Europejski kodeks walki z rakiem (wyd. 4); na podstawie <https://cancer-code-europe.iarc.fr/index.php/pl/> (dostęp: maj 2020 r.).

¹⁶⁶ Nota faktograficzna Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem na temat Europejskiego kodeksu walki z rakiem: <https://www.european-cancerleagues.org/cancer-prevention-the-european-code-against-cancer/> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

¹⁶⁷ Interaktywna mapa Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem, na której przedstawiono krajowe starania państw członkowskich UE w odniesieniu do każdego z 12 przesłań Europejskiego kodeksu walki z rakiem: <https://www.european-cancerleagues.org/cancer-prevention-ecac-map/> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

¹⁶⁸ Schuz J., Espina C., Villain P. i in., Europejski kodeks walki z rakiem, wyd. 4: 12 sposobów na zmniejszenie u siebie ryzyka zachorowania na raka. *Cancer Epidemiol.*, grudzień 2015 r.; 39 Suppl 1: S1–10.

element w tym przypadku. Nawiązywanie bezpośredniego kontaktu z poszczególnymi osobami może być skuteczniejsze niż samo publiczne reklamowanie wczesnego wykrywania¹⁶⁹, potencjalnie dodatkowo pobudzające popyt na dane świadczenia, a nawet powodujące szkody przeważające ostatecznie nad korzyściami, jak w przypadku kontrowersyjnych programów badań przesiewowych^{170, 171}.

Co najważniejsze, **kampanie profilaktyki raka obejmujące całą populację nie mogą być namiastką potencjalnie skutecznej polityki zdrowia publicznego i regulacji w zakresie profilaktyki nowotworów**. Przeciwnie, kampanie te powinny bazować na dobrej polityce i przyczyniać się do uzyskania aprobaty społeczeństwa dla środków sprzyjających zmianie zachowań, o których wiadomo, że zwiększają ryzyko zachorowania na raka¹⁷², jak opisano w poniższych sekcjach.

ii. *Promocja zdrowia przez podejście zindywidualizowane*

Poza kampaniami obejmującymi całą populację można również stosować bardziej zindywidualizowane podejście do promocji zdrowia w profilaktyce pierwotnej. **Szereg elementów stylu życia podnoszących ryzyko zachorowania na raka jest powiązanych ze złożonymi mechanizmami biopsychospołecznymi**, obejmującymi nie tylko uzależnienie od czynnika lub zachowania rakotwórczego, lecz także nawyki i konwencje społeczne, które mogą poważnie utrudniać wypracowanie zdrowych zachowań^{173, 174, 175}. **Dlatego dane osoby często potrzebują długotrwałych osobistych działań następczych, co uzasadnia zindywidualizowane podejście do promocji zdrowia**. Dotyczy to w szczególności zaprzestania palenia i kontroli masy ciała¹⁷⁶.

Do przykładów takiego podejścia należy **stosowanie leków** (np. nikotynowej terapii zastępczej) oraz **programy poradnictwa** (materiały do samodzielnego wykorzystania, infolinie oferujące pomoc w rzuceniu palenia, spotkania indywidualne lub grupowe z pracownikami służby zdrowia lub inne zautomatyzowane spersonalizowane zasoby cyfrowe, np. specjalne aplikacje na smartfony)^{177, 178}. Charakterystykę takich programów należy dostosować do specyfiki kulturowej i lokalnej, by zmaksymalizować ich wpływ na indywidualne zachowania.

Aby z takiej pomocy korzystało więcej osób przejawiających zachowania związane z wysokim ryzykiem, konieczne jest jej dofinansowanie, refundacja lub nieodpłatne świadczenie przez systemy opieki zdrowotnej. Same zachęty finansowe często jednak mogą nie wystarczać, żeby takie

¹⁶⁹ Ferroni E., Camilloni L., Jimenez B. i in., Methods to Increase Participation Working Group (2012). How to increase uptake in oncologic screening: a systematic review of studies comparing population-based screening programmes and spontaneous access. *Prev Med*, grudzień 2012 r.; 55(6): s. 96–587.

¹⁷⁰ Chapman S., Barratt A., Stockler M. (2010). Let Sleeping Dogs Lie? What Men Should Know before Getting Tested for Prostate Cancer. Sydney, Australia: Sydney University Press.

¹⁷¹ Schröder F.H., Hugosson J., Roobol M.J. i in., Screening and prostate-cancer mortality in a randomised European study. *N Engl J Med*, 26 marca 2009 r.; 360(13): s. 8–1320.

¹⁷² World Cancer Report 2014. Genewa, Szwajcaria: Światowa Organizacja Zdrowia, Międzynarodowa Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, WHO Press, 2015 r.

¹⁷³ West R., Brown J. (2013). *Theory of Addiction*, wyd. 2. Oxford: Wiley.

¹⁷⁴ Henningfield J.E., Benowitz N.L. (2010). *Pharmacology of tobacco addiction*. W: Boyle P., Gray N., Henningfield J. i in. (red.). *Tobacco: Science, Policy, and Public Health*, wyd. 2. Oxford: Oxford University Press, s. 155–170.

¹⁷⁵ DiFranza J.R., Savageau J.A., Fletcher K. i in., Measuring the loss of autonomy over nicotine use in adolescents: the DANDY (Development and Assessment of Nicotine Dependence in Youths) study. *Arch Pediatr Adolesc Med*, kwiecień 2002 r.; 156(4): s. 397–403.

¹⁷⁶ World Cancer Report 2014. Genewa, Szwajcaria: Światowa Organizacja Zdrowia, Międzynarodowa Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, WHO Press, 2015 r.

¹⁷⁷ Cahill K., Stevens S., Perera R., Lancaster T. (2013). Pharmacological interventions for smoking cessation: an overview and network meta-analysis. *Cochrane Database Syst Rev*, 5: CD009329.

¹⁷⁸ Hartmann-Boyce J., Stead L.F., Cahill K., Lancaster T. (2013). Efficacy of interventions to combat tobacco addiction: Cochrane update of 2012 reviews. *Addiction*, październik 2013 r.; 108(10): s. 21–1711.

osoby zdecydowały się rozpocząć nierzadko długi i trudny proces zmiany zachowań. Dlatego ogromnie ważne jest, by motywować je przez sprzyjające otoczenie, w tym przez **zaprzestanie społecznego sankcjonowania ryzykownych zachowań i wyeliminowanie wynikających z nich korzyści społecznych**; cel ten można osiągnąć przez połączenie kampanii profilaktyki raka obejmujących całą populację z inicjatywami ustawodawczymi lub regulacyjnymi¹⁷⁹.

b. Inicjatywy ustawodawcze i regulacyjne służące zmniejszeniu narażenia na czynniki ryzyka zachorowania na raka

Na profilaktykę pierwotną raka ukierunkowanych jest (lub dla niej istotnych) szereg różnych środków ustawodawczych i odpowiadających im regulacji, odgrywających kluczową rolę w zmniejszeniu narażenia na czynniki rakotwórcze lub w zapobieganiu mu. Takie środki regulacyjne przyjęte w prawodawstwie, by przeciwdziałać ryzyku, jakim jest narażenie na czynniki rakotwórcze, są niemal zawsze specyficzne dla poszczególnych klas czynników lub okoliczności narażenia; dotyczą narażenia zawodowego, środowiskowego i farmaceutycznego oraz narażenia na pestycydy i związanego z żywnością. Można wśród nich wyróżnić środki odnoszące się do narażenia na czynniki rakotwórcze związanego z zachowaniem (przede wszystkim związane ze stylem życia¹⁸⁰) oraz środki mające zastosowanie do nieuniknionych lub mimowolnych okoliczności związanych z wysokim ryzykiem (przede wszystkim zawodowe i środowiskowe czynniki ryzyka¹⁸¹); w obu przypadkach podejście jest odmienne^{182, 183}.

i. Minimalizowanie związanego z zachowaniem narażenia na czynniki ryzyka zachorowania na raka

W tym obszarze podejmuje się inicjatywy ustawodawcze i regulacyjne dotyczące produktów lub usług komercyjnych powodujących wzrost ryzyka zachorowania na raka wśród konsumentów lub użytkowników. Inicjatywy te mogą polegać m.in. na:

- podniesieniu opodatkowania produktów rakotwórczych, aby zniechęcić do ich konsumpcji, ująć w ich cenie koszty społeczne wynikające z ich używania oraz wspomóc finansowanie polityki profilaktyki pierwotnej;
- regulacji lub zakazie używania produktów rakotwórczych w przestrzeni publicznej (szczególnie w przypadku tytoniu, aby chronić osoby niepalące przed wtórnym dymem tytoniowym);
- regulacji lub zakazie reklamy, promocji lub sponsorowania w odniesieniu do produktów rakotwórczych i usług komercyjnych związanych z wysokim ryzykiem zachorowania na raka, zwłaszcza gdy działania takie są kierowane do dzieci lub młodzieży;
- regulacji nazewnictwa i etykietowania produktów rakotwórczych, by konsumenci mogli dokonywać świadomych wyborów i korzystać z ostrzeżeń zdrowotnych;
- regulacji lub zakazie sprzedaży produktów rakotwórczych lub świadczenia usług komercyjnych związanych z ryzykiem zachorowania na raka¹⁸⁴.

¹⁷⁹ World Cancer Report 2014. Genewa, Szwajcaria: Światowa Organizacja Zdrowia, Międzynarodowa Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, WHO Press, 2015 r.

¹⁸⁰ Zob. sekcja 1.1.2. lit. a) dotycząca czynników ryzyka zachorowania na raka związanych ze stylem życia.

¹⁸¹ Zob. sekcja 1.1.2. lit. c) dotycząca środowiskowych i zawodowych czynników ryzyka zachorowania na raka.

¹⁸² World Cancer Report 2014. Genewa, Szwajcaria: Światowa Organizacja Zdrowia, Międzynarodowa Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, WHO Press, 2015 r.

¹⁸³ Stewart B.W. Priorities for cancer prevention: lifestyle choices versus unavoidable exposures. *Lancet Oncol*, marzec 2012 r.; 13(3): e126–e133.

¹⁸⁴ World Cancer Report 2014. Genewa, Szwajcaria: Światowa Organizacja Zdrowia, Międzynarodowa Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, WHO Press, 2015 r.

Ograniczenie używania tytoniu

Używanie tytoniu, a zwłaszcza palenie papierosów, jest zdecydowanie najistotniejszą pojedynczą możliwą do uniknięcia przyczyną raka w UE¹⁸⁵. Zarówno ryzyko zachorowania na raka płuc związane z paleniem tytoniu, jak i ryzyko względne są tak duże, że wpływ poszczególnych środków mających zniechęcać do palenia łatwo przekłada się na spadek liczby przypadków – a taki scenariusz nie dotyczy wielu inicjatyw w zakresie profilaktyki raka¹⁸⁶.

Instytucje Unii i rządy państw członkowskich wprowadziły różne środki mające zmniejszyć użycie tytoniu – w postaci przepisów, zaleceń i kampanii informacyjnych. Celem **unijnej dyrektywy w sprawie wyrobów tytoniowych** (2014/40/UE) jest poprawa funkcjonowania rynku wewnętrznego wyrobów tytoniowych i powiązanych wyrobów przy zapewnieniu wysokiego poziomu ochrony zdrowia obywateli Unii. Na mocy dyrektywą Rady w sprawie struktury oraz stawek akcyzy stosowanych do wyrobów tytoniowych (2011/64/UE, znana również jako **unijna dyrektywa w sprawie opodatkowania wyrobów tytoniowych**) wprowadzono wyższe podatki od wyrobów tytoniowych, co skutecznie ogranicza używanie tytoniu, szczególnie wśród osób młodych¹⁸⁷.

Ze względu na utrzymującą się w UE wysoką umieralność związaną z używaniem tytoniu¹⁸⁸ eksperci i zainteresowane strony z europejskiego środowiska ds. raka apelują jednak o **wzmocnienie tych ram regulacyjnych służących ograniczeniu użycia tytoniu**¹⁸⁹.

Zalecenie: Ograniczenie używania tytoniu w UE

Przygotowując zmianę dyrektyw w sprawie wyrobów tytoniowych i w sprawie opodatkowania wyrobów tytoniowych, UE powinna rozważyć przyjęcie następujących środków:

- podniesienie minimalnych stawek akcyzy na wszystkie wyroby tytoniowe, co powinno skutkować znacznym wzrostem podatków i zmniejszeniem różnic w opodatkowaniu między papierosami a tytoniem do skręcania;
- wprowadzenie obowiązku umieszczania z przodu i z tyłu jednolitych (standardowych) opakowań wszystkich wyrobów tytoniowych lub papierosów elektronicznych obrazkowych ostrzeżeń zdrowotnych zajmujących 80% powierzchni;
- zakaz stosowania środków aromatyzujących w wyrobach tytoniowych oraz ograniczenie lub zakaz stosowania w nowych wyrobach nikotynowych środków aromatyzujących poprawiających walory smakowe i zwiększających atrakcyjność takich wyrobów dla osób niepalących, młodzieży i młodych dorosłych;
- zbadanie możliwości wprowadzenia zakazu stosowania filtrów papierosowych z tworzyw sztucznych i zezwolenie państwom członkowskim na wprowadzenie takich zakazów ze względów zdrowotnych i środowiskowych.

Źródło: Stanowisko Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem w sprawie europejskiego planu walki z rakiem: Europejski kodeks walki z rakiem: https://www.iccp-portal.org/sites/default/files/resources/ECL-vision-EU-Beating-Cancer-Plan_final.pdf (dostęp: czerwiec 2020 r.).

¹⁸⁵ Zob. sekcja 1.1.2. lit. a) ppkt (i) dotycząca roli tytoniu i palenia w powstawaniu raka.

¹⁸⁶ World Cancer Report 2014. Genewa, Szwajcaria: Światowa Organizacja Zdrowia, Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, WHO Press, 2015 r.

¹⁸⁷ Stanowisko Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem w sprawie europejskiego planu walki z rakiem: Europejski kodeks walki z rakiem: https://www.iccp-portal.org/sites/default/files/resources/ECL-vision-EU-Beating-Cancer-Plan_final.pdf (dostęp: czerwiec 2020 r.).

¹⁸⁸ Zob. sekcja 1.1.2. lit. a) ppkt (i) dotycząca roli tytoniu i palenia w powstawaniu raka.

¹⁸⁹ Stanowisko Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem w sprawie europejskiego planu walki z rakiem: Europejski kodeks walki z rakiem: https://www.iccp-portal.org/sites/default/files/resources/ECL-vision-EU-Beating-Cancer-Plan_final.pdf (dostęp: czerwiec 2020 r.).

Promowanie zdrowego stylu życia

Istnieją mocne dowody na to, że ryzyko zachorowania na raka u danej osoby może wzrosnąć wskutek nadmiaru tkanki tłuszczowej, a zmaleć dzięki stosowaniu zdrowej diety i zwiększeniu aktywności fizycznej¹⁹⁰. Uznaje się, że zachęcanie ludzi do zdrowszej diety i do aktywności fizycznej w życiu codziennym nie wystarcza do rozwiązania tego problemu. Na wiele zachowań ludzi, w tym na ich gotowość do stosowania się do strategii promocji zdrowia, w rzeczywistości wpływa środowisko społeczne i ekonomiczne, w którym żyją i pracują. Dlatego **działania mające na celu poprawę diety i odżywiania oraz zwiększenie aktywności fizycznej obejmują środki regulacyjne skierowane do całej populacji, a dotyczące społecznych, gospodarczych i komercyjnych czynników wpływających na zdrowie**¹⁹¹.

Zalecenie: Promowanie zdrowego stylu życia w UE

W ramach obecnych prac nad europejskim planem walki z rakiem, Europejskim Zielonym Ładem oraz strategią „od pola do stołu” UE powinna:

- wspomagać konsumentów w świadomym wyborze produktów spożywczych przez wprowadzenie norm znakowania środków spożywczych znakiem „najlepsze w swojej klasie” (np. Nutri-Score);
- wdrożyć ogólnounijne profile żywieniowe w odniesieniu do oświadczeń żywieniowych i zdrowotnych, zgodnie z zaleceniami WHO;
- promować dietę planetarną przez wdrażanie środków polityki budżetowej zwiększać przystępność i dostępność lokalnej świeżej żywności (zwłaszcza roślin strączkowych i zbóż), szczególnie dla osób o niskich dochodach;
- współpracować z państwami członkowskimi w celu wykorzystywania polityki cenowej i kontroli rynku do wpływania na popyt, dostępność i przystępność cenową żywności i napojów zawierających duże ilości tłuszczów nasyconych, tłuszczów trans, soli i cukru;
- wspierać państwa członkowskie w nakładaniu ograniczeń na reklamowanie wysokoprzetworzonych produktów spożywczych oraz słodkich i słodzonych napojów, w tym w mediach społecznościowych.

Źródło: Stanowisko Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem w sprawie europejskiego planu walki z rakiem: Europejski kodeks walki z rakiem: https://www.iccp-portal.org/sites/default/files/resources/ECL-vision-EU-Beating-Cancer-Plan_final.pdf (dostęp: czerwiec 2020 r.).

Rozwiązanie problemu spożywania alkoholu w Europie

Spożywanie alkoholu w znacznym stopniu przyczynia się do ogólnego obciążenia chorobami nowotworowymi w Europie¹⁹². Według badania przeprowadzonego w Zjednoczonym Królestwie zaledwie 10% ludzi wie, że dowiedziono związku między spożywaniem alkoholu a zwiększonym

¹⁹⁰ Zob. sekcja 1.1.2. lit. a) ppkt (ii) dotycząca roli otyłości, diety i aktywności fizycznej w powstawaniu raka.

¹⁹¹ Stanowisko Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem w sprawie europejskiego planu walki z rakiem: Europejski kodeks walki z rakiem: https://www.iccp-portal.org/sites/default/files/resources/ECL-vision-EU-Beating-Cancer-Plan_final.pdf (dostęp: czerwiec 2020 r.).

¹⁹² Zob. sekcja 1.1.2 lit. a) ppkt (iii) dotycząca roli alkoholu w powstawaniu raka.

ryzykiem zachorowania na raka^{193,194}; uwydatnia to **potrzebę podjęcia działań, które za pomocą środków regulacyjnych pozwolą rozwiązać problem spożywania alkoholu w Europie**, zwłaszcza przez lepsze informowanie o ryzyku zachorowania na raka związanym ze spożywaniem alkoholu dzięki **odpowiedniemu etykietowaniu napojów alkoholowych**.

Zalecenie: Rozwiązanie problemu spożywania alkoholu w Europie

Biorąc pod uwagę wpływ szkodliwych skutków spożywania alkoholu na raka i inne problemy zdrowia publicznego, UE powinna wspierać:

- lepsze informowanie konsumentów przez poprawę etykietowania napojów alkoholowych, by etykieta zawierała wyraźne ostrzeżenia i informacje o wartości odżywczej;
- przyjmowanie kompleksowych przepisów krajowych w zakresie kontroli alkoholu, takich jak irlandzka ustawa o alkoholu;
- wprowadzenie zakazu reklamowania alkoholu na terenie obiektów sportowych w czasie imprez, w których większość zawodników lub uczestników stanowią dzieci;
- wprowadzenie zakazu sponsorowania sportu przez branżę alkoholową;
- ochronę dzieci i młodzieży przez ograniczenie reklamy alkoholu i ekspozycji na promocję alkoholu w otoczeniu cyfrowym, zwłaszcza w mediach społecznościowych i na platformach udostępniania plików wideo, a także w pobliżu szkół.

Źródło: Stanowisko Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem w sprawie europejskiego planu walki z rakiem: Europejski kodeks walki z rakiem: https://www.iccp-portal.org/sites/default/files/resources/ECL-vision-EU-Beating-Cancer-Plan_final.pdf (dostęp: czerwiec 2020 r.).

Zmniejszenie obciążenia rakiem skóry w Europie

Narażenie na promieniowanie UV jest główną przyczyną raka skóry, a zachorowalność na niego w ostatnich dziesięcioleciach gwałtownie rosła¹⁹⁵. Mimo że narażenie na promieniowanie UV zazwyczaj zalicza się do czynników środowiskowych, to jednak ma ono **silny element związany z zachowaniem, zwłaszcza jeśli chodzi o korzystanie z urządzeń do sztucznego opalania, powszechnie znanych jako solaria**. Promieniowanie UV w solariach ma równie szkodliwy wpływ na skórę jak naturalne światło słoneczne, a ponieważ narażenie na takie promieniowanie jest niepotrzebne, należy go zawsze unikać, zgodnie z zaleceniami Europejskiego kodeksu walki z rakiem¹⁹⁶, w którym jasno i zdecydowanie wezwano do niekorzystania z takich urządzeń¹⁹⁷. Ze względu na szkody, jakie wyrządzają te urządzenia, UE może – poza opisanymi staraniami o promocję zdrowia – działać w drodze środków regulacyjnych mających ograniczyć korzystanie z solariów.

¹⁹³ Buykx P., Li J., Gavens L. i in., Public Awareness of the Link Between Alcohol and Cancer in England in 2015: A Population-Based Survey. *BMC Public Health*, 30 listopada 2016 r.; 16(1): s. 1194.

¹⁹⁴ Stanowisko Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem w sprawie europejskiego planu walki z rakiem: Europejski kodeks walki z rakiem: https://www.iccp-portal.org/sites/default/files/resources/ECL-vision-EU-Beating-Cancer-Plan_final.pdf (dostęp: czerwiec 2020 r.).

¹⁹⁵ Zob. sekcja 1.1.2. lit. c) ppkt (ii) dotycząca roli promieniowania UV w wywoływaniu raka.

¹⁹⁶ Zob. Europejski kodeks walki z rakiem: <https://cancer-code-europe.iarc.fr/index.php/pl/> (dostęp: maj 2020 r.).

¹⁹⁷ Stanowisko Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem w sprawie europejskiego planu walki z rakiem: Europejski kodeks walki z rakiem: https://www.iccp-portal.org/sites/default/files/resources/ECL-vision-EU-Beating-Cancer-Plan_final.pdf (dostęp: czerwiec 2020 r.).

Zalecenie: Zmniejszenie obciążenia rakiem skóry w Europie

UE powinna zwalczać raka skóry przez:

- uznanie uregulacji urzędzeń do sztucznego opalania (solariów) za problem zdrowia publicznego i przenieść odpowiedzialności za ich uregulowanie z Dyrekcji Generalnej ds. Rynku Wewnętrznego, Przemysłu, Przedsiębiorczości i MŚP do Dyrekcji Generalnej ds. Zdrowia i Bezpieczeństwa Żywności;
- badanie możliwości współpracy z państwami członkowskimi w celu stopniowego wycofania z użytku solariów do celów kosmetycznych oraz wdrożenia innych interwencji w zakresie zdrowia publicznego proponowanych przez WHO;
- wprowadzenie obowiązkowych obrazkowych etykiet ostrzegawczych na urządzeniach do opalania, z napisem: „Solaria powodują raka: nawet rzadkie korzystanie z nich zwiększa ryzyko wystąpienia raka skóry”;
- wprowadzenie zakazu twierdzeń o jakichkolwiek rzekomych korzyściach dla zdrowia wynikających z używania urzędzeń do sztucznego opalania;
- zwiększenie nadzoru nad rynkiem solariów, z rygorystycznymi protokołami egzekwowania przepisów zgodnie z wymogami dotyczącymi wieku korzystających z solariów oraz wartości granicznych promieniowania;
- zaostrzenie środków ochrony przed promieniowaniem UV w przepisach bhp pracy na szczeblu UE, ze szczególnym uwzględnieniem ryzyka, na które narażeni są pracownicy pracujący na zewnątrz;
- ułatwienie stosowania urzędzeń do ochrony przeciwsłonecznej i środków indywidualnej ochrony przeciwsłonecznej (np. kremów przeciwsłonecznych) przez wspieranie niższego opodatkowania tych produktów.

Źródło: Stanowisko Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem w sprawie europejskiego planu walki z rakiem: Europejski kodeks walki z rakiem: https://www.iccp-portal.org/sites/default/files/resources/ECL-vision-EU-Beating-Cancer-Plan_final.pdf (dostęp: czerwiec 2020 r.).

ii. *Zapobieganie mimowolnemu narażeniu na czynniki ryzyka zachorowania na raka*

Ludzie przez całe życie narażeni są na wiele różnych środowiskowych i zawodowych czynników ryzyka zachorowania na raka pochodzących z różnych źródeł w domu, w miejscu pracy czy ogólnie w środowisku. Czynniki te obejmują promieniowanie jonizujące, czynniki rakotwórcze w miejscu pracy (np. azbest), zanieczyszczenie powietrza, jak również zanieczyszczenie żywności i wód pestycydami¹⁹⁸.

Ochrona ludzi przed szkodami spowodowanymi przez takie narażenie, nad którym ludzie mają niewielką kontrolę lub nie mają jej wcale, jest szczególnym obowiązkiem państwa. Prawdopodobieństwo rakotwórczości – lub jej wykazanie – doprowadziło do przyjęcia szeregu środków ustawodawczych, stosownie do kontekstu, w jakim może dojść do narażenia.

Zapobieganie nowotworom związanym z wykonywaną pracą można postrzegać w szerszym kontekście unikania w miejscu pracy czynników szkodliwych dla zdrowia. Nowotworom takim można całkowicie zapobiec dzięki kontroli regulacyjnej, jeśli powodują je określone substancje chemiczne; inaczej jest w sytuacji, gdy większe ryzyko wiąże się z wykonywaniem określonego rodzaju pracy. W

¹⁹⁸ Zob. sekcja 1.1.2. lit. c) dotycząca roli środowiskowych i zawodowych czynników ryzyka zachorowania na raka w wywoływaniu raka.

tym pierwszym przypadku **przyjęcie dopuszczalnej wartości narażenia zawodowego na czynniki rakotwórcze** jest podstawowym podejściem regulacyjnym¹⁹⁹.

Z drugiej strony podejście regulacyjne do środowiskowych czynników ryzyka zachorowania na raka może obejmować w szczególności **regulacje lub zakazy dotyczące znanych źródeł zanieczyszczeń** (np. obowiązkowe normy emisji z samochodów z silnikami wysokoprężnymi, ograniczenie lub zakaz stosowania określonych pestycydów) oraz **przyjęcie dopuszczalnych wartości narażenia środowiskowego** na czynniki rakotwórcze (np. norm jakości powietrza).

Chociaż obciążenie chorobami nowotworowymi, które można przypisać tym czynnikom, może być mniejsze niż w przypadku takich czynników ryzyka jak palenie tytoniu, to jednak środowiskowe i zawodowe czynniki ryzyka zachorowania na raka wywołują znaczne szkody i budzą obawy wśród mieszkańców Europy, co należy uwzględnić w europejskiej polityce profilaktyki pierwotnej.

Zalecenie: Ochrona obywateli Unii przed szkodliwym narażeniem zawodowym i środowiskowym na czynniki rakotwórcze

Ze względu na zagrożenia dla zdrowia, jakie w UE stwarzają czynniki rakotwórcze w miejscu pracy i w środowisku, UE powinna opracować konkretne i skuteczne wytyczne, by zmniejszyć narażenie obywateli na te czynniki przez:

- ochronę obywateli w miejscu pracy przez zapewnienie, aby pracodawcy uznali czynniki rakotwórcze w miejscu pracy i przestrzegali ustalonych granicznych poziomów oddziaływania;
- podjęcie działań dotyczących radonu przez zapewnienie opublikowania przez państwa członkowskie zaktualizowanych krajowych planów działania w zakresie radonu, by zmniejszyć narażenie na radon w pomieszczeniach, przez oraz udoskonalenie wytycznych w zakresie łagodzenia skutków narażenia na radon w nowych budynkach;
- wdrożenie na szczeblu UE planu dotyczącego azbestu, zobowiązującego państwa członkowskie UE do wspierania bezpiecznego oczyszczania i usuwania azbestu
- podjęcie odpowiednich środków, odzwierciedlających najnowsze wytyczne WHO, w celu poprawy jakości powietrza w europejskich przestrzeniach miejskich;
- działania we wspólnej polityce rolnej służące zmniejszeniu ilości pozostałości pestycydów w spożywanej żywności oraz zmianę przepisów o materiałach przeznaczonych do kontaktu z żywnością, by zagwarantować wyeliminowanie czynników rakotwórczych i substancji zaburzających funkcjonowanie układu hormonalnego zwiększających ryzyko zachorowania na raka;
- zapewnienie ścisłego powiązania europejskiego planu walki z rakiem z unijną strategią w zakresie chemikaliów na rzecz zrównoważoności i innymi przepisami o chemikaliach, by zracjonalizować i uprościć unijne regulacje dotyczące chemikaliów i pestycydów w odniesieniu do substancji powodujących raka.

Źródło: Stanowisko Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem w sprawie europejskiego planu walki z rakiem: Europejski kodeks walki z rakiem: https://www.iccp-portal.org/sites/default/files/resources/ECL-vision-EU-Beating-Cancer-Plan_final.pdf (dostęp: czerwiec 2020 r.).

¹⁹⁹ World Cancer Report 2014. Genewa, Szwajcaria: Światowa Organizacja Zdrowia, Międzynarodowa Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, WHO Press, 2015 r.

c. Profilaktyka pierwotna ukierunkowana na rakotwórcze czynniki zakaźne: szczepienia i leczenie przeciwdrobnoustrojowe

Znaczny odsetek przypadków raka wywołują rakotwórcze czynniki zakaźne. Nowotworom tym można w dużym stopniu zapobiec dzięki profilaktyce pierwotnej^{200,201}: szczepieniom oraz leczeniu przeciwdrobnoustrojowemu.

i. *Szczepienia przeciwko rakotwórczym czynnikom zakaźnym*

Najskuteczniejszym sposobem zapobiegania zakażeniom wywołującym raka są szczepionki. Opracowano wysoce skuteczne szczepionki przeciwko dwóm najważniejszym czynnikom zakaźnym związanym z rakiem: wirusowi zapalenia wątroby typu B (HBV) i wirusowi brodawczaka ludzkiego (HPV).

Szczepionki przeciwko HBV są dostępne od kilkadziesiąt lat; większość państw włączyła je do programów szczepień ochronnych dzieci. Jednoznacznie wykazano ich skuteczność w zapobieganiu przewlekłemu zakażeniu HBV i rakowi wątroby wśród dzieci i młodzieży. Oczekuje się, że w wielu miejscach szczepienie przeciwko HBV niemal całkowicie wyeliminuje raka wątroby związanego z HBV, kiedy osoby zaszczepione osiągną dorosłość²⁰².

Od 2006 r. dostępne są wysoce skuteczne szczepionki zapobiegające zakażeniu HPV16 i HPV18 – najbardziej rakotwórczymi podtypami HPV, odpowiedzialnymi za większość przypadków raka związanych z HPV. Ponadto od niedawna dostępna jest szczepionka przeciwko kilku dodatkowym rakotwórczym podtypom HPV, co jeszcze bardziej zwiększa potencjalną skuteczność szczepień przeciwko zakażeniu HPV i rakowi wywołanemu tym wirusem²⁰³. Podobnie jak w przypadku HBV, **szczepienia mogą wyeliminować raka wywołanego przez HPV**, co WHO²⁰⁴ i zainteresowane strony z europejskiego środowiska ds. raka²⁰⁵ uznają za ważny cel zdrowia publicznego.

Ponadto podejmuje się starania o opracowanie szczepionki przeciwko *Helicobacter pylori* (kolejny ważny rakotwórczy czynnik zakaźny). Skuteczna szczepionka terapeutyczna lub profilaktyczna byłaby tanim i skutecznym sposobem zmniejszenia ryzyka zachorowania na raka żołądka. Wszystkie prace nad szczepionką przeciwko tej bakterii znajdują się na wczesnym etapie; wydaje się, że inwestycje firm farmaceutycznych w te prace są niewielkie czy wręcz zerowe, a bez takich inwestycji postęp prawdopodobnie będzie ograniczony.

Nie ma też szczepionki przeciwko HCV, głównie z powodu dużej zmienności genetycznej tego wirusa, która znacznie komplikuje opracowanie szczepionki²⁰⁶.

²⁰⁰ Wild C.P., Weiderpass E., Stewart B.W., red. (2020). World Cancer Report: Cancer Research for Cancer Prevention. Lyon, Francja: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem.

²⁰¹ Zob. sekcja 1.1.2. lit. b) dotycząca roli rakotwórczych czynników zakaźnych w powstawaniu raka.

²⁰² WHO (2017). Global hepatitis report 2017. Genewa, Szwajcaria: Światowa Organizacja Zdrowia. Dostępne na stronie internetowej: <https://www.who.int/hepatitis/publications/global-hepatitis-report2017/en/> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

²⁰³ Wild C.P., Weiderpass E., Stewart B.W., red. (2020). World Cancer Report: Cancer Research for Cancer Prevention. Lyon, Francja: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem.

²⁰⁴ Ogólnoświatowy apel WHO o wyeliminowanie raka szyjki macicy: <https://www.who.int/reproductivehealth/call-to-action-elimination-cervical-cancer/en/> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

²⁰⁵ Europejska Organizacja ds. Raka. Eliminating HPV-caused cancers and diseases in Europe: Case for action. <https://www.european-cancer.org/resources/51:eliminating-hpv-caused-cancers-and-diseases-in-europe-case-for-action.html> (opublikowano w grudniu 2019 r.; dostęp: czerwiec 2020 r.).

²⁰⁶ Wild C.P., Weiderpass E., Stewart B.W., red. (2020). World Cancer Report: Cancer Research for Cancer Prevention. Lyon, Francja: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem.

Zalecenie: Udostępnienie wszystkim mieszkańcom UE szczepionek przeciwko rakotwórczym czynnikom zakaźnym

Aby w pełni wykorzystać potencjał szczepień w walce z rakiem i umożliwić całej populacji dostęp do odpowiednich szczepionek, UE powinna:

- dążyć do zajęcia pozycji światowego lidera w eliminowaniu raka wywołanego przez HPV jako problemu zdrowia publicznego przez wspieranie państw członkowskich we wprowadzaniu neutralnego pod względem płci szczepienia przeciwko HPV dla chłopców i dziewcząt;
- zbadać możliwości harmonizacji szczepień przeciwko HBV i HPV w krajowych programach szczepień państw członkowskich, oraz zapewnić sprawiedliwy dostęp do tych szczepień;
- wspierać dalsze badania nad najskuteczniejszymi reżimami szczepień przeciwko rakotwórczym wirusom i bakteriom;
- współpracować z państwami członkowskimi i międzynarodowymi zainteresowanymi stronami, by zwalczać wpływ fałszywych informacji o szczepieniach oraz rozwiązać potencjalne problemy uchylania się od szczepień i braku zaufania do szczepienia, które mogą pojawić się w związku z generycznymi szczepionkami przeciwko HPV produkowanymi w państwach wschodzących, dzięki współpracy z WHO i zainteresowanymi stronami z całego świata.

Źródło: Stanowisko Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem w sprawie europejskiego planu walki z rakiem: Europejski kodeks walki z rakiem: https://www.iccp-portal.org/sites/default/files/resources/ECL-vision-EU-Beating-Cancer-Plan_final.pdf (dostęp: czerwiec 2020 r.). Europejska Organizacja ds. Raka. Eliminating HPV-caused cancers and diseases in Europe: Case for action. <https://www.europecancer.org/resources/51:eliminating-hpv-caused-cancers-and-diseases-in-europe-case-for-action.html> (opublikowano w grudniu 2019 r.; dostęp: czerwiec 2020 r.).

ii. *Leczenia przeciwdrobnoustrojowe w celu zapobiegania przewlekłym zakażeniom rakotwórczymi czynnikami zakaźnymi*

Jak już powiedziano, nie ma obecnie szczepionek przeciwko niektórym głównym rakotwórczym czynnikom zakaźnym (*Helicobacter pylori* i HCV). **Szczepienia są co prawda najskuteczniejszą metodą zapobiegania zakażeniom powodującym raka, problem ten można również rozwiązać przez bezpośrednie leczenie przeciwdrobnoustrojowe**, mające usunąć zakażenie i wyeliminować dany rakotwórczy czynnik zakaźny, zapobiegając w ten sposób zakażeniu przewlekłemu i powstaniu raka.

Skuteczną metodą bezpośredniego leczenia zakażenia *Helicobacter pylori* jest kombinacja środków przeciwdrobnoustrojowych i inhibitorów pompy protonowej. Terapia ta jest szeroko stosowana u osób z objawami. Profilaktyka pierwotna raka związanego z *Helicobacter pylori* polega na leczeniu masowym, jednak badania w tym zakresie są utrudnione, gdyż potrzebna jest duża liczba pacjentów i ich długa obserwacja; mogą również wystąpić szkodliwe konsekwencje w postaci oporności na środki przeciwdrobnoustrojowe i nieznanego wpływu zmian w mikrobiomie.

Z kilku opublikowanych badań wynika jednak, że programy zwalczania *Helicobacter pylori* mogą być skuteczne^{207, 208, 209}.

Ponadto w 2014 r. wprowadzono bezpośrednio działające środki przeciwwirusowe w leczeniu HCV; odsetek wyleczonych osób wyniósł 90% przy minimalnych skutkach ubocznych. Pozwala to mieć większą nadzieję na wyeliminowanie HCV. Złożoność badań w kierunku HCV i wysokie koszty leczenia oznaczają jednak, że terapia ta jest obecnie niedostępna dla większości osób, które mogłyby odnieść z niej korzyść, nawet w krajach o wysokich dochodach^{210, 211}.

1.2.2. Profilaktyka pierwotna w przypadku genetycznej podatności na raka

Chociaż **niektóre typy raka związane z niezmiennymi, dziedzicznymi mutacjami genetycznymi** klasycznie uważa się za niemożliwe do uniknięcia, to jednak **można skutecznie opóźnić ich wystąpienie lub zapobiegać mu**; działania takie można uznać za środki profilaktyki pierwotnej.

Podstawową jest **wdrożenie strategii zmniejszania ryzyka**, co jest możliwe u wszystkich osób z genetyczną podatnością na raka. Strategie takie obejmują poświęcenie większej uwagi środkom profilaktyki pierwotnej zalecanym ogółowi ludności oraz odpowiednie poradnictwo, aby zmniejszyć narażenie na modyfikowalne czynniki ryzyka, o których wiadomo, że są związane z nowotworami groźącymi danej osobie. Konkretnym przykładem jest zmniejszenie narażenia na działanie promieni słonecznych i unikanie solariumów przez osoby z genetyczną podatnością na raka skóry. **Należy przeprowadzić dodatkowe badania, aby ocenić korzyści wynikające z takiego podejścia w przypadku innych nowotworów.**

Ponadto w niektórych przypadkach **osobom z genetyczną podatnością na raka można zaoferować leczenie mające obniżyć ryzyko zachorowania**: chemoprewencję oraz chirurgię profilaktyczną (zmniejszającą ryzyko).

a. Chemoprewencja

Chemoprewencja, tj. stosowanie leków, witamin lub innych środków w celu zmniejszenia ryzyka wystąpienia raka lub opóźnienia rozwoju czy też nawrotu raka²¹², można oferować zdrowym osobom o stwierdzonym wysokim ryzyku zachorowania. Do obecnie stosowanych środków chemoprewencyjnych należą w szczególności:

- tamoksyfen, raloksyfen i anastrozol u kobiet z wysokim ryzykiem zachorowania na raka piersi²¹³;

²⁰⁷ Franceschi S., El-Serag H.B., Forman D. i in. (2018), Infectious agents. W: Thun M.J., Linet M.S., Cerhan J.R. i in. Schottenfeld and Fraumeni cancer epidemiology and prevention, wyd. 4, Nowy Jork (NY), Stany Zjednoczone: Oxford University Press; s. 60–433.

²⁰⁸ Grupa robocza IARC ds. *Helicobacter pylori* (2014). *Helicobacter pylori* eradication as a strategy for preventing gastric cancer. Lyon, Francja: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem (IARC Working Group Reports, nr 8).

²⁰⁹ Pan K.F., Zhang L., Gerhard M. i in., A large randomised controlled intervention trial to prevent gastric cancer by eradication of *Helicobacter pylori* in Linqu County, China: baseline results and factors affecting the eradication. *Gut*, styczeń 2016 r.; 65(1): s. 9–18.

²¹⁰ Kanwal F., El-Serag H.B., Hepatitis C, virus treatment: the unyielding chasm between efficacy and effectiveness. *Clin Gastroenterol Hepatol.*, sierpień 2014 r.; 12(8): s. 3–1381.

²¹¹ Wild C.P., Weiderpass E., Stewart B.W., red. (2020). World Cancer Report: Cancer Research for Cancer Prevention. Lyon, Francja: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem.

²¹² Definicja chemoprewencji opracowana przez amerykański Narodowy Instytut Raka: <https://www.cancer.gov/publications/dictionaries/cancer-terms/def/chemoprevention> (dostęp: maj 2020 r.).

²¹³ Nota faktograficzna brytyjskiej Krajowej Służby Zdrowia na temat profilaktyki raka piersi: <https://www.nhs.uk/conditions/breast-cancer/prevention/> (dostęp: maj 2020 r.).

- izotretynoina i acytretyna dla osób z wysokim ryzykiem zachorowania na raka podstawnokomórkowego skóry²¹⁴;
- aspiryna dla nosicieli mutacji wywołującej zespół Lyncha²¹⁵.

Ze względu na często występujące skutki uboczne leki te zaleca się obecnie tylko osobom z poważnym podejrzeniem lub potwierdzeniem podatności genetycznej (dodatni wywiad rodzinny w kierunku raka lub badania genetyczne w kierunku mutacji germinalnych związanych z predyspozycją do raka) lub osobom, które już przebyły raka – w celu obniżenia ryzyka nawrotu.

Badania kliniczne przemawiają jednoznacznie za wymienionymi interwencjami chemoprewencyjnymi, dlatego ich zalecanie powinno być szeroko propagowane, by zapewnić dostęp do nich wszystkim pacjentom w UE, którym mogą przynieść korzyść. Ponadto biorąc pod uwagę znaczną częstość występowania genetycznej podatności na raka w UE oraz niewystarczające w wielu przypadkach możliwości zapobieżenia wystąpieniu raka, należy wspierać dalsze badania mające na celu wskazanie i kliniczne potwierdzenie nowych środków chemoprewencyjnych.

b. Chirurgia profilaktyczna

Druga możliwość leczenia w profilaktyce pierwotnej raka u osób dotkniętych podatnością genetyczną to chirurgia profilaktyczna. Polega ona na **usunięciu narządu lub gruczołu niewykazującego objawów raka, aby zapobiec wystąpieniu nowotworu u osób z wysokim ryzykiem zachorowania na raka tego narządu lub gruczołu**²¹⁶. Wskazanie do operacji profilaktycznej wynika z podejścia objawowego opartego na dowodach w przypadku monogenetycznej predyspozycji dziedzicznej, tj. osób będących nosicielami jednej z mutacji germinalnych związanych ze znanym wysokim ryzykiem zachorowania na raka. Obecnie zalecanymi zabiegami z zakresu chirurgii profilaktycznej są m.in.:

- **mastektomia profilaktyczna**, operacja mająca zmniejszać ryzyko wystąpienia raka piersi przez usunięcie jednej lub obu piersi przed rozwinięciem się choroby²¹⁷;
- **salpingoowariektomia profilaktyczna**, operacja mająca zmniejszać ryzyko zachorowania na raka jajnika i jajowodu przez usunięcie jajników i jajowodów przed rozwinięciem się choroby²¹⁸.

Oba zabiegi proponuje się w szczególności osobom z mutacjami BRCA, które wiążą się ze zwiększonym ryzykiem zachorowania na raka piersi oraz jajników i jajowodów. Chirurg stara się usunąć całą tkankę piersi lub jajnika i jajowodu, w której może rozwinąć się rak, morfologia uniemożliwia jednak całkowitą ablację, istnieje zatem szczątkowe ryzyko zachorowania na raka po operacji profilaktycznej. Z tego powodu w literaturze **chirurgię profilaktyczną nazywa się również chirurgią zmniejszającą ryzyko**. Badania pokazują jednak, że poziom tego ryzyka jest niewielki; wykazano na przykład, że mastektomia profilaktyczna pozwala zmniejszyć prawdopodobieństwo wystąpienia raka piersi o 90%²¹⁹.

²¹⁴ Nota faktograficzna amerykańskiego Narodowego Instytutu Raka na temat genetyki raka skóry: <https://www.cancer.gov/types/skin/hp/skin-genetics-pdq> (dostęp: maj 2020 r.).

²¹⁵ Wytyczne brytyjskiego Narodowego Instytutu Zdrowia i Doskonałości Klinicznej dotyczące raka jelita grubego: <https://www.nice.org.uk/guidance/ng151/chapter/Recommendations#prevention-of-colorectal-cancer-in-people-with-lynch-syndrome> (dostęp: maj 2020 r.).

²¹⁶ Definicja operacji profilaktycznej opracowana przez amerykański Narodowy Instytut Raka: <https://www.cancer.gov/publications/dictionaries/cancer-terms/def/prophylactic-surgery> (dostęp: maj 2020 r.).

²¹⁷ Definicja mastektomii profilaktycznej opracowana przez amerykański Narodowy Instytut Raka: <https://www.cancer.gov/publications/dictionaries/cancer-terms/def/prophylactic-mastectomy> (dostęp: maj 2020 r.).

²¹⁸ Definicja owariektomii profilaktycznej opracowana przez amerykański Narodowy Instytut Raka: <https://www.cancer.gov/publications/dictionaries/cancer-terms/def/prophylactic-oophorectomy> (dostęp: maj 2020 r.).

²¹⁹ Domchek S.M., Friebel T.M., Singer C.F. i in., Association of Risk-Reducing Surgery in BRCA1 or BRCA2 Mutation Carriers With Cancer Risk and Mortality. *JAMA*, 1 września 2010 r.; 304(9): s. 75–967.

Biorąc pod uwagę inwazyjny i nieodwracalny charakter operacji profilaktycznych, należy zwrócić szczególną uwagę na **zapewnienie pacjentom kwalifikującym się do tych zabiegów informacji i porad** dotyczących konsekwencji przeprowadzenia lub nieprzeprowadzenia takich operacji. Ponadto osoby poddawane operacjom profilaktycznym potrzebują również **szczególnego wsparcia, aby poradzić sobie z biologicznymi, psychologicznymi i społecznymi skutkami tych interwencji**. W związku z tym eksperci z tej dziedziny apelują o **zapewnienie dostępu do zharmonizowanych i stale aktualizowanych wytycznych, a także platform edukacyjnych dla lekarzy i społeczeństwa**.

2. WCZESNE WYKRYWANIE RAKA: BADANIA PRZESIEWOWE I WCZESNA DIAGNOSTYKA

KLUCZOWE WNIOSKI I ZALECENIA: WCZESNE WYKRYWANIE RAKA

Najbardziej opłacalna w walce z rakiem jest profilaktyka pierwotna; profilaktyka wtórna polegająca na badaniach przesiewowych i wczesnym wykrywaniu nowotworów ma jednak istotne znaczenie również dla poprawy wyników pacjentów chorych na raka.

Aby zapewnić na szczeblu europejskim współpracę w badaniach przesiewowych w kierunku raka, Rada Unii Europejskiej wydała w 2003 r. zestaw zaleceń w sprawie ustanowienia zorganizowanych programów badań przesiewowych w kierunku raka piersi, szyjki macicy i jelita grubego w państwach członkowskich UE. Pomimo szeregu inicjatyw na szczeblu europejskim, krajowym i lokalnym **zaleceń tych wciąż nie wdrożono w pełni**, a w całej UE nadal występują znaczne nierówności w dostępie do badań przesiewowych o gwarantowanej jakości, o czym świadczą duże różnice we wskaźnikach zasięgu i udziału w badaniach, a także w innych wskaźnikach skuteczności.

Poza badaniami przesiewowymi pozostają jeszcze poważne wyzwania związane z wczesną diagnozą nowotworów. **Aby osiągnąć wyższy poziom wczesnego rozpoznawania nowotworów, należy odpowiednio podnieść świadomość społeczeństwa na temat potencjalnych objawów raka**, pomóc przezwyciężyć strach lub stygmatyzację związaną z nowotworem oraz zapewnić dostęp do specjalistycznych porad. Wymaga to od **pracowników służby zdrowia umiejętności klinicznych i wiedzy, pozwalających rozpoznać potencjalne objawy** opisywane przez pacjentów lub u nich występujące oraz na czas skierować ich na leczenie specjalistyczne. Kolejnym ważnym elementem wczesnego rozpoznania jest **dokładna ocena kliniczna, diagnoza i ocena stopnia zaawansowania nowotworu**, co również wymaga odpowiedniej wiedzy eksperckiej. **Zalecenia Rady Europejskiej z 2003 r. w sprawie badań przesiewowych w kierunku raka należy zaktualizować**, by uwzględnić w badaniach przesiewowych osiągnięcia naukowe oraz praktyki i najnowsze dowody.

W europejskim planie walki z rakiem i misji UE na rzecz walki z rakiem szczególną uwagę należy poświęcić m.in.:

- **opracowaniu unijnego zestawu wskaźników dotyczących raka, by móc monitorować dostęp do programów badań przesiewowych i ich skuteczność** (i propagować w ten sposób najlepsze praktyki);
- **lepszej harmonizacji gromadzenia danych z badań przesiewowych w kierunku raka;**
- **lepszemu zapewnianiu jakości programów badań przesiewowych;**
- **rozwiązaniu problemu braków kadrowych i zaspokajaniu potrzeb na kształcenie i szkolenia**, aby wspomóc wcześniejsze wykrywanie i diagnozowanie raka, w tym dzięki instrumentom monitorowania i unijnym narzędziom uznawania kwalifikacji;
- **wspieraniu inicjatyw podnoszących świadomość społeczeństwa na temat potencjalnych objawów raka** – inspiracją może być sukces Europejskiego kodeksu walki z rakiem;
- **zapewnieniu stałych inwestycji w badania w stosownych dziedzinach**, takich jak wykorzystanie sztucznej inteligencji i głębokiego uczenia maszynowego do lepszego wykrywania raka.

Jak już wspomniano, profilaktykę pierwotną uznaje się za najbardziej opłacalną strategię walki z rakiem i ogólnie z chorobami niezakaźnymi^{220, 221}. Potrzebne są jednak również inne podejścia, aby uwzględnić wieloczynnikową i nie w pełni zrozumiałą przyczynę powstawania wielu typów raka, a także długi okres latencji, który musi minąć, zanim strategie profilaktyki pierwotnej przyniosą widoczne wyniki^{222, 223}, oraz trudności w objęciu tymi strategiami całej populacji²²⁴.

Profilaktyka wtórna polegająca na wczesnym wykrywaniu²²⁵ jest zasadniczym elementem walki z rakiem. Wczesne wykrycie daje istniejące większe szanse na skuteczne leczenie, a zatem **większe prawdopodobieństwo przeżycia**, niższy współczynnik zachorowalności i obniżenie kosztów leczenia²²⁶. Szacuje się, że profilaktyka wtórna może przynieść pozytywny wynik w **jednej trzeciej przypadków raka** na świecie, w tym niektórych rodzajów raka, które obecnie prowadzą do największej liczby zgonów w Europie, jak rak piersi i rak jelita grubego²²⁷.

Wczesne wykrywanie oznacza wykrycie nowotworu we wczesnym stadium, kiedy jest on jeszcze zlokalizowany w narządzie pierwotnym, zanim zaatakują otaczające go tkanki i organy odległe; wczesne wykrywanie może nawet oznaczać wykrycie stadium przedrakowego. Obejmuje ono **dwie różne strategie**²²⁸:

- **badania przesiewowe**, mające wykryć nierozpoznanego raka lub zmiany prekursorowe u osób z pozoru zdrowych, bezobjawowych, za pomocą badań, testów, obrazowania lub innych procedur, które można szybko zastosować i szeroko udostępnić określonej populacji docelowej²²⁹;
- **wczesną diagnostykę**, czyli jak najwcześniejszym wykrywaniu pacjentów wykazujących objawy²³⁰, w czym często pomaga wiedza pacjenta o wczesnych oznakach i objawach, skłaniająca go do wizyty u lekarza, który następnie niezwłocznie kieruje pacjenta do onkologa w celu potwierdzenia diagnozy i leczenia²³¹.

2.1. Badania przesiewowe w kierunku raka

2.1.1. Uzasadnienie badań przesiewowych i związane z nimi wymogi

Badania przesiewowe mają wyjątkowy potencjał zmniejszania zachorowalności na raka dzięki wykrywaniu i leczeniu zmian prekursorowych, zanim rozwiną się w postać inwazyjną²³², a także **diagnozowania raka we wcześniejszym stopniu zaawansowania**. Badania przesiewowe pozwalają na identyfikację przypadków przed wystąpieniem objawów, a następnie skierowanie do onkologa, **zmniejszając** zatem zarówno **umieralność**²³³, jak i **koszty ekonomiczne raka**, jak

²²⁰ Cancer control: prevention. WHO Guide for effective programmes. Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2007 r.

²²¹ Nota faktograficzna WHO na temat profilaktyki raka: <https://www.who.int/cancer/prevention/en/> (dostęp: maj 2020 r.).

²²² Zob. rozdział 1.2, sekcja dotycząca profilaktyki pierwotnej.

²²³ Schüz J., Espina C., Wild C.P., Primary prevention: a need for concerted action. Mol Oncol., marzec 2019 r.; 13(3): s. 528–534.

²²⁴ Guide to cancer early diagnosis. Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2017 r.

²²⁵ Zob. rozdział 1.2, definicja trzech poziomów profilaktyki raka.

²²⁶ Guide to cancer early diagnosis. Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2017 r.

²²⁷ Cancer control: early detection. WHO Guide for effective programmes. Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2007 r.

²²⁸ Cancer control: early detection. WHO Guide for effective programmes. Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2007 r.

²²⁹ Guide to cancer early diagnosis. Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2017 r.

²³⁰ Nota faktograficzna Biura Regionalnego WHO dla Europy na temat badań przesiewowych i wczesnego wykrywania: www.euro.who.int/en/health-topics/noncommunicable-diseases/cancer/policy/screening-and-early-detection (dostęp: luty 2020 r.).

²³¹ Cancer control: early detection. WHO Guide for effective programmes. Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2007 r.

²³² Cancer control: early detection. WHO Guide for effective programmes. Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2007 r.

²³³ Guide to cancer early diagnosis. Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2017 r.

zaobserwowano już w szeregu państw członkowskich UE^{234, 235}.

W odróżnieniu od programów wczesnej diagnostyki lub wszelkich innych procedur onkologicznych badania przesiewowe są jednak ukierunkowane na całe populacje bezobjawowe, które w większości nie mają raka. Ma to zasadniczy wpływ na **koszty finansowe i zasoby ludzkie potrzebne** do realizacji programów badań przesiewowych, a także **ewentualne szkody** zarówno **dla pacjentów**, zwłaszcza w przypadku hiperdiagnozy i zbędnego leczenia, **jak i dla systemów opieki zdrowotnej**²³⁶.

Dlatego **badania przesiewowe zaleca się wyłącznie w odniesieniu do tych rodzajów raka, w przypadku których dowiedziony skutek ratujący życie znacznie przeważa nad potencjalnymi ujemnymi stronami** badania potencjalnie całej populacji²³⁷. Wdrożenie badań przesiewowych w kierunku raka zależy zatem od szeregu czynników, w tym od obciążenia danym rodzajem nowotworu, jakości dostępnych badań przesiewowych, zdolności systemu opieki zdrowotnej do działania w oparciu o wyniki badań przesiewowych, dostępnej infrastruktury i konkurujących priorytetów w obszarze onkologii²³⁸.

Badania przesiewowe w kierunku raka można prowadzić przy użyciu **dwóch strategii**:

- **zorganizowanych programów badań przesiewowych populacji**, w których organy publiczne systematycznie wysyłają określonej populacji docelowej zaproszenia do udziału w badaniu przesiewowym na podstawie udokumentowanej polityki publicznej określającej podstawowe zasady badań przesiewowych;
- **niepopulacyjnych badań przesiewowych w systemie oportunistycznym**, w których badania przesiewowe są dostępne na wniosek danej osoby lub jej doradcy ds. zdrowia^{239, 240}.

Zorganizowane programy badań przesiewowych gwarantują każdemu równe szanse udziału w badaniu oraz objęcie pacjentów odpowiednim wsparciem i leczeniem, jeżeli ich wyniki odbiegają od normy²⁴¹. Takie programy uważa się za bardziej opłacalne niż badania przesiewowe w systemie oportunistycznym i za powodujące mniej szkód dzięki unikaniu hiperdiagnozy i zbędnego leczenia²⁴².

2.1.2. Przegląd aktualnych ram europejskich dotyczących badań przesiewowych

a. Zalecenie Rady z 2003 r.

Rada Europejska uznała wdrażanie programów badań przesiewowych w celu zmniejszenia obciążenia często występującymi chorobami nowotworowymi priorytet dla państw członkowskich²⁴³, a **Rada**

²³⁴ Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

²³⁵ Digestive Cancers Europe: White Paper on Colorectal Cancer Screening in Europe, luty 2019 r.

²³⁶ Guide to cancer early diagnosis. Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2017 r.

²³⁷ Armaroli P., Villain P., Suonio E. i in., Europejski kodeks walki z rakiem, wyd. 4: Cancer screening. Cancer Epidemiol., grudzień 2015 r.; 39 supl. 1: s. 52–S139.

²³⁸ Guide to cancer early diagnosis. Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2017 r.

²³⁹ Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

²⁴⁰ Glosariusz i definicje w zakresie badań przesiewowych w kierunku raka ze strony internetowej projektu IARC dotyczącego badań przesiewowych w kierunku raka na pięciu kontynentach (CanScreen5): <https://canscreen5.iarc.fr/?page=help> (dostęp: marzec 2020 r.).

²⁴¹ Nota faktograficzna Europejskiego kodeksu walki z rakiem na temat zorganizowanych programów badań przesiewowych w kierunku raka: <https://cancer-code-europe.iarc.fr/index.php/pl/12-sposobow/badania-przesiewowe/najistotniejszy-ze-kwestie-zwiazane-z-badaniami-przesiewowymi-w-kierunku-raka/3521-ul-li-strong-badanie-przesiewowe-w-kierunku-raka-jelita-grubego-strong-br-europejskie-wytyczne-w-zakresie-zapewniania-jako-347-ci-w-ramach-badania-przesiewowego-i-diagnostyki-w-kierunku-raka-jelita-grubego-wydanie-pierwsze-a-href-http-book> (dostęp: marzec 2020 r.).

²⁴² Cancer control: early detection. WHO Guide for effective programmes. Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2007 r.

²⁴³ Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

Ministrów Zdrowia wydała w 2003 r. zestaw zaleceń dotyczących badań przesiewowych w kierunku raka. Zalecenia te obejmują wspólne zobowiązanie państw członkowskich do **wdrożenia systematycznych** krajowych (lub regionalnych) **programów badań przesiewowych populacji** w kierunku trzech typów raka: raka **piersi**, raka **jelita grubego** (odpowiednio trzecie i drugie miejsce wśród najczęstszych przyczyn zgonów na raka w UE²⁴⁴) oraz raka **szyjki macicy**²⁴⁵, które w 2018 r. według oszacowań odpowiadały łącznie za 286 157 zgonów w UE²⁴⁶.

Konkretnie zalecono następujące badania:

- przesiewowe badanie cytologiczne w kierunku prekursorów raka szyjki macicy, wykonywane po raz pierwszy się nie wcześniej niż w wieku 20 lat i nie później niż w wieku 30 lat;
- przesiewowe badanie mammograficzne w kierunku raka piersi wśród kobiet w wieku 50–69 lat;
- badanie przesiewowe kału na obecność krwi utajonej w kierunku raka jelita grubego u mężczyzn i kobiet w wieku 50–74 lat²⁴⁷.

Ponadto w zaleceniu potwierdzono znaczenie zapewnienia jakości na wszystkich właściwych poziomach programów badań przesiewowych, w szczególności na podstawie dotychczasowych lub przyszłych wytycznych europejskich opartych na dowodach i dotyczących najlepszych praktyk, a także zapewnienia dostępności zasobów ludzkich i finansowych na potrzeby odpowiedniej organizacji tych programów i monitorowania ich wdrażania przez gromadzenie danych w państwach członkowskich i prezentowanie sprawozdań Komisji Europejskiej dla Rady Europejskiej²⁴⁸.

b. Inicjatywy wynikające z zalecenia z 2003 r.

Zgodnie z tym zaleceniem od 2003 r. na szczeblu europejskim powstał szereg inicjatyw mających towarzyszyć wdrażaniu zalecanych programów badań przesiewowych w kierunku raka:

- dalsze aktualizacje **europejskich wytycznych w zakresie zapewniania jakości badań przesiewowych w kierunku raka piersi**²⁴⁹, **szyjki macicy**²⁵⁰ i **jelita grubego**²⁵¹, opublikowanych przez Dyрекcję Generalną Komisji Europejskiej ds. Zdrowia i Bezpieczeństwa Żywności (DG SANTE), których kolejne wydania zawierają informacje o nowych dowodach i najlepszych praktykach służących optymalizacji wszystkich aspektów badań przesiewowych, w tym nowych badań przesiewowych, komunikatów informacyjnych i zaproszeń, prowadzenia badań, interpretacji wyników i kierowania pacjentów na dalsze badania lub na leczenie;
- **inicjatywy Komisji Europejskiej na rzecz walki z rakiem piersi (ECIBC) i rakiem jelita grubego (ECICC)** – multidyscyplinarne platformy skupiające pracowników służby zdrowia, naukowców i rzeczników praw pacjenta, mające na celu przegląd i opracowanie europejskich

²⁴⁴ Dane uzyskane z Globalnego Obserwatorium Raka IARC <https://gco.iarc.fr/> (dostęp: marzec 2020 r.).

²⁴⁵ Zalecenie Rady z dnia 2 grudnia 2003 r. w sprawie badań przesiewowych w kierunku raka (2003/878/WE). Dz.U. L 327, s. 34–38.

²⁴⁶ Dane uzyskane z Globalnego Obserwatorium Raka IARC <https://gco.iarc.fr/> (dostęp: marzec 2020 r.).

²⁴⁷ Zalecenie Rady z dnia 2 grudnia 2003 r. w sprawie badań przesiewowych w kierunku raka (2003/878/WE). Dz.U. L 327, s. 34–38.

²⁴⁸ Zalecenie Rady z dnia 2 grudnia 2003 r. w sprawie badań przesiewowych w kierunku raka (2003/878/WE). Dz.U. L 327, s. 34–38.

²⁴⁹ European guidelines for quality assurance in breast cancer screening and diagnosis, wyd. czwarte, suplementy. Dyrekcja Generalna ds. Zdrowia i Bezpieczeństwa Żywności (Komisja Europejska); 2013 r.

²⁵⁰ European guidelines for quality assurance in cervical cancer screening, wyd. drugie, suplementy. Dyrekcja Generalna ds. Zdrowia i Bezpieczeństwa Żywności (Komisja Europejska); 2015 r.

²⁵¹ European guidelines for quality assurance in colorectal cancer screening and diagnosis. Dyrekcja Generalna ds. Zdrowia i Bezpieczeństwa Żywności (Komisja Europejska); 2011 r.

wytycznych dotyczących całej ścieżki leczenia tych rodzajów raka, łącznie z programami badań przesiewowych, oraz ułatwianie wdrożenia tych wytycznych^{252,253};

- **sprawozdania z wdrażania zalecenia Rady w sprawie badań przesiewowych w kierunku raka**, przygotowane przez **Międzynarodową Agencję Badań nad Rakiem (IARC)** dla Komisji Europejskiej, służące monitorowaniu zalecanych programów badań przesiewowych w kierunku raka w państwach członkowskich oraz ich skuteczności (odsetka populacji objętej programami i wskaźników wykrywalności), a także uzasadnianiu dalszych inicjatyw na szczeblu europejskim i krajowym w odniesieniu do takich badań przesiewowych²⁵⁴;
- **zalecenie w sprawie badań przesiewowych w kierunku raka zawarte w Europejskim kodeksie walki z rakiem**²⁵⁵, zachęcające obywateli Unii do udziału w zorganizowanych programach badań przesiewowych w kierunku raka piersi, jelita grubego i szyjki macicy²⁵⁶.

c. Stan wdrożenia zalecanych programów badań przesiewowych w kierunku raka

Pomimo znacznych postępów poczynionych w ostatnich latach **stan wdrożenia zalecanych programów badań przesiewowych w kierunku raka nadal jest w UE niejednolity** – według dostępnych informacji na 2016 r. zaledwie 18 państw członkowskich (i Zjednoczone Królestwo) ma krajowe lub regionalne programy badań przesiewowych populacji w kierunku raka piersi, szyjki macicy i jelita grubego²⁵⁷ (zob. załącznik 4²⁵⁸). Ponadto **stopień zaawansowania prac nad tymi programami i ich wdrażania jest różny** w poszczególnych państwach. Niektóre programy nadal są na etapie planowania, gdyż odpowiednie przepisy przyjęto dopiero niedawno, inne są na etapie pilotażowym na ograniczonym obszarze geograficznym, a realizację jeszcze innych dopiero rozpoczęto lub już ukończono^{259,260} (zob. tabela 1 i załącznik 5²⁶¹).

W większości obecnych zorganizowanych programów badań przesiewowych wybrane populacje docelowe i częstotliwość badań odpowiadają europejskim zaleceniom i wytycznym, a istniejące różnice wynikają z krajowych danych epidemiologicznych i priorytetów²⁶² (zob. załącznik 6²⁶³).

²⁵² Nota informacyjna Komisji Europejskiej na temat jej inicjatywy na rzecz walki z rakiem piersi, <https://healthcare-quality.jrc.ec.europa.eu/discover-ecibc> (dostęp: marzec 2020 r.).

²⁵³ Nota informacyjna Komisji Europejskiej na temat jej inicjatywy na rzecz walki z rakiem jelita grubego, <https://ec.europa.eu/jrc/en/publication/ecicc-european-commission-initiative-colorectal-cancer> (dostęp: marzec 2020 r.).

²⁵⁴ Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

²⁵⁵ Zob. rozdział 1.2, opis Europejskiego kodeksu walki z rakiem w sekcji dotyczącej profilaktyki pierwotnej.

²⁵⁶ Europejski kodeks walki z rakiem, zalecenie 12 <https://cancer-code-europe.iarc.fr/index.php/pl/> (dostęp: marzec 2020 r.).

²⁵⁷ Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

²⁵⁸ Interaktywna mapa Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem przedstawiająca krajowe działania na rzecz wdrażania programów badań przesiewowych w zakresie nowotworów, w ramach polityki dotyczącej zaleceń zawartych w Europejskim kodeksie walki z rakiem w celu zmniejszenia ryzyka zachorowania na raka. Dostępna na stronie internetowej: <https://www.european-cancer-leagues.org/cancer-prevention-ecac-map/#12> (dostęp: marzec 2020 r.).

²⁵⁹ Zob. definicje etapów wdrażania programów badań przesiewowych populacji w glosariuszu i definicjach w zakresie badań przesiewowych w kierunku raka ze strony internetowej projektu IARC dotyczącego badań przesiewowych w kierunku raka na pięciu kontynentach (CanScreen5): <https://canscreen5.iarc.fr/?page=help> (dostęp: marzec 2020 r.).

²⁶⁰ Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

²⁶¹ Programy badań przesiewowych w kierunku raka w UE w 2016 r. Dane uzyskane z: Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

²⁶² Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

²⁶³ Przyjęcie zalecanych populacji docelowych i częstotliwości badań w zorganizowanych programach badań przesiewowych w UE w 2016 r. Dane uzyskane z: Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

Ponieważ nadal nie wszystkie zalecane programy badań przesiewowych są obecnie prowadzone we wszystkich państwach członkowskich UE, dlatego europejskie środowisko ds. raka jednogłośnie apeluje o **dalsze starania o całościową realizację w UE programów badań przesiewowych populacji w kierunku raka piersi, szyjki macicy i jelita grubego**.

Tabela 1: Wdrażanie zalecanych programów przesiewowych w kierunku raka piersi, szyjki macicy i jelita grubego w państwach członkowskich UE i w Zjednoczonym Królestwie w 2016 r.

	Badania przesiewowe w kierunku raka piersi	Badania przesiewowe w kierunku raka szyjki macicy	Badania przesiewowe w kierunku raka jelita grubego
Programy populacyjnych badań przesiewowych	25 (95%)	22 (72%)	23 (72%)
Wdrażanie ukończone	21 (88%)	9 (28%)	9 (27%)
Wdrażanie w toku	3 (3%)	10 (27%)	8 (26%)
Etap pilotażowy	1 (4%)	1 (<1%)	4 (3%)
Planowanie	0	2 (17%)	2 (18%)
Programy badań przesiewowych innych niż populacyjne	3 (5%)	4 (25%)	2 (4%)
Brak programu badań przesiewowych	0	2 (2%)	3 (24%)

Źródło: Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

Uwaga: Podane liczby oznaczają liczbę państw członkowskich UE (wraz ze Zjednoczonym Królestwem), które zgłosiły odpowiednie dane o swoich programach badań przesiewowych w kierunku raka; wartości procentowe w nawiasach odpowiadają odsetkowi populacji UE objętej danym programem badań przesiewowych²⁶⁴ w danych państwach.

2.1.3. Optymalizacja programów badań przesiewowych w kierunku raka

a. Skuteczność programów badań przesiewowych w kierunku raka

i. Wskaźniki dotyczące badań przesiewowych i odsetek populacji docelowej objęty badaniami

Skuteczność programu badań przesiewowych populacji opisuje przede wszystkim **wskaźnik zasięgu badań**, zdefiniowany jako odsetek osób z zalecanej populacji docelowej, u których w danym programie badań przesiewowych wykonano dane badanie w zaplanowanych odstępach czasowych.

Wskaźnik ten zależy od:

- **wskaźnika zasięgu zaproszeń**, zdefiniowanego jako odsetek osób z zalecanej populacji docelowej, które w danym programie badań przesiewowych otrzymały imienne zaproszenie do udziału w badaniu w zaplanowanych odstępach czasowych;

²⁶⁴ Uwzględnione populacje docelowe to: kobiety w wieku 50–69 lat w przypadku badania przesiewowego w kierunku raka piersi; mężczyźni i kobiety w wieku 50–74 lat w przypadku badania przesiewowego w kierunku raka jelita grubego (zgodnie z zaleceniem Rady z 2003 r.); kobiety w wieku 30–59 lat w przypadku badania przesiewowego w kierunku raka szyjki macicy.

- **wskaźnika uczestnictwa**, zdefiniowanego jako odsetek imiennie zaproszonych osób, które odpowiedziały na zaproszenie, a następnie wzięły udział w badaniu przesiewowym²⁶⁵.

Średnie wartości wskaźników zasięgu badań, zasięgu zaproszeń i uczestnictwa w zalecanych programach badań przesiewowych w kierunku raka piersi, szyjki macicy i jelita grubego w UE w 2013 r. przedstawiono w tabeli 2.

Tabela 2: Średnie wskaźniki dotyczące badań przesiewowych w zalecanych (lub powszechnych) populacjach docelowych w programach badań przesiewowych w kierunku raka piersi, szyjki macicy i jelita grubego w UE w 2013 r.

	Badania przesiewowe w kierunku raka piersi	Badania przesiewowe w kierunku raka szyjki macicy	Badania przesiewowe w kierunku raka jelita grubego
Wskaźnik zasięgu badań	49,2%	29,8%	14,0%
Wskaźnik zasięgu zaproszeń	78,9%	59,2%	32,6%
Wskaźnik uczestnictwa	60,2%	50,7%	38,2%

Źródło: Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r. (dane przekazane przez państwa członkowskie dotyczą w większości 2013 r.).

Przy analizowaniu tych średnich wskaźników należy uwzględnić szereg ograniczeń. Dokładność wskaźników ograniczają rozbieżności w danych przekazanych przez państwa członkowskie (brak danych lub zgłoszenie danych z roku innego niż 2013; zob. załącznik 7²⁶⁶) oraz obliczenie wskaźników dla pojedynczego roku zamiast dla pełnych odpowiednich odstępów między badaniami przesiewowymi, co można skorygować²⁶⁷, ale bez możliwości usunięcia zmienności międzyrocznej.

Ponadto we wskaźnikach tych nie uwzględniono wpływu kryteriów wykluczenia z zaproszenia, przyjętych przez niektóre państwa członkowskie w celu odsiania osób niekwalifikujących się do badań przesiewowych. Badania przesiewowe w systemie oportunistycznym, które w wielu państwach europejskich nadal są prowadzone równoległe ze zorganizowanymi badaniami przesiewowymi lub zamiast nich, również mogą dawać wyraźnie niższe wskaźniki zasięgu i uczestnictwa w zorganizowanych programach badań przesiewowych w porównaniu z faktycznymi wskaźnikami badań przesiewowych w populacji docelowej. Dotyczy to zwłaszcza badań przesiewowych w kierunku raka szyjki macicy: badania w systemie oportunistycznym stanowią znaczną część (nawet ponad 90%) badań wykonywanych w szeregu państw członkowskich prowadzących program badań

²⁶⁵ Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

²⁶⁶ Wskaźniki dotyczące trzech zalecanych programów badań przesiewowych w kierunku raka w populacjach docelowych (lub powszechnych) w państwach członkowskich UE w 2013 r. Dane uzyskane z Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

²⁶⁷ Oczekuje się, że pełne wdrożenie programu badań przesiewowych nastąpi w ciągu danego pełnego odstępu między badaniami. W razie zgłoszenia danych za jeden rok wskaźniki zasięgu zaproszeń i zasięgu badań obliczono przy zastosowaniu jako wartości odniesienia „rocznej populacji docelowej”, obliczonej jako iloraz populacji docelowej według danych Eurostatu i odstępu między badaniami przesiewowymi lub, w przypadku badania przesiewowego oferowanego raz w ciągu życia, przez liczbę lat w docelowym przedziale wiekowym.

populacyjnych, co w niektórych przypadkach podnosi łączny wskaźnik zasięgu badań w populacji docelowej do ponad 80%²⁶⁸.

Niemniej ze wskaźników tych wynika, że **odsetek populacji docelowej objętej zalecanymi programami badań przesiewowych populacji jest nadal daleki od poziomów wystarczających do uzyskania maksymalnej skuteczności klinicznej w całej UE**²⁶⁹.

Wszystkie wskaźniki dotyczące badań przesiewowych wykazują **duże zróżnicowanie między państwami europejskimi**, a w niektórych przypadkach – między regionami w obrębie jednego państwa. Jeżeli wziąć pod uwagę tylko te państwa członkowskie, w których zalecane programy badań przesiewowych populacji w kierunku raka były aktywnie wdrażane w momencie gromadzenia danych, wskaźniki zasięgu badań wynosiły 17–84% w przypadku badań przesiewowych w kierunku raka piersi, 4–71% w przypadku badań przesiewowych w kierunku raka szyjki macicy oraz 1–53% w przypadku badań przesiewowych w kierunku raka jelita grubego (zob. załącznik 7²⁷⁰ i załącznik 8²⁷¹).

Wskaźniki te świadczą również o **niskim lub bardzo niskim zasięgu badań w populacji docelowej i o niskim uczestnictwie tej populacji w zalecanych programach badań przesiewowych w wielu europejskich państwach**. Objęcie ponad 70% populacji docelowej zorganizowanymi badaniami przesiewowymi, co Światowa Organizacja Zdrowia (WHO) uznaje za próg skuteczności programu badań przesiewowych w kierunku raka²⁷², udało się osiągnąć tylko pięciu państwom członkowskim UE i Zjednoczonemu Królestwu w odniesieniu do badań przesiewowych w kierunku raka piersi i jednemu państwu w odniesieniu do badań przesiewowych w kierunku raka szyjki macicy, a żadne z państw członkowskich UE nie osiągnęło tego progu w badaniach przesiewowych w kierunku raka jelita grubego. Ponadto wskaźnik uczestnictwa ponad 65%, czyli wartość, którą Rada Europejska określiła jako pożądany poziom docelowy²⁷³, osiągnęło tylko dziewięć państw członkowskich UE i Zjednoczone Królestwo w odniesieniu do badań przesiewowych w kierunku raka piersi, trzy państwa w odniesieniu do badań przesiewowych w kierunku raka szyjki macicy i dwa państwa w odniesieniu do badań przesiewowych w kierunku raka jelita grubego (zob. załącznik 7²⁷⁴).

Chociaż oczekuje się, że w wyniku planowanych, będących na etapie pilotażowym lub wdrażanych zalecanych programów badań przesiewowych, a także ogólnie w wyniku dalszych postępów w realizacji tych programów w całej zalecanej populacji docelowej w wielu państwach członkowskich UE nastąpi pewna poprawa, te dane liczbowe i istniejące nierówności zdrowotne wynikają również z **niewystarczającego przestrzegania przez decydentów i pracowników służby zdrowia**

²⁶⁸ Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

²⁶⁹ Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

²⁷⁰ Wskaźniki dotyczące trzech zalecanych programów badań przesiewowych w kierunku raka w populacjach docelowych (lub powszechnych) w państwach członkowskich UE w 2013 r. Dane uzyskane z: Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

²⁷¹ Wskaźniki zasięgu badań w populacji docelowej w trzech zalecanych programach badań przesiewowych w kierunku raka w państwach członkowskich UE w 2013 r. Dane uzyskane z: Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

²⁷² Nota faktograficzna WHO na temat badań przesiewowych w kierunku raka: <https://www.who.int/cancer/prevention/diagnosis-screening/screening/en/> (dostęp: marzec 2020).

²⁷³ Digestive Cancers Europe: White Paper on Colorectal Cancer Screening in Europe, luty 2019 r.

²⁷⁴ Wskaźniki dotyczące trzech zalecanych programów badań przesiewowych w kierunku raka w populacjach docelowych (lub powszechnych) w państwach członkowskich UE w 2013 r. Dane uzyskane z: Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

wymogów zapewniania jakości. Fakt ten odzwierciedlają dodatkowe wskaźniki skuteczności²⁷⁵, a także różne **problemy w organizacji programów badań przesiewowych**, utrudniające pacjentom dostęp i udział w skutecznych badaniach przesiewowych.

ii. Dodatkowe wskaźniki skuteczności i zapewnienie jakości

Jak potwierdzono w zaleceniu Rady z 2003 r. w sprawie badań przesiewowych w kierunku raka²⁷⁶ oraz w europejskich wytycznych dotyczących wszystkich trzech zalecanych programów^{277,278,279}, przy ocenie skuteczności i zapewnienia jakości programu badań przesiewowych należy uwzględnić wszystkie etapy procesu badań przesiewowych, w tym:

- informowanie i zapraszanie populacji docelowej;
- wykonywanie badania przesiewowego;
- ocenę lub działania następcze w razie wykrycia nieprawidłowości;
- skierowanie na potwierdzenie diagnostyczne i leczenie;
- w stosownych przypadkach leczenie²⁸⁰.

Chociaż powyższe wskaźniki uczestnictwa i zasięgu dobrze nadają się do opisanego pierwszych kroków, to do oceny skuteczności i jakości samego badania przesiewowego oraz pozostałych etapów procesu badań przesiewowych potrzebne są dodatkowe wskaźniki skuteczności:

- wskaźniki wykrywalności raka i inne wyniki kliniczne specyficzne dla każdego z trzech programów badań przesiewowych;
- wskaźniki skierowania do dalszej oceny i zgodności z dalszą oceną;
- w stosownych przypadkach wskaźniki skierowania na leczenie²⁸¹.

Analizując te wskaźniki w państwach członkowskich UE, można zauważyć znaczne różnice między programami badań przesiewowych i w ich obrębie, co uwydatnia konieczność postępowania w zapewnianiu dostępu do wysokiej jakości badań przesiewowych w całej UE²⁸².

b. Organizacja programów badań przesiewowych w kierunku raka

Oprócz standardów wykonywania badań, mających zapewniać pacjentom odpowiednią jakość badań przesiewowych, organizacja programów badań przesiewowych musi spełniać również szereg warunków, obejmujących m.in:

²⁷⁵ Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

²⁷⁶ Zalecenie Rady z dnia 2 grudnia 2003 r. w sprawie badań przesiewowych w kierunku raka (2003/878/WE). Dz.U. L 327, s. 34–38.

²⁷⁷ European guidelines for quality assurance in breast cancer screening and diagnosis, wyd. czwarte, suplementy. Dyrekcja Generalna ds. Zdrowia i Bezpieczeństwa Żywności (Komisja Europejska); 2013 r.

²⁷⁸ European guidelines for quality assurance in cervical cancer screening, wyd. drugie, suplementy. Dyrekcja Generalna ds. Zdrowia i Bezpieczeństwa Żywności (Komisja Europejska); 2015 r.

²⁷⁹ European guidelines for quality assurance in colorectal cancer screening and diagnosis. Dyrekcja Generalna ds. Zdrowia i Bezpieczeństwa Żywności (Komisja Europejska); 2011 r.

²⁸⁰ Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

²⁸¹ Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

²⁸² Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

- jasno sprecyzowaną politykę badań przesiewowych, w postaci ustawy albo urzędowego powiadomienia, określającą populację docelową, badania przesiewowe i ich częstotliwość;
- finansowanie programu badań przesiewowych ze środków publicznych i ich nieodpłatne wykonywanie;
- jasno określony plan zapraszania kwalifikujących się mężczyzn i kobiet (w formie listowej lub przez podmioty podstawowej opieki zdrowotnej);
- zespół zarządzający odpowiedzialny za wdrażanie programu i zapewnienie jakości;
- istnienie rejestrów badań przesiewowych i powiązanie ich z rejestrami nowotworów.

Ze zgromadzonych i przeanalizowanych danych wynika przede wszystkim, że zdecydowana większość państw UE ma programy badań przesiewowych finansowane ze środków publicznych, a zatem zapewnia dostęp do bezpłatnych badań przesiewowych i diagnostycznych. Niemal wszystkie państwa, w których istnieją populacyjne programy badań przesiewowych, mają zespoły odpowiedzialne za ich wdrażanie i zapewnienie jakości. **Niemniej w wielu programach badań przesiewowych rejestry badań nie są powiązane z rejestrami nowotworów i przyczyn zgonów, a jest to warunek niezbędny do określenia wskaźnika występowania raka i zgonów w populacji docelowej.** Zaproszenia do udziału w programach badań przesiewowych są rozsyłane przez określone organizacje bądź przez podmioty lub lekarzy podstawowej opieki zdrowotnej. W większości państw wysyła się zaproszenia z ustalonymi z góry terminami wizyt lub z zestawami do pobrania próbek kału do badania na obecność krwi utajonej (badania przesiewowe w kierunku raka jelita grubego)²⁸³.

c. Dostosowywanie do osiągnięć naukowych i technologicznych

Od czasu wydania w 2003 r. zalecenia Rady w sprawie badań przesiewowych w kierunku raka nastąpił istotny rozwój naukowy i technologiczny w obszarze badań przesiewowych w kierunku raka piersi, szyjki macicy i jelita grubego. Wprowadzono w szczególności nowe badania przesiewowe: w przypadku badań w kierunku raka piersi – mammografię cyfrową, tomografię cyfrową piersi lub uzupełniający rezonans magnetyczny (MRI) u kobiet z wyjątkowo gęstą tkanką piersi²⁸⁴; w przypadku badań w kierunku raka szyjki macicy – test na wirusa HPV, a w przypadku badań w kierunku jelita grubego – badanie kału metodą immunologiczną lub badanie endoskopowe. Badania te są stopniowo wdrażane w programach badań przesiewowych w całej UE.

Należy zauważyć, że poza wprowadzeniem nowych testów programy badań przesiewowych w kierunku raka mogą również skorzystać na postępie naukowym w dziedzinie prognozowania ryzyka zachorowania na raka²⁸⁵, umożliwiającym **rozwój badań przesiewowych dostosowanych do ryzyka.** W polityce badań ze stratyfikacją ryzyka wiek badanych, częstotliwość badań, testy i działania następcze uzależnia się od profilu ryzyka danej grupy populacyjnej. Może to oznaczać nieprowadzenie badań przesiewowych wśród osób o najniższym ryzyku oraz z niekorzystnym spodziewanym stosunkiem korzyści do szkód. Stratyfikacja ryzyka może poprawić ogólną opłacalność oraz stosunek korzyści do szkód w populacyjnych programach badań przesiewowych²⁸⁶, dlatego w europejskim środowisku ds. uważa się ją za istotną szansę na optymalizację programów badań przesiewowych w

²⁸³ Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r.

²⁸⁴ Bakker M.F., De Lange S.V., Pijnappel R.M. i in., Supplemental MRI Screening for Women with Extremely Dense Breast Tissue. *N Engl J Med*, 28 listopada 2019 r.; 381(22): s. 2091–2102.

²⁸⁵ Zob. sekcja 1.1.3. dotycząca prognozowania ryzyka zachorowania na raka i stratyfikacji ryzyka.

²⁸⁶ Lönnberg S., Šekerija M., Malila N. i in., Cancer screening: policy recommendations on governance, organisation and evaluation of cancer screening. W: Albrecht T., Kiasuwa R., Van den Bulcke M., European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem (rozdział 4); 2017 r.

kierunku raka i przyspieszenie diagnozowania nowotworów. Należy zauważyć, że dobór osób z grup wysokiego ryzyka do badań przesiewowych dostosowanych do ryzyka ma również zasadnicze znaczenie w opisanych niżej dyskusjach o ewentualnych dalszych programach badań przesiewowych w kierunku raka, w tym w kierunku raka płuc i raka gruczołu krokowego.

2.1.4. Możliwe rozszerzenie programów badań przesiewowych w kierunku raka

Zalecenie Rady z 2003 r. w sprawie badań przesiewowych w kierunku raka dotyczyło tylko trzech rodzajów raka: piersi, szyjki macicy i jelita grubego.

Obecne stanowisko WHO jest zbieżne z aktualnymi zaleceniami na szczeblu europejskim. Poparto w nim wdrażanie programów badań przesiewowych w kierunku raka piersi, szyjki macicy i jelita grubego, ale nie w kierunku innych typów raka, gdyż uznano, że nie potwierdzono jeszcze opłacalności takich badań ani nie przynoszą one znacznego spadku umieralności²⁸⁷. Jest to również zgodne z wnioskami z nowego współfinansowanego przez UE wspólnego działania w zakresie walki z rakiem, w których stwierdzono, że zanim można będzie zalecić takie dodatkowe programy badań przesiewowych w kierunku raka, należy zgromadzić dalsze dowody²⁸⁸. Możliwość wprowadzenia takich programów jest jednak przedmiotem ożywionej dyskusji w europejskiej społeczności ds. raka. Takie programy już istnieją lub są wprowadzane w niektórych państwach członkowskich UE (np. badania przesiewowe w kierunku raka płuc w Chorwacji).

Badane są następujące wskaźniki chorobowe:

- obecność swoistego antygenu sterczowego (PSA) w przypadku raka gruczołu krokowego^{289, 290};
- niskodawkowa przesiewowa tomografia komputerowa w przypadku raka płuc^{291, 292}.

Inne możliwe dodatkowe badania przesiewowe: w kierunku raka żołądka (badanie endoskopowe/fluoroskopowe, oznaczanie frakcji pepsynogenu lub test na obecność *Helicobacter pylori*), w kierunku raka jajnika (oznaczanie markera CA-125²⁹³).

Opisane rozwiązania dotyczą niektórych z najbardziej śmiertelnych rodzajów raka w UE, zwłaszcza raka płuc i raka gruczołu krokowego, czyli pierwszej i piątej głównej przyczyny zgonów z powodu raka w UE, według szacunków odpowiadające łącznie odpowiednio za 296 140 i 81 542 zgonów w 2018 r.²⁹⁴

Jak już wspomniano, należy jednak pamiętać, że od większości procedur onkologicznych programy badań przesiewowych różnią się tym, że są ukierunkowane na całe populacje bezobjawowe, które w większości nie mają raka, dlatego programy te powodują znaczne obciążenie dla systemów opieki

²⁸⁷ Europejskie konsultacje techniczne WHO w sprawie badań przesiewowych, luty 2019 r.

²⁸⁸ Lönnberg S., Šekerija M., Malila N. i in., Cancer screening: policy recommendations on governance, organisation and evaluation of cancer screening. W: Albrecht T., Kiasuwa R., Van den Bulcke M., European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem (rozdział 4); 2017 r.

²⁸⁹ Europejskie Towarzystwo Urologiczne: Stanowisko w sprawie badań przesiewowych swoistego antygenu sterczowego w kierunku raka gruczołu krokowego, 2019 r.

²⁹⁰ Gandaglia G., Albers P., Abrahamsson P.A. i in., Structured Population-based Prostate-specific Antigen Screening for Prostate Cancer: Stanowisko Europejskiego Towarzystwa Urologicznego z 2019 r. Eur Urol., sierpień 2019 r.; 76(2): s. 142–150.

²⁹¹ Nota faktograficzna Europejskiego Towarzystwa Radiologicznego i Europejskiego Towarzystwa Oddechowego na temat badania przesiewowego w kierunku raka płuc, grudzień 2019 r.

²⁹² De Koning H.J., Van der Aalst C.M., De Jong P.A. i in., Reduced Lung-Cancer Mortality with Volume CT Screening in a Randomised Trial. N Engl J Med., 6 lutego 2020 r.; 382(6): s. 503–513.

²⁹³ Gandaglia G., Albers P., Abrahamsson P.A. i in., Structured Population-based Prostate-specific Antigen Screening for Prostate Cancer: Stanowisko Europejskiego Towarzystwa Urologicznego z 2019 r. Eur Urol., sierpień 2019 r.; 76(2): s. 142–150.

²⁹⁴ Dane uzyskane z Globalnego Obserwatorium Raka IARC <https://gco.iarc.fr/> (dostęp: marzec 2020 r.).

zdrowotnej, jak również nieuniknione szkody dla pacjentów²⁹⁵. Wdrażanie dodatkowych programów badań przesiewowych musi zatem być poparte dowodami wraz z ilościowymi szacunkami korzyści i szkód wynikających z tych programów oraz ich opłacalności. Szczególną uwagę należy poświęcić rozwianiu obaw związanych z hiperdiagnozą (i zbędnym leczeniem) w przypadku badań w kierunku raka gruczołu krokowego i raka jajnika, nieopłacalnością badań przesiewowych w kierunku raka płuc oraz długotrwałymi szkodliwymi skutkami badań przesiewowych w kierunku raka żołądka. Dla uzyskania takich dowodów zasadnicze znaczenie będzie miało finansowanie na szczeblu europejskim testów randomizowanych dotyczących tych potencjalnych nowych badań przesiewowych²⁹⁶.

Zalecenie: Wykorzystanie w pełni potencjału badań przesiewowych w kierunku raka w UE

Aby w pełni wykorzystać potencjał badań przesiewowych w kierunku raka, UE powinna rozważyć aktualizację zaleceń Rady z 2003 r. w sprawie badań przesiewowych w kierunku raka oraz wdrożenia tych zaleceń. Umożliwiłoby to:

1. uwzględnienie nowych rodzajów badań przesiewowych oraz najnowszych danych o najlepszych protokołach takich badań;
2. rozwiązanie problemu niejednorodności między państwami członkowskimi i nierówności w obrębie państw członkowskich w odniesieniu do badań przesiewowych, być może przez zaostrenie kryteriów dotyczących badań przesiewowych w kierunku raka, jeśli chodzi o ramy prawne, zarządzanie i struktury zapewniania jakości;
3. zbadanie możliwości włączenia do zaleceń nowych programów badań przesiewowych w kierunku raka i całościowych strategii profilaktyki pierwotnej.

Dalsze zalecenia polityczne mające zwiększać zasięg badań przesiewowych w kierunku raka i podnieść ich jakość obejmują:

- a. poprawę i harmonizację gromadzenia danych o badaniach przesiewowych w kierunku raka, aby umożliwić regularne monitorowanie obecnych programów badań przesiewowych na szczeblu UE;
- b. przyjęcie na szczeblu UE norm referencyjnych dotyczących skuteczności, aby wspierać poprawę skuteczności krajowych programów badań przesiewowych;
- c. zapewnienie solidnego wdrożenia zaleceń wynikających z wytycznych europejskich;
- d. rozwój wymiany najlepszych praktyk między państwami członkowskimi UE oraz edukacji w obszarze badań przesiewowych w kierunku raka;
- e. zaangażowanie różnych kategorii pracowników służby zdrowia, np. pielęgniarek onkologicznych, a także organizacji pacjentów, we wspieranie dostępu do programów badań przesiewowych i ich akceptacji.

Źródło: Cancer screening in the European Union: Report on the implementation of the Council recommendation on cancer screening (wyd. drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem; 2017 r. Innowacyjne partnerstwo na rzecz walki z rakiem (iPAAC) – Piąty pakiet roboczy: profilaktyka raka.

²⁹⁵ Guide to cancer early diagnosis. Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2017 r.

²⁹⁶ Lönnberg S., Šekerija M., Malila N. i in., Cancer screening: policy recommendations on governance, organisation and evaluation of cancer screening, w: Albrecht T., Kiasuwa R., Van den Bulcke M. European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem (rozdział 4); 2017 r.

2.2. Wczesna diagnostyka raka

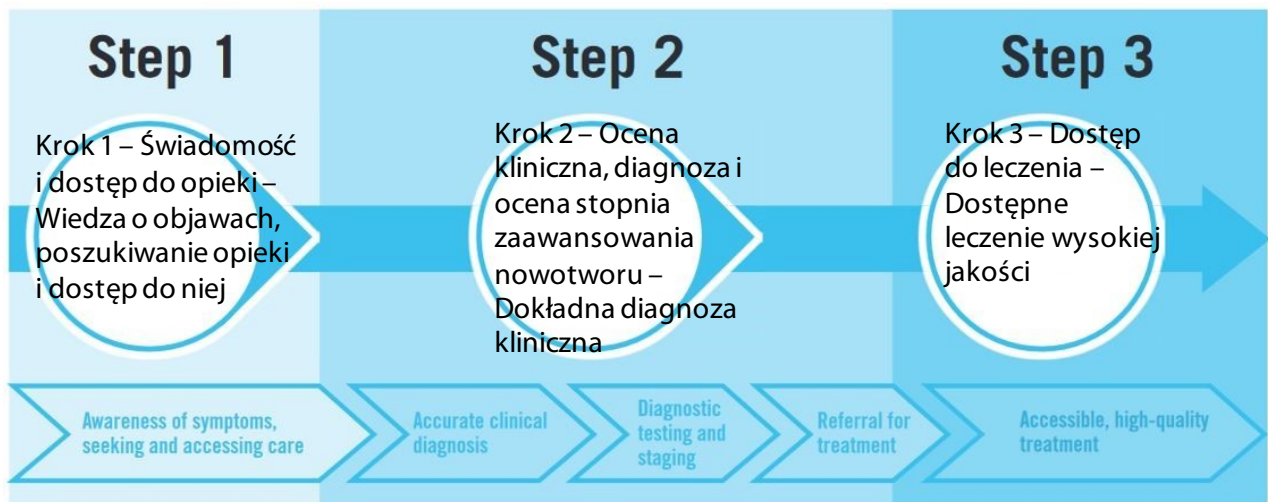
Wczesne wykrycie raka może skutecznie zmniejszyć umieralność. Wobec niedoboru zasobów rak jest często diagnozowany na późnym etapie choroby, co daje niższy wskaźnik przeżyć i potencjalnie wyższą chorobowość oraz wyższe koszty leczenia. Nawet w państwach z silnymi systemami i usługami opieki zdrowotnej wiele przypadków raka diagnozuje się na późnym etapie. Rozwiązanie problemu opóźnień w diagnozowaniu raka i niedostępności leczenia ma zatem we wszystkich okolicznościach zasadnicze znaczenie dla optymalnej walki z rakiem²⁹⁷.

Chociaż wcześniejsze diagnozowanie na ogół poprawia wyniki, należy zwrócić uwagę, że nie przy wszystkich rodzajach raka korzyści będą takie same. Wczesna diagnostyka przynosi zasadniczo największe korzyści w przypadku tych typów raka, które występują z dużą częstotliwością, które można zdiagnozować we wczesnym stadium na podstawie objawów i o których wiadomo, że wczesne leczenie poprawia wyniki. Przykłady to rak piersi, szyjki macicy, jelita grubego i jamy ustnej²⁹⁸.

WHO wskazuje na trzy elementy kluczowe dla optymalizacji systemów wczesnego diagnozowania raka: świadomość; ocena kliniczna, diagnoza i ocena stopnia zaawansowania nowotworu; dostęp do leczenia. Pierwszy i drugi z tych elementów omówiono w niniejszym rozdziale, a dostęp do leczenia dokładniej opisano w następnym rozdziale.

Poprawa wczesnej diagnostyki raka wymaga między innymi inwestowania w systemie opieki zdrowotnej w podnoszenie świadomości i edukację społeczeństwa, kształcenie i szkolenie pracowników służby zdrowia, dostęp do priorytetowych technologii diagnostycznych oraz solidne i interoperacyjne systemy informacji o zdrowiu.

Rysunek 3: Trzy kluczowe elementy wczesnego diagnozowania raka



Źródło: Guide to cancer early diagnosis. Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2017 r.

²⁹⁷ WHO Guide to cancer early diagnosis: https://www.who.int/cancer/publications/cancer_early_diagnosis/en/.

²⁹⁸ Cancer control: early detection. WHO Guide for effective programmes. Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2007 r.

2.2.1. Edukacja podmiotów opieki zdrowotnej i ogółu społeczeństwa na temat objawów ostrzegawczych mogących wskazywać na raka

a. Edukacja ogółu społeczeństwa na temat objawów ostrzegawczych mogących wskazywać na raka

Aby osiągnąć wyższy poziom wczesnego diagnozowania raka, należy pomóc społeczeństwu nabyć pewien poziom wiedzy o określonych objawach raka, zrozumieć ich pilny charakter, przezwyciężyć lęk czy stygmatyzację związaną z rakiem oraz korzystać z łatwego dostępu do odpowiednich skierowań i porad zdrowotnych. Przykłady takich objawów ostrzegawczych dla podzbioru często występujących rodzajów raka przedstawiono w tabeli 3.

Aby lepiej podnosić w Europie wiedzę pacjentów o wczesnych objawach ostrzegawczych, trzeba poprawić kompetencje zdrowotne całej populacji. Niedawna ankieta przeprowadzona wśród europejskich ekspertów w dziedzinie onkologii, opublikowana w 2019 r. w ramach współfinansowanego z UE wspólnego działania innowacyjnego partnerstwa na rzecz walki z rakiem (iPAAC), wykazała, że brak wiedzy o tych objawach to jedna z najczęściej wymienianych przeszkód we wcześniejszej diagnostyce raka²⁹⁹.

W niedawnych konsultacjach na temat europejskiego planu walki z rakiem Europejska Organizacja ds. Raka zasugerowała, że projekt na szczeblu UE mający poprawić kompetencje zdrowotne, które pozwolą obywatelom rozpoznać potencjalne wczesne objawy ostrzegawcze, może mieć ogromne znaczenie dla wczesnego wykrywania, a może zostać zrealizowany przy stosunkowo niewielkich kosztach³⁰⁰. Jako przykład do wyciągnięcia wniosków i potencjalnego naśladowania wskazano wspierany przez UE Europejski kodeks walki z rakiem, który pomaga obywatelom Unii zrozumieć, jak mogą zmniejszyć u siebie ryzyko zachorowania na raka.

²⁹⁹ Brak świadomości jest główną przeszkodą dla wczesnego wykrywania raka: <https://www.ipaac.eu/news-detail/en/24-lack-of-awareness-is-a-major-barrier-to-early-cancer-detection/>

³⁰⁰ Konsultacje publiczne na temat europejskiego planu walki z rakiem: <https://ec.europa.eu/info/law/better-regulation/have-your-say/initiatives/12154-Europe-s-Beating-Cancer-Plan/F507755>

Tabela 3: Często występujące objawy ostrzegawcze przy głównych rodzajach raka

Umiejscowienie nowotworu	Najczęstsze objawy
Piersi	Guzek w piersi, asymetria, retrakcja skóry, niedawne skurczenie się brodawki sutkowej, zabarwiona krwią wydzielina z brodawki, zmiany egzemowe w otocze
Szyjka macicy	Krwawienie po stosunku seksualnym, nadmierne upływy
Okrężnica i odbytnica	Zmiana częstotliwości wypróżniania się, niewyjaśniona utrata masy ciała, niedokrwistość, krew w stolcu (rak odbytniczy)
Jama ustna	Rogowacenie białe (leukoplakia) lub czerwone (erytroplakia) jamy ustnej, rozrost lub owrzodzenie ust
Nosogardziel	Krwawienie z nosa, stale zatkany nos, głuchota, węzły w górnej części szyi
Krtań	Utrzymująca się chrypka
Żołądek	Ból w górnej części brzucha, niedawne wystąpienie niestrawności, utrata masy ciała
Czerniak	Powiększające się brązowe zmiany skórne o nieregularnych granicach lub niejednorodnie zabarwione miejsca, które mogą swędzieć lub krwawić
Inne nowotwory skóry	Niegojące się uszkodzenie lub rana skóry
Pęcherz moczowy	Ból, częste i utrudnione oddawanie moczu, krwimocz
Gruzołkrowy	Trudność w oddawaniu moczu (długotrwała), częste oddawanie moczu w nocy
Siatkówczak	Biała plamka w źrenicy, zez zbieżny (u dziecka)
Jądro	Obrzęk jednego jądra (asymetria)

Źródło: Guide to cancer early diagnosis. Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2017 r.

Uwaga: Te często występujące objawy mogą być wywołane rakiem lub innym schorzeniem. Osoby z tymi objawami powinny niezwłocznie zasięgnąć porady lekarskiej.

b. Podmioty opieki zdrowotnej a wczesne objawy raka

Kolejnym najważniejszym elementem wczesnego rozpoznania jest dokładna ocena kliniczna, diagnoza i ocena stopnia zaawansowania nowotworu przez podmioty opieki zdrowotnej. Dokładna diagnoza kliniczna wymaga umiejętności klinicznych i wiedzy pracowników służby zdrowia na wymaganym poziomie umożliwiającym wykrycie potencjalnych objawów opisanych przez pacjentów lub u nich występujących oraz terminowe skierowanie pacjenta do specjalisty. Regulacje dotyczące umiejętności i kompetencji pracowników służby zdrowia przymuje się głównie na szczeblu krajowym, a po części również na szczeblu UE, jeżeli dane zawody medyczne są objęte ujednoliconymi wymogami w zakresie wykształcenia zgodnie z dyrektywą w sprawie uznawania kwalifikacji zawodowych (dyrektywa 2005/36/WE zmieniona dyrektywą 2013/55/UE). Również

działalność organizacji branżowych pracowników służby zdrowia na szczeblu europejskim w dziedzinie specjalistycznego kształcenia ustawicznego wysokiej jakości pomaga w stałym podnoszeniu kwalifikacji u pracowników służby zdrowia odgrywających określoną rolę we wczesnej diagnostyce.

Oprócz wiedzy o objawach wskazujących na raka trzeba również podnosić wiedzę o czynnikach i wskaźnikach ryzyka zachorowania na raka na potrzeby wczesnej diagnostyki nowotworów. Osoby o podwyższonym ryzyku zachorowania, wynikającym ze wskaźników dziedzicznie uwarunkowanej predyspozycji³⁰¹ albo z narażenia na znane modyfikowalne czynniki ryzyka zachorowania, powinny korzystać z programów nadzoru ukierunkowanego umożliwiających wcześniejsze rozpoznanie raka. Obecność czynników i wskaźników ryzyka zachorowania na raka może postawić objawy pacjentów w innym świetle i wymagać innych działań; na przykład krwawienie z odbytu rzadko jest objawem raka jelita grubego u młodych dorosłych, ale powinno być traktowane jako ważny objaw ostrzegawczy u osób z silnym dodatnim wywiadem rodzinnym. Ponadto podmioty podstawowej opieki zdrowotnej są w stanie udzielać tym pacjentom informacji i porad, jak również kierować ich na badania genetyczne i do poradnictwa genetycznego³⁰².

W nowej publikacji pt. „Essential Requirements for Quality Cancer Care: Primary Care”³⁰³ [„Zasadnicze wymogi w odniesieniu do wysokiej jakości opieki onkologicznej: podstawowa opieka zdrowotna”], zawierającej uzgodnione stanowisko ekspertów, Europejska Organizacja ds. Raka podkreśliła szczególną rolę, jaką pracownicy podstawowej opieki zdrowotnej powinni odgrywać we wcześniejszej diagnostyce raka. **Do kluczowych zaleceń zaliczono udostępnienie wszystkim lekarzom podstawowej opieki zdrowotnej / lekarzom środowiskowym w Europie jasnych i użytecznych wytycznych i narzędzi oceny ryzyka na potrzeby wykrywania i profilaktyki raka. Narzędzia te muszą być zintegrowane z elektroniczną dokumentacją medyczną, aby można było korzystać z nich optymalnie, i muszą pomagać w unikaniu hiperdiagnozy i zbędnego leczenia.**

2.2.2. Efektywność i terminowość kierowania pacjentów do specjalistów

Wszystkie systemy opieki zdrowotnej w Europie zmagają się z wyzwaniem, jakim jest efektywność we wczesnej i dokładnej diagnostyce oraz terminowe kierowanie pacjentów do specjalistów. Ogólnoeuropejskie badanie przeprowadzone w 2019 r. przez All.Can wykazało, że spośród prawie 4 tys. pacjentów chorych na raka i ich opiekunów objętych badaniem 26% wymieniło diagnostykę jako obszar opieki nad chorymi na raka, w którym – jak wynika z ich doświadczenia – panuje największa nieefektywność, większa niż w jakimkolwiek innym obszarze tej opieki³⁰⁴.

a. Rozwiązywanie problemu niedoboru patologów

Diagnostyka patologiczna polega na ocenie komórek i tkanek pod kątem obecności zmian rakowych; dokładna mikroskopowa i molekularna interpretacja tych zmian przez patologów jest niezbędna do ustalenia diagnozy i rokowań, a także do przewidzenia reakcji nowotworu na leczenie. Zabiegi wykonywane w celu pozyskania komórek do badań patologicznych obejmują pobieranie płynów ustrojowych, biopsję aspiracyjną cienkoigłową, biopsję rdzeniową, biopsję endoskopową, biopsję

³⁰¹ Zob. sekcja 1.1.1. lit. b) ppkt (i) dotycząca roli, jaką w wywoływaniu raka odgrywają mutacje germinalne, oraz wskaźników dziedzicznie uwarunkowanej predyspozycji do raka.

³⁰² Zob. sekcja 1.1.3. lit. b) dotycząca dostępu do badań genetycznych i poradnictwa genetycznego.

³⁰³ Banks I., Weller D., Ungan M. i in., Kluczowe wymogi ECCO dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka: Primary Care. Crit Rev Oncol Hematol., październik 2019 r.;142: s. 187–199.

³⁰⁴ Badanie pacjentów All.Can: <https://www.all-can.org/what-we-do/research/patient-survey/>.

pod kontrolą radiologiczną, biopsję chirurgiczną i resekcję chirurgiczną. Jakość badań patologicznych ma krytyczne znaczenie, gdyż niedokładne rozpoznanie raka może prowadzić do szkodliwego, niewłaściwego i zbędnego leczenia³⁰⁵.

Niestety w systemach opieki zdrowotnej w Europie i na całym świecie brakuje wyszkolonych patologów³⁰⁶. W rezultacie często występują nieefektywne „wąskie gardła”, które uniemożliwiają wczesną diagnostykę raka. Organizacje takie jak Cancer Research UK i Royal College of Pathologists uważają, że takie niedobory pracowników powodują rzeczywiste opóźnienia w diagnozowaniu i leczeniu raka³⁰⁷.

b. Dalsze inwestycje w nowe technologie diagnostyczne

Nowe technologie, takie jak sztuczna inteligencja (AI) i głębokie uczenie maszynowe, dają perspektywy poprawy jakości diagnostyki raka³⁰⁸. **Należy nadal finansować ze środków publicznych badanie możliwości wykorzystania tych narzędzi do poprawy walki z rakiem, w tym do wykrywania i diagnostyki, również w ramach misji UE na rzecz walki z rakiem.** Postęp w dziedzinie sztucznej inteligencji i głębokiego uczenia maszynowego w diagnostyce raka jest ściśle związany z pełnym rozwojem patologii cyfrowej, ogromnie ułatwiającej konsultacje specjalistyczne, działania edukacyjne oraz ujednoczenie kryteriów diagnostycznych w różnych państwach europejskich.

c. Wskaźniki jakościowe jako pomoc w terminowym kierowaniu pacjentów do specjalistów

W ramach współfinansowanego przez UE wspólnego działania w zakresie walki z rakiem (CanCon) zebrano reprezentatywne zainteresowane strony i ekspertów w dziedzinie onkologii z całej Europy, aby przeanalizować najważniejsze wyzwania w opiece nad chorymi na raka i walce z rakiem oraz sformułować wspólne propozycje rozwiązania tych problemów. Wśród rozpatrywanych obszarów znalazły się wczesna diagnostyka i lepsze kierowanie pacjentów do specjalistów. Rezultatem tego działania był przełomowy „Europejski przewodnik poprawy jakości w kompleksowej walce z rakiem” (European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control)³⁰⁹. Wśród wielu zaleceń zawartych w tym przewodniku znalazła się sugestia, by w systemach opieki zdrowotnej wprowadzić podstawowe wskaźniki umożliwiające pomiar:

- czasu upływającego od chwili, kiedy lekarz powziął podejrzenie co do objawów i skierował pacjenta do specjalisty, do chwili wykrycia choroby i potwierdzenia diagnozy;
- opóźnień w wykonywaniu zabiegów (chirurgicznych, chemioterapii i radioterapii) z powodu opóźnień w diagnostyce.

³⁰⁵ Guide to cancer early diagnosis. Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2017 r.

³⁰⁶ Horton S., Sullivan R., Flanigan J. i in., Delivering Modern, High-Quality, Affordable Pathology and Laboratory Medicine to Low-Income and Middle-Income Countries: A Call to Action. Lancet, 12 maja 2018 r.; 391(10133): s. 1953–1964.

³⁰⁷ Pathologists shortage „delaying cancer diagnosis” [Brak patologów „opóźnia diagnozowanie raka”]: <https://www.bbc.com/news/health-45497014>

³⁰⁸ AI – A vision for future cancer care: <https://www.theparliamentmagazine.eu/articles/event-coverage/ai-vision-future-cancer-care>

³⁰⁹ European Guide for Quality National Cancer Control Programmes [Europejski poradnik dotyczący kontroli jakości krajowych programów zwalczania nowotworów]: https://cancercontrol.eu/archived/uploads/images/European_Guide_for_Quality_National_Cancer_Control_Programmes_web.pdf.

Zalecenie: Poprawa wczesnej diagnostyki raka w Europie

Możliwości wykorzystania europejskiego planu walki z rakiem i misji UE na rzecz walki z rakiem do poprawy obecnych ram europejskich pod względem wczesnej diagnostyki raka obejmują:

- **pomoc w rozwiązywaniu problemu braków kadrowych i zaspokajaniu potrzeb w zakresie kształcenia i szkolenia**, aby wspomóc wcześniejsze wykrywanie i diagnozowanie raka, w tym dzięki instrumentom monitorowania i wykorzystaniu unijnych narzędzi uznawania kwalifikacji;
- **wspieranie inicjatyw upowszechniania w społeczeństwie wiedzy o potencjalnych objawach raka** – inspiracją może być sukces Europejskiego kodeksu walki z rakiem;
- **zapewnienie stałych inwestycji w badania w stosownych dziedzinach**, takich jak wykorzystanie sztucznej inteligencji i głębokiego uczenia maszynowego do poprawy wykrywania raka.

3. DOSTĘP DO LECZENIA RAKA, OPIEKI I BADAŃ W TYM ZAKRESIE

Zgodnie z najnowszymi szacunkami Globalnego Obserwatorium Raka IARC co roku w państwach UE-27 nowotwór diagnozuje się u prawie 3 mln osób³¹⁰. Każda nowo zdiagnozowana osoba wymaga dostępu do odpowiedniego leczenia i opieki. Rosnąca wiedza o biologii nowotworów i ich charakterystyce molekularnej pokazuje niejednorodność raka – istnieją setki rodzajów nowotworów, definiowanych na podstawie lokalizacji anatomicznej guza i typu komórki, w której występuje nieprawidłowa proliferacja³¹¹. Co więcej, poszczególne nowotwory różnią się w zależności od zmian genetycznych leżących u podstaw karcynogenezy i od indywidualnych cech danego pacjenta. **Dlatego leczenie raka i opieka nad chorym muszą być dostosowane do specyfiki pacjenta i występującego u niego nowotworu.**

Ponadto mimo znacznych postępów w leczeniu nowotworów i zarządzaniu nimi umieralność na raka pozostaje wysoka; rak jest drugą spośród najczęstszych przyczyn zgonów na świecie. Według najnowszych szacunków Globalnego Obserwatorium Raka IARC co roku na raka umiera około 1,2 mln chorych³¹², co wskazuje na potrzebę dostępu do opieki onkologicznej u schyłku życia.

Leczenie raka i opieka nad chorymi obejmują bardzo różne metody i wiele dziedzin medycyny. Należą do nich w szczególności:

- chirurgia onkologiczna, radioterapia, onkologia interwencyjna;
- chemioterapia, terapia radionuklidowa, immunoterapia, terapia hormonalna i terapia celowana;
- opieka podstawowa, specjalistyczne pielęgniarstwo onkologiczne, farmacja onkologiczna;
- psychoonkologia, leczenie podtrzymujące i opieka paliatywna.

Ponadto **wiadomo, że zarządzanie przypadkami raka przez zespoły wielodyscyplinarne, składające się z przedstawicieli wszystkich stosownych zawodów medycznych, ma decydujące znaczenie dla wyników leczenia.** Leczenie raka i opiekę nad chorymi można postrzegać jako złożoną maszynę o wielu częściach składowych, wzajemnie od siebie uzależnionych. Każdy zawód medyczny wnosi wyjątkowy zbiór umiejętności i wiedzy w proces podejmowania decyzji klinicznych o indywidualizowanym leczeniu pacjenta i opiece nad nim. To właśnie **wielodyscyplinarność i wielozawodowość** służą zapewnieniu pacjentom optymalnego leczenia i opieki.

Wymogi kluczowe dla najlepszego leczenia i opieki chorym na raka obejmują:

- zrównoważony dostęp do najlepszego dostępnego leczenia i wielodyscyplinarnej opieki wysokiej jakości;
- rozwijanie możliwości, jakie dają nowe technologie;
- poprawę możliwości zaawansowanego kształcenia i specjalistycznego szkolenia onkologicznego pracowników opieki zdrowotnej;
- uzupełnianie znanych niedoborów pracowników;
- stymulowanie badań nad leczeniem raka i podnoszenie standardów opieki nad chorymi na raka.

³¹⁰ Dane dotyczące zachorowalności na raka w 2018 r. w UE-27, uzyskane z Globalnego Obserwatorium Raka IARC: <https://gco.iarc.fr/today/home> (dostęp: maj 2020 r.).

³¹¹ Zob. sekcja 1.1.1. lit. d) dotycząca heterogeniczności raka.

³¹² Dane dotyczące umieralności z powodu raka w 2018 r. w UE-27, uzyskane z Globalnego Obserwatorium Raka IARC: <https://gco.iarc.fr/today/home> (dostęp: maj 2020 r.).

3.1. Dostęp do leczenia raka

KLUCZOWE WNIOSKI I ZALECENIA: DOSTĘP DO LECZENIA RAKA

Leczenie raka musi być multimodalne. Kluczowe metody leczenia nowotworów obejmują leczenie niesystemowe, takie jak radioterapia i chirurgia, oraz leczenie systemowe za pomocą środków farmaceutycznych. **Trzeba rozwiązać problem nierówności w dostępie do wszystkich metod leczenia nowotworów.**

Chirurgia jest kluczowym elementem leczenia raka i w istotnym stopniu przyczynia się do poprawy wskaźników przeżycia w Europie. Chirurgicznie można wyleczyć większość guzów litych, dlatego procedury chirurgiczne pozostają podstawową metodą leczenia raka. W UE różnice w jakości wykonywanych operacji i nierówny dostęp do odpowiednich interwencji chirurgicznych prowadzą do znacznych różnic w wynikach leczenia w obrębie poszczególnych państw i między państwami. **Uznanie chirurgii onkologicznej za specjalizację i ułatwienie dostępu pacjentów do ośrodków chirurgii onkologicznej działających na dużą skalę może w dużym stopniu przyczynić się do zniwelowania tych różnic.**

Radioterapia jest bezpiecznym i wysoce skutecznym sposobem leczenia raka przy użyciu promieniowania jonizującego, przede wszystkim wysokoenergetycznego promieniowania rentgenowskiego. Radioterapia jest kluczowym filarem leczenia raka i w ponad połowie przypadków jest niezbędna do leczenia miejscowego, łagodzenia objawów i kontroli rozwoju choroby w przypadku raka nieuleczalnego. Radioterapię zaleca się jako element leczenia u ponad 50% pacjentów. Z badań wynika jednak, że co najmniej jedna czwarta potrzebujących radioterapii nie ma do niej dostępu. Pomimo leczniczego wpływu radioterapii jest ona zbyt często niedoinwestowana, mimo że cechują ją stosunkowo niskie koszty. **Do głównych postulatów mających przynieść postęp w tym obszarze leczenia we wszystkich państwach należą wspieranie i uznawanie w całej Europie ujednoliconych norm kształcenia i szkolenia oraz większe inwestycje z unijnych i krajowych funduszy w badania naukowe i innowacje w dziedzinie radioterapii.**

Obszar **medycyny onkologicznej** bardzo szybko się rozwija i zmienia, głównie dzięki postępom w spersonalizowanej terapii i onkologii precyzyjnej. Ważnym tego przykładem jest pojawienie się terapii CAR-T. To z kolei spowodowało zapotrzebowanie na zmiany zarówno w regulacyjnych mechanizmach zatwierdzania, jak i w strategii ustalania cen i refundacji nowych metod leczenia. Dlatego **nowa strategia farmaceutyczna UE powinna być śmiała i ambitna pod względem terminowej aktualizacji modeli regulacyjnych i modeli zachęt** oraz w pełni uwzględniać nowe osiągnięcia w nauce, praktyce i gromadzeniu dowodów. Powinna również zmierzać do mtrwałej poprawy metod współpracy między państwami członkowskimi UE w zapewnianiu pacjentom sprawiedliwego i terminowego dostępu do leków.

Należy pokonać opóźnienie w przyjmowaniu wniosku ustawodawczego Komisji Europejskiej w sprawie zacieśnienia współpracy między państwami członkowskimi w dziedzinie oceny technologii medycznych. Ciągłe opóźnienie rodzi poważną frustrację, gdyż wola wdrożenia tego wniosku jest powszechna.

Aby bardziej długoterminowo rozwiązać utrzymujący się **problem niedoboru leków onkologicznych**, strategia farmaceutyczna UE powinna: poprawić skuteczność prawodawstwa farmaceutycznego UE w zakresie powiadamiania o niedoborach; zapewnić państwom członkowskim przejrzystsze wytyczne dotyczące funkcjonowania handlu równoległego; zapewnić lepszą wymianę informacji między krajami w zakresie zarządzania niedoborami i zapobiegania im; zachęcać do usprawnienia procedur udzielania zamówień publicznych dotyczących leków generycznych.

Jak wspomniano w powyższym wprowadzeniu, **leczenie raka musi być multimodalne**. Kluczowe metody leczenia raka obejmują:

- leczenie niesystemowe, takie jak chirurgia onkologiczna, radioterapia i onkologia interwencyjna;
- leczenie systemowe lekami onkologicznymi, stosowane w chemioterapii, terapii radionuklidowej, immunoterapii, terapii hormonalnej lub terapii celowanej.

Co ważne, leczenie często wymaga **połączenia kilku metod leczenia**; wyróżnić można dwie ważne kategorie takich połączeń:

- leczenie neoadiuwantowe, czyli terapię lekową lub radioterapię mające zmniejszyć guza przed głównym leczeniem, zazwyczaj chirurgicznym^{313,314};
- leczenie adiuwantowe, w którym pacjent otrzymuje leki onkologiczne jako uzupełnienie po procedurze chirurgicznej lub radioterapii, aby obniżyć ryzyko nawrotu raka lub wyeliminować pozostałe komórki nowotworowe³¹⁵.

Znane są wyzwania i nierówności w dostępie do tych metod leczenia; należy zająć się nimi na wszystkich etapach, począwszy od opracowania nowych metod leczenia, a skończywszy na ich skutecznym zapewnianiu pacjentom.

3.1.1. Dostęp do niesystemowego leczenia raka

W przeciwieństwie do leczenia opartego na onkologii medycznej niesystemowe leczenie raka nie oznacza wprowadzania substancji do krwiobiegu pacjenta w celu dotarcia do komórek nowotworowych i oddziaływania na nie. Leczenie takie obejmuje ono trzy główne metody: chirurgię onkologiczną, radioterapię i onkologię interwencyjną.

a. Dostęp do chirurgii onkologicznej

Chirurgia jest kluczowym elementem leczenia raka i w istotnym stopniu przyczynia się do poprawy wskaźników przeżycia w Europie. Chirurgicznie można wyleczyć większość guzów litych³¹⁶, dlatego jest to podstawowa metoda leczenia raka. Szacuje się, że nawet 80% wszystkich nowych przypadków raka wymaga procedury chirurgicznej, niekiedy kilkukrotnej³¹⁷. Dlatego też chirurdzy odgrywają kluczową rolę w profilaktyce, diagnostyce i leczeniu raka oraz w badaniach nad rakiem, na całej ścieżce diagnozowania i leczenia większości rodzajów raka. Chirurdzy są najczęściej pierwszymi specjalistami, których pacjenci spotykają, i są zaangażowani w całą ścieżkę opieki – od porady diagnostycznej po procedurę chirurgiczną i opiekę pooperacyjną³¹⁸.

W przeciwieństwie do wielu innych metod leczenia raka procedura chirurgiczna jest leczeniem miejscowym, oddziałującym tylko na lokalizację anatomiczną nowotworu. Może być stosowana do

³¹³ Definicja leczenia neoadiuwantowego opracowana przez amerykański Narodowy Instytut Raka: <https://www.cancer.gov/publications/dictionaries/cancer-terms/def/neoadjuvant-therapy> (dostęp: maj 2020 r.).

³¹⁴ Zob. sekcja 3.1.1. lit. a) dotycząca krytycznego znaczenia chirurgii onkologicznej w leczeniu raka.

³¹⁵ Definicja leczenia adiuwantowego opracowana przez amerykański Narodowy Instytut Raka: <https://www.cancer.gov/publications/dictionaries/cancer-terms/def/adjuvant-therapy> (dostęp: maj 2020 r.).

³¹⁶ Guzy lite definiuje się jako przeciwieństwo nowotworów „płynowych”, czyli hematologicznych, które wiążą się z nieprawidłową proliferacją komórek w krwi lub szpiku (np. białaczki).

³¹⁷ Sullivan R., Alatisse O.I., Anderson B.O. i in., Global cancer surgery: delivering safe, affordable, and timely cancer surgery. *Lancet Oncol.*, 2015 r.; 16(11): s. 224–1193.

³¹⁸ Zob. biała księga Europejskiego Towarzystwa Onkologii Chirurgicznej (ESSO) „The value of surgical oncology in the management of cancer patients”: <https://www.essoweb.org/media/documents/value-of-surgical-oncology.pdf> (opublikowano w kwietniu 2020 r.; dostęp: czerwiec 2020 r.).

fizycznego usunięcia całego guza albo jego części („cytoredukcja”), jeśli całkowite usunięcie spowodowałoby uszkodzenie organu (lub organizmu), często w połączeniu z innymi metodami, aby leczenie było skuteczne. Leczenie chirurgiczne można stosować również u niektórych pacjentów z przerzutami³¹⁹. Również w leczeniu paliatywnym można łagodzić objawy chirurgicznie, usuwając guzy powodujące ból lub ucisk³²⁰. W niektórych przypadkach procedura chirurgiczna może być także stosowana zapobiegawczo, w ramach profilaktyki pierwotnej³²¹.

Co ważne, chirurgia onkologiczna w ogromnym stopniu korzysta z osiągnięć naukowych pozwalających lepiej zrozumieć biologię nowotworu na poziomie molekularnym; pozwala to ustalić najlepszy moment na przeprowadzenie procedury chirurgicznej, a także określić, w jakim stopniu należy usunąć tkanki sąsiadujące z nowotworem. W ostatnich latach **nastąpił również istotny postęp technologiczny w chirurgii onkologicznej, w tym wspomaganie robotami, małoinwazyjna chirurgia onkologiczna sterowana obrazem oraz chirurgia oszczędzająca narząd**. Innowacje te zwiększają precyzję procedur chirurgicznych oraz zmniejszają natychmiastowe i długofalowe skutki uboczne, z jakimi borykają się chorzy po operacji³²². Kluczowe znaczenie ma jednak pełna ocena tych innowacji oraz odpowiednie szkolenia i wdrożenie systemów zapewniania jakości, by zagwarantować bezpieczeństwo pacjentów³²³.

Pomimo rosnącej zachorowalności na raka i zapotrzebowania na chirurgię jako skuteczną metodę leczenia **tylko 25% pacjentów na całym świecie uzyska bezpieczną, terminową, przystępną cenowo opiekę chirurgiczną wysokiej jakości**. W UE różnice w jakości wykonywanych operacji i nierówny dostęp do odpowiednich interwencji chirurgicznych prowadzą do znacznych różnic w wynikach leczenia raka między pacjentami, w obrębie państw i między nimi³²⁴. Te różnice w wynikach leczenia chirurgicznego mogą wiązać się z aktywnością chirurgów i z obciążeniem pracą, w tym z liczbą pacjentów z konkretnym rodzajem raka operowanych w ciągu roku, a także z certyfikacją subspecjalistyczną i warunkami panującymi w szpitalach. Liczne badania dowiodły, że ośrodki chirurgii onkologicznej i specjaliści chirurgicy działający na dużą skalę uzyskują lepsze wyniki w leczeniu złożonych lub zaawansowanych nowotworów. Ponadto wykazano, że wyspecjalizowani chirurdzy uzyskują lepsze wyniki w leczeniu chirurgicznym raka niż chirurdzy bez specjalizacji³²⁵.

³¹⁹ Zob. biała księga Europejskiego Towarzystwa Onkologii Chirurgicznej (ESSO) „The value of surgical oncology in the management of cancer patients”: <https://www.essoweb.org/media/documents/value-of-surgical-oncology.pdf> (opublikowano w kwietniu 2020 r.; dostęp: czerwiec 2020 r.).

³²⁰ Nota faktograficzna amerykańskiego Narodowego Instytutu Raka na temat operacyjnego leczenia raka: <https://www.cancer.gov/about-cancer/treatment/types/surgery> (dostęp: maj 2020 r.).

³²¹ Zob. sekcja 1.2.2. lit. b) dotycząca chirurgii profilaktycznej w leczeniu raka.

³²² Nota faktograficzna amerykańskiego Narodowego Instytutu Raka na temat operacyjnego leczenia raka: <https://www.cancer.gov/about-cancer/treatment/types/surgery> (dostęp: maj 2020 r.).

³²³ Zob. biała księga Europejskiego Towarzystwa Onkologii Chirurgicznej (ESSO) „The value of surgical oncology in the management of cancer patients”: <https://www.essoweb.org/media/documents/value-of-surgical-oncology.pdf> (opublikowano w kwietniu 2020 r.; dostęp: czerwiec 2020 r.).

³²⁴ Zob. biała księga Europejskiego Towarzystwa Onkologii Chirurgicznej (ESSO) „The value of surgical oncology in the management of cancer patients”: <https://www.essoweb.org/media/documents/value-of-surgical-oncology.pdf> (opublikowano w kwietniu 2020 r.; dostęp: czerwiec 2020 r.).

³²⁵ Bilimoria K.Y., Phillips J.D., Rock C.E. i in., Effect of surgeon training, specialisation, and experience on outcomes for cancer surgery: a systematic review of the literature. *Ann Surg Oncol.* 2009 r.; 16(7): s. 808–1799.

Zalecenie: Doskonalenie systemów chirurgii w UE

Różnice w jakości zabiegów z zakresu chirurgii onkologicznej i coraz większa złożoność tej dziedziny wskazują na potrzebę udoskonalenia systemów chirurgii w UE. Można to osiągnąć przez:

- uznanie chirurgii onkologicznej za specjalizację i ustanowienie ogólnoeuropejskich norm jakości w chirurgii onkologicznej;
- ułatwienie pacjentom dostępu do ośrodków chirurgii onkologicznej działających na dużą skalę;
- inwestowanie w infrastrukturę sektora publicznego, a także w kształcenie i szkolenie chirurgów onkologicznych;
- dostęp do innowacyjnych procedur chirurgicznych, pod warunkiem że innowacja ma charakter zrównoważony i przynosi chorym na raka wystarczającą wartość dodaną.

Ze względu na kluczowe znaczenie chirurgii w leczeniu raka monitorowanie powyższych działań powinno być elementem nowo utworzonego europejskiego zestawu wskaźników dotyczących raka.

Źródło: Kovacs T., Rubio I.T., Markopoulos C. i in., BRESO Structure Working Group. Theoretical and practical knowledge curriculum for European Breast surgeons. Eur J Surg Oncol., kwiecień 2020 r.; 46(4 Pt B): s. 717. The European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control, 2017 r. Dokument programowy nr 4, „Tackling Social Inequalities in Cancer Prevention and Control”.

b. Dostęp do radioterapii

Radioterapia jest bezpiecznym i wysoce skutecznym sposobem leczenia raka przy użyciu promieniowania jonizującego, przede wszystkim wysokoenergetycznego promieniowania rentgenowskiego. Umożliwia ona specjalistom onkologom precyzyjnie namierzyć komórki nowotworowe i zniszczyć je przez dostarczenie jak najskuteczniejszej dawki.

Radioterapia jest kluczowym filarem leczenia raka; w ponad połowie przypadków jest niezbędna do leczenia choroby miejscowo, łagodzenia objawów i kontroli rozwoju choroby w przypadku raka nieuleczalnego. Radioterapia leczy wiele rodzajów raka. Istnieją dowody, że w 40% wszystkich wyleczonych przypadków nowotwór wyeliminowano radioterapią – samą albo w połączeniu z innymi metodami leczenia^{326,327}. Może ona być stosowana samodzielnie albo w celu uzupełnienia lub wzmocnienia efektów innych metod leczenia, na przykład aby zmniejszyć rozmiar nowotworu lub zahamować jego rozwój przed procedurą chirurgiczną i po niej lub w połączeniu z chemioterapią, terapią celowaną lub immunoterapią.

Rozwój radioterapii i innowacje w tej dziedzinie pojawiają się szybko, nie tylko dzięki wydajniejszym aparatom, lecz także dzięki lepszej integracji obrazowania przed leczeniem i w jego trakcie oraz dzięki możliwościom, jakie dają lepsze algorytmy obliczeniowe. Opracowano nowsze techniki o coraz większej dokładności w dostarczaniu dawki do celu, jednocześnie optymalnie oszczędzające sąsiednie narządy krytyczne. W rezultacie poprawiono kontrolę lokalną i zmniejszono toksyczność ostrą i późną,

³²⁶ Hanna T.P., Shafiq J., Delaney G.P. i in., The population benefit of evidence-based radiotherapy: 5-Year local control and overall survival benefits. Radiother Oncol., luty 2018 r.; 126(2): s. 97–191.

³²⁷ Departament Zdrowia, zespół ds. polityki w dziedzinie walki z rakiem. 2012 Radiotherapy Services in England 2012. Londyn: Departament Zdrowia.

co pozwala na krótsze harmonogramy leczenia, lepsze połączenie z leczeniem systemowym oraz leczenie nowych wskazań i populacji pacjentów³²⁸.

Radioterapię zaleca się jako element leczenia u ponad 50% pacjentów chorych na raka. **Z badań wynika jednak, że co najmniej jedna czwarta potrzebujących radioterapii nie ma do niej dostępu**^{329, 330}.

Przewiduje się, że wraz ze wzrostem zachorowalności na raka zapotrzebowanie na radioterapię wzrośnie o 16% do 2025 r., a obecne zdolności nie wystarczą do zaspokojenia tego zapotrzebowania³³¹. Argumentem za zwiększeniem inwestycji w zdolności radioterapii są prognozy, z których wynika, że gdyby do 2035 r. każdy chory na raka wymagający radioterapii mógł uzyskać do niej dostęp, co roku na całym świecie uratowano by życie prawie miliona osób³³².

W całej Europie występuje sześć- lub siedmiokrotna różnica w dostępie do sprzętu do radioterapii oraz trzy- lub pięciokrotna różnica pod względem dostępnego personelu i obciążenia pracą. Liczba zabiegów przeprowadzanych rocznie w przeliczeniu na jednostkę zasobów – czy to sprzętu, czy personelu – rośnie wraz ze spadkiem dochodu narodowego brutto na mieszkańca^{333, 334}.

Pomimo leczniczego wpływu radioterapii jest ona zbyt często nieinwestowana mimo stosunkowo niskich kosztów. Chociaż radioterapia to ważny element leczenia onkologicznego, przypada na nią tylko niewielka część budżetu na onkologię; na przykład w Szwecji i Anglii odsetek ten wynosi zaledwie 5%^{335, 336}.

Zalecenie: Podjęcie wyzwań związanych z radioterapią w UE

Praktyczne środki mogące poprawić dostęp chorych na raka do wysokiej jakości radioterapii dzięki działaniom na szczeblu europejskim obejmują:

- uznanie fizyki medycznej i radioterapii za dyscypliny specjalistyczne;
- wspieranie i uznawanie w całej Europie zharmonizowanych norm kształcenia i szkolenia;
- większe inwestycje z unijnych i krajowych funduszy na badania i innowacje w radioterapii.

Ze względu na kluczowe znaczenie radioterapii w leczeniu raka monitorowanie tych działań, w tym dostępu do innowacyjnych technologii i technik radioterapii, powinny być elementem nowo utworzonego europejskiego zestawu wskaźników dotyczących raka.

³²⁸ Thompson M.K., Poortmans P., Chalmers A.J. i in., Practice-changing radiation therapy trials for the treatment of cancer: where are we 150 years after the birth of Marie Curie? *Br J Cancer*, sierpień 2018 r.; 119(4): s. 389–407.

³²⁹ Borrás J.M., Barton M., Grau C. i in., The impact of cancer incidence and stage on optimal utilisation of radiotherapy: Methodology of a population based analysis by the ESTRO-HERO project. *Radiother Oncol.*, lipiec 2015 r.; 116(1): s. 45–50.

³³⁰ Borrás J.M., Lievens Y., Dunscombe P. i in., The optimal utilisation proportion of external beam radiotherapy in European countries: An ESTRO-HERO analysis. *Radiother Oncol.*, lipiec 2015 r.; 116(1): s. 38–44.

³³¹ Borrás J.M., Lievens Y., Barton M. i in., How many new cancer patients in Europe will require radiotherapy by 2025? An ESTRO-HERO analysis. *Radiother Oncol.*, kwiecień 2016 r.; 119(1): s. 5–11.

³³² Atun R., Jaffray D.A., Barton M.B. i in., Expanding global access to radiotherapy. *Lancet Oncol.*, wrzesień 2015 r.; 16(10): s. 86–1153.

³³³ Lievens Y., Defourny N., Coffey M. i in., Radiotherapy staffing in the European countries: final results from the ESTRO-HERO survey. *Radiother Oncol.*, 2014 r.; 112: s. 86–178.

³³⁴ Grau C., Defourny N., Malicki J. i in., Radiotherapy equipment and departments in the European countries: final results from the ESTRO-HERO survey. *Radiother Oncol.*, 2014 r.; 112: s. 64–155.

³³⁵ Departament Zdrowia, zespół ds. polityki w dziedzinie walki z rakiem. 2012 *Radiotherapy Services in England 2012*. Londyn: Departament Zdrowia.

³³⁶ Norlund A., Costs of radiotherapy. *Acta Oncol.*, 2003 r.; 42(5–6): s. 5–411.

c. Dostęp do onkologii interwencyjnej

Radiologia interwencyjna to subspecjalizacja medyczna, w której przeprowadza się minimalnie inwazyjne procedury sterowane obrazem na potrzeby diagnostyki i leczenia. Te techniki celowane mają zastosowanie do wielu schorzeń, a w ciągu ostatnich 20 lat zaczęto je stosować w leczeniu raka.

Onkologia interwencyjna, dział radiologii interwencyjnej związany z diagnostyką oraz leczeniem raka i problemów związanych z rakiem, w ciągu ostatnich dwóch dekad szybko rozwinęła się w **odrębny filar nowoczesnego, spersonalizowanego, wielodyscyplinarnego leczenia onkologicznego**, obok onkologii medycznej, chirurgicznej i radiologicznej. Onkologia interwencyjna pozwala na **wykonanie zabiegu bezpośrednio w miejscu występowania nowotworu**. Pacjenci odnoszą duże korzyści z tych interwencji, które często można również łączyć z leczeniem systemowym lub chirurgicznym, co jeszcze bardziej zwiększa szanse na wyleczenie. Ze względu na liczne skutki uboczne często związane z leczeniem raka **minimalnie inwazyjny charakter zabiegów onkologii interwencyjnej oznacza, że zwykle powodują one mniej bólu i mniej skutków ubocznych oraz skracają czas powrotu do zdrowia**. Ponadto wiele zabiegów onkologii interwencyjnej można wykonywać ambulatoryjnie, co zwalnia łóżka szpitalne i obniża koszty.

W praktyce w onkologii interwencyjnej wykorzystuje się różne metody obrazowania, w tym obrazowanie rentgenowskie, ultradźwiękowe, tomografię komputerową lub obrazowanie metodą rezonansu magnetycznego, do kierowania zminiaturyzowanymi instrumentami (np. igłami do biopsji, aparatami do ablacji, cewnikami wewnątrznaczyniowymi), aby umożliwić celowane i precyzyjne leczenie guzów litych zlokalizowanych w różnych organach w ciele człowieka, m.in. w wątrobie, nerkach, płucach i kościach. Wykonywane zabiegi dzieli się zasadniczo na dwie kategorie:

- przezskórna ablacja guza, polegająca na wprowadzeniu igły przez skórę w miejsce guza pod kontrolą obrazu, a następnie użyciu jej do zabicia komórek nowotworowych przez miejscowe dostarczanie substancji chemicznych albo energii elektrycznej, elektromagnetycznej lub cieplnej;
- embolizacja guza, w której do zabijania komórek nowotworowych używa się cewników, odcinając dopływ krwi do guza lub wprowadzając środki chemioterapeutyczne lub produkty radiofarmaceutyczne do naczyń krwionośnych zasilających guz^{337,338}.

Trzecią kategorią może być w najbliższej przyszłości miejscowa terapia immunologiczna lub wzmacnianie terapii immunologicznych środkami o skutkach termicznych i embolicznych.

Ponadto onkologia interwencyjna odgrywa również ważną rolę w diagnostyce raka – dzięki sterowanym obrazem biopsjom tkanek, a także w łagodzeniu objawów, np. przez znieczulenie

³³⁷ Kim H.S., Chapiro J., Geschwind J.H., From the guest editor: Interventional oncology: the fourth pillar of oncology. *Cancer J.*, listopad/grudzień 2016 r.; 22(6): s. 363–364.

³³⁸ Schoenberg S.O., Attenberger U.I., Solomon S.B. i in., Developing a roadmap for interventional oncology. *Oncologist*, październik 2018 r.; 23(10): s. 1162–1170.

miejscowe w drodze nerolizy³³⁹, cementoplastykę³⁴⁰, gastrostomię³⁴¹, stentowanie zwężenia żołądkowo-jelitowego³⁴² czy leczenie ucisku naczyniowego.

Onkologia interwencyjna to stosunkowo nowa dyscyplina, wymagająca wyjątkowych umiejętności, a dostęp do tej metody leczenia nadal jest ograniczony.

Priorytety, które określili eksperci w tej dziedzinie, dotyczą przede wszystkim uznania onkologii interwencyjnej za jedną z głównych dyscyplin onkologii oraz zwiększenia bezpieczeństwa pacjentów przez:

- **znormalizowane kształcenie i szkolenie** specjalistów z dziedziny onkologii interwencyjnej³⁴³;
- **opracowanie wytycznych** zapewniających świadczenie wysokiej jakości świadczeń³⁴⁴;
- **wprowadzenie systemu akredytacji** świadczeń w zakresie onkologii interwencyjnej zgodnych z opublikowanymi wytycznymi³⁴⁵.

3.1.2. Dostęp do leków onkologicznych

Przegląd głównych metod leczenia raka opartych na lekach

Leczenie raka przez podawanie leków onkologicznych obejmuje pięć głównych metod:

- **Chemioterapia** polega na stosowaniu leków cytotoksycznych mających zabijać komórki przechodzące aktywną proliferację, w tym komórki nowotworowe³⁴⁶.
- **Terapia radionuklidowa** z użyciem produktów radiofarmaceutycznych (radiofarmaceutyków) polega na sparowaniu leku ukierunkowanego na guz pacjenta z radionuklidem. Stosowana głównie w leczeniu raka tarczycy, ale obecnie rozszerzana na inne rodzaje nowotworów, np. nowotworów neuroendokrynych³⁴⁷ i raka prostaty³⁴⁸.

Ujmując rzecz bardziej szczegółowo, ten sam lek jest najpierw stosowany w połączeniu z radionuklidem emitującym promieniowanie gamma do obrazowania molekularnego guza za

³³⁹ Neroliza polega na celowym zniszczeniu włókna nerwowego lub sieci splecionych włókien nerwowych (splotu), by dać trwałą ulgę w bólu przez przerwanie transmisji sygnałów bólowych we włóknach nerwowych. Zob. nota faktograficzna CIRSE na temat nerolizy w łagodzeniu bólu: <https://www.cirse.org/patients/ir-procedures/neurolysis-and-plexus-infiltrations/> (dostęp: maj 2020 r.).

Cementoplastyka polega na stosowaniu specjalnego cementu do wzmocnienia i podtrzymania kości w celu łagodzenia bólu i zapobiegania złamaniom u pacjentów z przerzutami do kości. Zob. nota faktograficzna Cancer Research UK na temat wzmocnienia bolących kości: <https://www.cancerresearchuk.org/about-cancer/coping/physically/cancer-and-pain-control/treating-pain/strengthening-painful-bones> (dostęp: maj 2020 r.).

³⁴¹ Gastrostomia to zabieg polegający na wprowadzeniu do żołądka pacjenta drenu na potrzeby wsparcia żywieniowego. Zob. nota faktograficzna CIRSE na temat gastrostomii: <https://www.cirse.org/patients/ir-procedures/gastrostomy/> (dostęp: maj 2020 r.).

³⁴² Stentowanie zwężenia żołądkowo-jelitowego oznacza tymczasowy zabieg dekompresji przewodu pokarmowego, wykonywany u chorych na raka z niedrożnością jelita grubego. Zob. Bonin E.A., Verschoor B., Silva F.H. Stents in Gastrointestinal Diseases. Zob.: <https://www.intechopen.com/books/advanced-endoscopy/stents-in-gastrointestinal-diseases> (dostęp: maj 2020 r.).

³⁴³ Zob. europejski program nauczania onkologii interwencyjnej opublikowany przez Europejskie Towarzystwo Radiologii Interwencyjnej i Sercowo-Naczyniowej (CIRSE): https://www.cirse.org/wp-content/uploads/2019/03/cirse_IOcurriculum_syllabus_2018_web.pdf (dostęp: maj 2020 r.).

³⁴⁴ Zob. normy zapewnienia jakości w onkologii interwencyjnej opublikowane przez Europejskie Towarzystwo Radiologii Interwencyjnej i Sercowo-Naczyniowej (CIRSE): https://www.cirse.org/wp-content/uploads/2020/01/IASIOS_quality_standards_in_IO_2019_V2_web.pdf (dostęp: maj 2020 r.).

³⁴⁵ Zob. Międzynarodowy System Akredytacji dla Świadczeń w zakresie Onkologii Interwencyjnej opracowywany obecnie przez Europejskie Towarzystwo Radiologii Interwencyjnej i Sercowo-Naczyniowej (CIRSE): <https://www.iasios.org/> (dostęp: maj 2020 r.).

³⁴⁶ Nota faktograficzna amerykańskiego Narodowego Instytutu Raka na temat chemioterapii: <https://www.cancer.gov/about-cancer/treatment/types/chemotherapy> (dostęp: maj 2020 r.).

³⁴⁷ Strosberg J., El-Haddad G., Wolin E. i in., Phase 3 Trial of Lu-177-Dotatate for Midgut Neuroendocrine Tumors. N Engl J Med., 2017 r.; 12: s. 125–135.

³⁴⁸ Rahbar K., Ahmadzadehfar H., Kratochwil C. i in., German Multicenter Study Investigating 177Lu-PSMA-617 Radioligand Therapy in Advanced Prostate Cancer Patients. J Nucl Med., 2017 r.; 58: s. 85–90.

pomocą pozytonowej tomografii emisyjnej (PET), a następnie w połączeniu z radionuklidem emitującym promieniowanie alfa lub beta w celu miejscowego zniszczenia komórek nowotworowych. Podejście to, polegające na wykorzystywaniu różnych właściwości fizycznych promieniowania alfa, beta i gamma w celu połączenia diagnostyki i terapii w jednej procedurze, pozwala radiologom zajmującym się medycyną nuklearną „widzieć, co leczą”, i „leczyć, co widzą”. Nazywa się ją „teragnostyką”³⁴⁹.

- **Immunoterapia**³⁵⁰ polega na stosowaniu leków mających stymulować reakcję immunologiczną pacjenta na nowotwór:
 - **czynniki molekularne**, takie jak:
 - **przeciwciała monoklonalne** ukierunkowane na konkretne molekuly obecne na powierzchni komórek nowotworowych, by oznaczyć te komórki i ułatwić ich zniszczenie przez komórki układu odpornościowego pacjenta;
 - **inhibitory punktów kontrolnych** skierowane przeciwko molekułom uczestniczącym w mechanizmach inhibitorów (punktów kontroli układu immunologicznego), wpływające na stan aktywacji komórek układu odpornościowego pacjenta: blokują te mechanizmy i umożliwiają komórkom wywołanie silniejszej odpowiedzi odpornościowej na raka;
 - **immunomodulatory** mające aktywować określone ścieżki i elementy układu odpornościowego pacjenta, które uczestniczą w reakcji immunologicznej na raka;
 - **czynniki komórkowe**, wykorzystywane do:
 - **terapii adoptywnym transferem limfocytów T**, w której limfocyty T (komórki układu odpornościowego mające zdolność rozpoznawania i zabijania konkretnie komórek nowotworowych) są pobierane od pacjenta i albo selekcyonowane i hodowane w laboratorium (w terapii z użyciem limfocytów naciekających guz (ang. tumour-infiltrating lymphocytes, TIL), albo również modyfikowane w celu zwiększenia ich powinowactwa z komórkami nowotworowymi (w terapii limfocytami T z chimerycznym receptorem antygenowym (ang. chimeric antigen receptor, CAR), a następnie ponownie wprowadzone do organizmu pacjenta;
 - **szczepionek terapeutycznych przeciwko rakowi**, polegających również na pobraniu od pacjenta komórek nowotworowych lub innych rodzajów komórek układu odpornościowego, przetworzeniu ich w laboratorium i wprowadzeniu z powrotem do organizmu pacjenta, aby wzmocnić jego specyficzną reakcję immunologiczną na nowotwór³⁵¹.

³⁴⁹ Nota faktograficzna Europejskiego Stowarzyszenia Medycyny Nuklearnej na temat terapii radionuklidowej: <https://www.eanm.org/publicpress/patient-info/patient-info-nuclear-medicine/> (dostęp: maj 2020 r.).

³⁵⁰ Nota faktograficzna amerykańskiego Narodowego Instytutu Raka na temat immunoterapii: <https://www.cancer.gov/about-cancer/treatment/types/immunotherapy> (dostęp: maj 2020 r.).

³⁵¹ Podobnie jak w przypadku szczepionek „klasycznych” „szczepionki terapeutyczne przeciwko rakowi” mają wywoływać reakcję immunologiczną wymierzoną konkretnie w raka; zasadniczo mają one jednak leczyć raka, a nie zapobiegać zachorowaniu na niego. Należy zauważyć, że oprócz metod adoptywnego transferu komórek obejmują one również bezpośrednie podawanie antygenów nowotworowych w celu uodpornienia pacjentów chorych na raka oraz stosowanie wirusów onkolitycznych, tj. wirusów zmodyfikowanych tak, by celować w komórki nowotworowe, infekować je i zabijać. Zob. nota faktograficzna amerykańskiego

- **Terapia hormonalna**, ukierunkowana na hormony wykorzystywane przez komórki niektórych rodzajów nowotworowych (głównie raka piersi i raka gruczołu krokowego) do rozrostu, przez stosowanie leków blokujących zdolności organizmu do wytwarzania takich hormonów albo zakłócających działanie tych hormonów w organizmie³⁵².
- **Terapia celowana** z wykorzystaniem czynników farmaceutycznych lub przeciwciał monoklonalnych do atakowania molekuł regulujących wzrost, podział lub rozsiew komórek nowotworowych³⁵³.

Powstająca koncepcja medycyny spersonalizowanej i jej wpływ na onkologię

Wraz z rozwojem wiedzy o biologii raka, zwłaszcza dzięki technikom biologii molekularnej, rozwija się bardziej precyzyjne, spersonalizowane podejście do leczenia raka. Dało to początek erze onkologii precyzyjnej³⁵⁴, w której wiedza o anomalii molekularnej związanej z wystąpieniem raka³⁵⁵, na przykład o obecności specyficznego dla białaczki białka BCR-Abl w przewlekłej białaczce szpikowej czy nadekspresji białka erbB2 w raku piersi, umożliwiła opracowanie nowej klasy leków (imatinibu w postaci mezylanu w przypadku przewlekłej białaczki szpikowej, herceptyny w przypadku raka piersi), wymierzonych konkretnie w nieprawidłowe białka powodujące raka. Te leki przyniosły zmianę praktyki, zapewniając bardziej ukierunkowane, „spersonalizowane” podejście do opieki zdrowotnej³⁵⁶. Choć te dwa leki zmieniły sposób leczenia tych chorób, to skuteczność onkologii precyzyjnej jest niejednoznaczna i potrzeba więcej badań, aby zapewnić pacjentom najlepsze wyniki. Leki z zakresu onkologii precyzyjnej mogą też być drogie i stanowić wyzwanie dla budżetów systemów opieki zdrowotnej, dlatego należy znaleźć równowagę między skutecznością leczenia a jego opłacalnością³⁵⁷.

Badania diagnostyczne w terapii celowanej umożliwiają ukierunkowanie tych innowacyjnych leków na konkretne podtypy molekularne w różnych rodzajach raka (np. raka piersi, płuc, jelita grubego, krwi), by zmaksymalizować ich potencjał leczniczy. Badania diagnostyczne w Europie (w tym badania diagnostyczne w kierunku raka) są regulowane dyrektywą 98/79/WE z dnia 27 października 1998 r. w sprawie wyrobów medycznych używanych do diagnozy in vitro. Zmieni się to jednak, gdy 26 maja 2022 r., po upływie pięcioletniego okresu przejściowego, zacznie mieć zastosowanie rozporządzenie (UE) 2017/746 w sprawie wyrobów medycznych do diagnostyki in vitro. Zwracano uwagę na szereg potencjalnych problemów w interpretacji tego rozporządzenia i na jego potencjalnie niekorzystny wpływ na badania diagnostyczne w Europie, zwłaszcza jeżeli chodzi o testy opracowane laboratoryjnie (ang. laboratory developed test, LDT) dotyczące szeregu stanów klinicznych, w tym raka. Najpilniejsze problemy mogą obejmować brak dostępności testów, który będzie wpływał na decyzje o leczeniu i na jego wyniki; jest to niezamierzona konsekwencja rozporządzenia. Nowe rozporządzenie w sprawie wyrobów medycznych do diagnostyki in vitro nie może utrudniać wykonywania nowatorskich badań na potrzeby diagnostyki raka i wyboru metody leczenia, szczególnie w onkologii precyzyjnej. Ponadto

Narodowego Instytutu Raka na temat szczepionki terapeutycznej przeciwko rakowi: <https://www.cancer.gov/about-cancer/treatment/types/immunotherapy/cancer-treatment-vaccines> (dostęp: maj 2020 r.).

³⁵² Nota faktograficzna amerykańskiego Narodowego Instytutu Raka na temat terapii hormonalnej: <https://www.cancer.gov/about-cancer/treatment/types/hormone-therapy> (dostęp: maj 2020 r.).

³⁵³ Nota faktograficzna amerykańskiego Narodowego Instytutu Raka na temat terapii celowanej: <https://www.cancer.gov/about-cancer/treatment/types/targeted-therapies> (dostęp: maj 2020 r.).

³⁵⁴ Lawler M., Hanna G.G., Prue G. i in., Report: Evidence-enabled outcomes research to inform precision oncology innovation adoption by health systems. (2017).

³⁵⁵ Lawler M., Selby P., Personalised cancer medicine: are we there yet? *Oncologist*, 2013 r.; 18: s. 50–649.

³⁵⁶ Horgan D., Paradiso A., McVie G. i in., Is precision medicine the route to a healthy world? *Lancet*, 25 lipca 2015 r.; 386(9991): s. 7–336.

³⁵⁷ Lawler M., French D., Henderson R. i in., Shooting for the Moon or Flying Too Near the Sun? Crossing the Value Rubicon in Precision Cancer Care. *Public Health Genomics*. 2016 r.; 19: s. 6–132.

trzeba również zagwarantować równy dostęp do diagnostyki molekularnej, by zapewnić wszystkim europejskim pacjentom chorych na raka skuteczne, innowacyjne leki z zakresu onkologii precyzyjnej³⁵⁸.

Przegląd głównych wyzwań w dostępie do leków onkologicznych

Zarówno leki podstawowe³⁵⁹, jak i innowacyjne odgrywają bardzo ważną rolę w poprawie jakości i wydłużeniu życia pacjentów chorych na raka. Wyzwania w dostępie są liczne, ale często dotyczą wysokich kosztów, podejmowania decyzji o refundacji oraz fizycznej dostępności leków.

a. Dopuszczanie leków onkologicznych do obrotu

i. Procedury dopuszczania leków onkologicznych do obrotu

Wszystkie leki muszą uzyskać dopuszczenie do obrotu, zanim będzie można je wprowadzać do sprzedaży i udostępniać pacjentom. W UE istnieją dwie główne procedury dopuszczania leków do obrotu: procedura scentralizowana i procedura krajowa. Wydawaniem pozwoleń w procedurze scentralizowanej zarządza Europejska Agencja Leków (EMA). Leki onkologiczne to ważna grupa leków objętych tą procedurą, zarówno jeśli chodzi o nowe substancje aktywne, jak i o biopodobne³⁶⁰ leki onkologiczne. W 2018 r. prawie połowa wszystkich rozszerzeń wskazań EMA dotyczących leków, które uzyskały pozwolenie na dopuszczenie do obrotu w procedurze scentralizowanej, dotyczyła leków onkologicznych.

ii. Wyzwania związane z dopuszczaniem leków onkologicznych do obrotu

Przyspieszone ścieżki dopuszczania leków onkologicznych do obrotu

Trzeba wyważyć ocenę bezpieczeństwa i skuteczności nowych leków oraz szybki dostęp do rynku, szczególnie w obszarach o dużych niezaspokojonych potrzebach medycznych. Procedura oceny wniosku o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu nowego leku trwa maksymalnie 210 dni „aktywnych”. Ten okres aktywnej oceny to czas, jaki zajmuje ekspertom EMA ocena materiału dowodowego dostarczonego przez wnioskodawcę na poparcie wniosku o dopuszczenie do obrotu. Okres ten jest jednokrotnie lub dwukrotnie przerywany (zawieszenie prac, ang. „clock-stop”). W czasie tych przerw wnioskodawca przygotowuje odpowiedzi na wszelkie pytania Komitetu ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP)³⁶¹. Na ogół ocena nowego leku trwa zazwyczaj około roku, w zależności od liczby nierozstrzygniętych problemów i czasu potrzebnego wnioskodawcy na udzielenie odpowiedzi³⁶².

Aby zapewnić pacjentom jak najszybszy dostęp do nowych, obiecujących terapii, EMA zainicjowała kilka programów przyspieszonego zatwierdzania, m.in:

- **program PRIME:** przyspieszone zatwierdzanie i zacieśnienie współpracy ze sponsorem i EMA w przypadku leków mających znaczną przewagę terapeutyczną nad istniejącymi metodami leczenia lub dających korzyści dla pacjentów bez możliwości leczenia (tak zatwierdzono np. w 2018 r. terapie oparte na komórkach CAR-T);

³⁵⁸ Plun-Favreau J., Immonen-Charalambous K., Steuten L. i in., Enabling Equal Access to Molecular Diagnostics: What Are the Implications for Policy and Health Technology Assessment? *Public Health Genomics*. 2016 r.; 19: s. 52–144.

³⁵⁹ Wzorcowe listy leków podstawowych opracowane przez WHO: <https://www.who.int/medicines/publications/essentialmedicines/en/>.

³⁶⁰ Lek biopodobny jest to biologiczny produkt leczniczy wysoce podobny do innego biologicznego produktu leczniczego, który już dopuszczono do obrotu (zwanego „referencyjnym produktem leczniczym” lub „lekiem oryginalnym”). EMA dopuszcza leki biopodobne do obrotu zgodnie z tymi samymi standardami jakości, bezpieczeństwa i skuteczności farmaceutycznej, które mają zastosowanie do wszystkich biologicznych produktów leczniczych.

³⁶¹ Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi; komitet odpowiedzialny za przygotowanie opinii Agencji w odniesieniu do leków stosowanych u ludzi.

³⁶² The evaluation of medicines, EMA step-by-step: <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/marketing-authorisation/evaluation-medicines-step-step>

- **warunkowe pozwolenie na dopuszczenie do obrotu:** dla leków, w których przypadku korzyści z natychmiastowej dostępności leku przeważają nad ryzykiem niepełnych danych, na przykład leków na poważne choroby skutkujące niepełnosprawnością lub zagrażające życiu;
- **ścieżki adaptacyjne:** ukierunkowane na leki spełniające niezaspokojone potrzeby medyczne w określonych grupach populacji pacjentów.

W 2019 r. cztery z siedmiu nowych aktywnych leków zatwierdzonych w onkologii i hematoonkologii uzyskały **warunkowe pozwolenie na dopuszczenie do obrotu**³⁶³. Wprowadzenie tych przyspieszonych procedur nie obyło się jednak bez krytyki. W niektórych z opublikowanych badań pojawiły się pytania o jakość danych, na których podstawie decyduje się o zatwierdzeniu leków, a także o konsekwencje etyczne w przypadku pacjentów korzystających z takich terapii bez pełnego zrozumienia profilu stosunku ryzyka do korzyści^{364,365}.

Spersonalizowane leczenie wpływające na zmiany w podejściu regulacyjnym

Leczenie mezylanem imatynibu (w przewlekłej białaczce szpikowej) i herceptyną (w erb-B2 dodatnim raku piersi) uwydatniło potencjał precyzyjnej onkologii i przyniosło spersonalizowaną rewolucję w opiece zdrowotnej. Wieloetapowe, wieloaspektowe badania kliniczne, do których rekrutuje się pacjentów na podstawie składu molekularnego guza³⁶⁶, w coraz większym stopniu wykorzystuje się do zaoferowania pacjentom innowacyjnych leków. Te nowe podejścia wymagają jednak bardziej elastycznych i przejrzystych ram prawnych, aby zagwarantować pacjentom optymalne leczenie.

W 2019 r. EMA zatwierdziła leki Kymriah® i Yescarta® jako dwie pierwsze „terapię oparte na komórkach CAR-T” do stosowania w UE³⁶⁷; był to doniosły moment w pracy Agencji – zapoczątkował epokę potencjalnie coraz większej liczby zatwierdzeń regulacyjnych dla tych nowych form leków.

Kymriah i Yescarta są zalecane u pacjentów z rakiem krwi. Należą do nowej generacji spersonalizowanych immunoterapii nowotworów, polegających na zbieraniu i modyfikowaniu komórek układu odpornościowego pacjentów, mających leczyć u nich nowotwór.

Te metody leczenia rodzą jednak szereg nowych wyzwań dla agencji regulacyjnej, związanych z brakiem dowodów na skuteczność i bezpieczeństwo leków w momencie zatwierdzania oraz z potrzebą solidnego systemu gromadzenia rzeczywistych danych po wydaniu pozwolenia.

Rozwój wiedzy o klinicznym wpływie zatwierdzonych leków onkologicznych

Tendencji do stosowania medycyny personalizowanej i nowych metod leczenia chorób występujących w małej populacji pacjentów towarzyszy obecnie kontrola dostępnych dowodów na skuteczność takich metod. Badanie małej populacji (mniejszej nawet od 100 osób) może utrudniać ekstrapolację na „rzeczywisty” wpływ. Wiadomo na przykład, że próby badawcze często niewystarczająco reprezentują zasadniczo starszą populację i dużą liczbę chorób współistniejących w całej populacji pacjentów³⁶⁸.

³⁶³ EMA Human medicines highlights 2019: https://www.ema.europa.eu/en/documents/report/human-medicines-highlights-2019_en.pdf

³⁶⁴ Hoekman, J., Boon W.P., Bouvy J.C. i in., Use of the conditional marketing authorisation pathway for oncology medicines in Europe. Clin Pharmacol Ther, listopad 2015 r.; 98(5): s. 41–534.

³⁶⁵ Banzi R., Gerardi C., Bertele' V. i in., Conditional approval of medicines by the EMA. BMJ, 2 maja 2017 r.; 357: j2062.

³⁶⁶ Lawler M., Kaplan R., Wilson R.H. i in., Changing the Paradigm-Multistage Multiarm Randomised Trials and Stratified Cancer Medicine. Oncologist, 2015 r.; 20: s. 51–849.

³⁶⁷ Pierwsze dwa leki oparte na komórkach CAR-T zarekomendowane do zatwierdzenia w Unii Europejskiej: <https://www.ema.europa.eu/en/news/first-two-car-t-cell-medicines-recommended-approval-european-union>

³⁶⁸ Prasad V., De Jesús K., Mailankody S., The high price of anticancer drugs: origins, implications, barriers, solutions. Nat Rev Clin Oncol., styczeń 2017 r.; 14(6): s. 381–390.

Dlatego wyzwaniem w zatwierdzaniu leków są dowody na niższą od oczekiwanej wartość kliniczną niektórych zatwierdzonych leków onkologicznych. Przykładowo w 2017 r. w *British Medical Journal* opublikowano badanie, w którym przeanalizowano skuteczność 48 nowych metod leczenia zatwierdzonych dla 68 wskazań przez EMA w latach 2009–2013. W badaniu podkreślono, że tylko 35% (w 24 wskazaniach) spowodowało wydłużenie czasu przeżycia od 1 do 5,8 miesiąca (mediana 2,7 miesiąca). Ponadto spośród metod leczenia wiązanych z przedłużeniem przeżycia tylko 48% (w 11 wskazaniach) uznano za istotne klinicznie zgodnie ze standardami **Europejskiego Towarzystwa Onkologii Medycznej (ESMO)**^{369,370}.

Aby rozwiązać te problemy, w nowo opublikowanej strategii EMA „Regulatory science to 2025” Agencja położyła duży nacisk na jakość danych, pozyskiwanie dowodów i działania następcze po wprowadzeniu do obrotu, w tym większe zaangażowanie pacjentów i innych zainteresowanych stron w monitorowanie skuteczności nowych produktów oraz w pozyskiwanie i ocenę rzeczywistych dowodów po wydaniu (warunkowego lub pełnego) pozwolenia na dopuszczenie do obrotu³⁷¹. Ponadto EMA chce zacieśnić współpracę z organami ds. oceny technologii medycznych i płatnikami, aby zapewnić zgodność ich wymogów w zakresie danych z celem udzielenia zezwolenia wprowadzenia do obrotu i a analizą opłacalności wykorzystywaną przez HTA i płatników do celów refundacji produktów.

b. Ustalanie cen i refundacja leków onkologicznych

W Europie, podobnie jak w innych państwach rozwiniętych, wzrasta zachorowalność na raka, częściowo w wyniku starzenia się społeczeństwa. Tymczasem postęp naukowy i technologiczny przynosi coraz więcej możliwości leczenia metodami onkologicznej radioterapii, chirurgii i leczenia farmaceutycznego. Takim pozytywnym zmianom towarzyszą również rosnące koszty dla systemów opieki zdrowotnej, a równy dostęp do nowych leków okazuje się trudno osiągnąć. Za główną przyczynę takiej sytuacji często uznaje się wysokie ceny³⁷². Wprowadzono zatem kontrolę obecnego podejścia do ustalania cen i refundacji leków w Europie oraz dostępnych możliwości poprawy, zwłaszcza w świetle planowanej nowej strategii farmaceutycznej UE, która ma zostać opublikowana do końca 2020 r.

Zalecenie: Ambitna strategia farmaceutyczna UE

Nowa strategia farmaceutyczna UE powinna być odważna i ambitna w dążeniu do terminowej aktualizacji modeli regulacyjnych i modeli zachęt, z uwzględnieniem postępu w nauce i w praktyce. Powinna również zmierzać do trwałej poprawy metod współpracy między państwami członkowskimi UE w zapewnieniu pacjentom równego i terminowego dostępu do leków onkologicznych.

i. Ustalanie cen leków onkologicznych

Modele wyceny leków i wyzwanie związane z ustalaniem wartości

„Wycena w oparciu o koszty” to podstawowy model wyceny nowych leków. W modelu tym ceny powinny odpowiadać kosztom, z uwzględnieniem działalności badawczo-rozwojowej (BiR),

³⁶⁹ Davis C., Naci H., Gurpinar E. i in., Availability of Evidence of Benefits on Overall Survival and Quality of Life of Cancer Drugs Approved by European Medicines Agency: Retrospective Cohort Study of Drug Approvals 2009-13. *BMJ*, 4 października 2017 r.; 359: j4530.

³⁷⁰ ESMO Magnitude of Clinical Benefit (MCB) scale; zob. sekcja 3.1.2 lit. b) ppkt (ii).

³⁷¹ Strategia EMA „Regulatory Science to 2025”: https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/ema-regulatory-science-2025-strategic-reflection_en.pdf

³⁷² Cherny N., Sullivan R., Torode J. i in., ESMO European Consortium Study on the availability, out-of-pocket costs and accessibility of antineoplastic medicines in Europe. *Ann Oncol*, sierpień 2016 r.; 27(8): s. 43–1423.

marketingu, kosztów produkcji, marży zysku oraz ryzyka inwestycji w BiR. Model ten jest obecnie często krytykowany za rudymetarną strukturę motywacyjną, a także za brak przejrzystości rozliczania i wykazywania kosztów rozwoju.

Chcąc odejść od modelu wyceny w oparciu o koszty i próbując uchwycić odpowiednią (dodatkową) wartość leku dla pacjenta i płatnika, stosuje się wycenę w oparciu o wartość, np. korzyści zdrowotne w porównaniu do obecnego leczenia. Ewentualny wzrost cen uzasadnia się wzrostem „jednostek zdrowia” w stosunku do obecnie dostępnych metod leczenia.

Mogą jednak wystąpić kontrowersje co do wykazanej wartości. W ostatnich latach szereg opublikowanych badań posłużył do zakwestionowania poziomu korzyści płynących z nowych leków w porównaniu ze standardową opieką. Na przykład zgodnie z niedawnym niemieckim badaniem dotyczącym przeglądu nowych leków wprowadzonych na rynek w latach 2011–2017 tylko 54 z 216 leków ocenionych w badaniu (25%) uznano za dające średnią lub znaczną korzyść dodatkową³⁷³.

W kontekście planowanej strategii farmaceutycznej UE jednoznacznie uznaje się wartość ściślejszej współpracy UE np. w mierzeniu terapeutycznej wartości dodanej nowych leków, co zaproponowano w opublikowanym niedawno przez Komisję Europejską dokumencie poświęconym konsultacjom „planu działania”^{374,375}.

Leki biopodobne jako perspektywa rozwiązania problemu rosnącego obciążenia finansowego zakupem leków onkologicznych

W ostatnich latach wygasły patenty na liczne terapie przeciwnowotworowe, dlatego stosowanie leków biopodobnych w leczeniu nowotworów nabiera coraz większego znaczenia. Rosnąca konkurencja, związana zwłaszcza ze zwiększoną dostępnością leków biopodobnych, przyczyni się do znacznych oszczędności w budżecie na leki, co umożliwi większą dostępność leków niechronionych patentem oraz większe inwestycje w innowacyjne metody leczenia. W szeregu badań wykazano potencjalnie korzystny wpływ leków biopodobnych na wydatki związane z lekami. W badaniu przeprowadzonym w 2016 r. przez IMS Health, amerykańską służbę zajmującą się danymi dotyczącymi zdrowia, stwierdzono, że optymalne wykorzystanie leków biopodobnych mogło do 2020 r. dać oszczędności rządu nawet 100 mld EUR w USA i na pięciu największych rynkach w UE³⁷⁶. Ceny leków generycznych zależą jednak przede wszystkim od liczby producentów. Inne badanie wykazało, że w przypadku leków wytwarzanych tylko przez jednego producenta cena leku generycznego często nie różni się od ceny leku oryginalnego. W przypadku dwóch konkurujących producentów spadek cen oszacowano na 10–50%, a w przypadku trzech lub więcej producentów odnotowano dalszy spadek cen³⁷⁷. **Mimo to wykorzystanie leków biopodobnych po wygaśnięciu patentu jest dość powolne i trzeba dalej szerzyć wiedzę o bezpieczeństwie produktów oraz budować zaufanie wśród pracowników służby zdrowia i płatników**³⁷⁸.

³⁷³ Wieseler B., McGauran N., Kaiser T., New drugs: when did we go wrong and can what we do better? *BMJ*, 10 lipca 2019 r.; 366: l4340.

³⁷⁴ Produkty farmaceutyczne – bezpieczne i przystępne cenowo leki (nowa strategia UE): <https://ec.europa.eu/info/law/better-regulation/have-your-say/initiatives/12421-Pharmaceutical-Strategy-Timely-patient-access-to-affordable-medicines>

³⁷⁵ Zob. sekcja 3.1.2. lit. b) ppkt (ii) o podejściach regulacyjnych w zakresie ustalania cen i refundacji leków onkologicznych, w tym oceny technologii medycznych.

³⁷⁶ IMS Institute for Healthcare Informatics, „Delivering on the Potential of Biosimilar Medicines: Role of Functioning Competitive Markets.” <http://www.medicinesforeurope.com/wp-content/uploads/2016/03/IMS-Institute-Biosimilar-Report-March-2016-FINAL.pdf>

³⁷⁷ Dave C.V., Hartzema A., Kesselheim A.S., Prices of Generic Drugs Associated with Numbers of Manufacturers. *N Engl J Med.*, 28 grudnia 2017 r.; 377(26): s. 2597–2598.

³⁷⁸ Dylst P., Vulto A., Simoens S., Barriers to the uptake of biosimilars and possible solutions: a Belgian case study. *Pharmacoeconomics*, lipiec 2014 r.; 32(7): s. 91–681.

Komisja Europejska odpowiada na rosnącą presję związaną z nową strategią farmaceutyczną

Ze względu na pojawiające się wyzwania w europejskim systemie farmaceutycznym Europejska Agencja Leków³⁷⁹ i Komisja Europejska prowadzą ciągłą ocenę metod optymalizacji rozwoju farmaceutycznego i ścieżek dostępu dla pacjenta. Komisja Europejska zamierza opublikować nową strategię farmaceutyczną UE do końca 2020 r.

W pisemnej odpowiedzi na zapytanie parlamentarne dotyczące niedoborów produktów leczniczych w UE komisarz UE ds. zdrowia i bezpieczeństwa żywności stwierdziła, że strategia ta „będzie miała na celu opracowanie przyszłościowej polityki farmaceutycznej, która obejmie wszystkie poziomy łańcucha wartości, od badań i rozwoju po wydawanie zezwoleń i dostęp pacjentów do leków”, a także zostanie w niej poruszona „kwestia zależności przemysłu farmaceutycznego od zdolności produkcyjnych oraz dostaw materiałów wyjściowych i farmaceutycznych składników czynnych od państw trzecich”³⁸⁰. Opublikowany niedawno komunikat Komisji w sprawie nowej strategii przemysłowej odnosi się również do planowanej strategii farmaceutycznej i sformułowano w nim zobowiązanie do położenia szczególnego nacisku na dostępność, przystępność cenową, ciągłość i bezpieczeństwo dostaw produktów farmaceutycznych³⁸¹.

Zalecenie: Przebudowa struktury motywacyjnej dla działalności badawczo-innowacyjnej w branży farmaceutycznych w UE

Nowa strategia farmaceutyczna UE jest okazją do ponownego spojrzenia na metody wspierania znaczących innowacji przez istniejącą w Europie strukturę regulacyjną w dziedzinie farmacji, by móc przedstawić nowe rozwiązania.

ii. Podejście regulacyjne do decyzji o ustalaniu cen i refundacji leków onkologicznych

Ocena technologii medycznych

Jak wspomniano powyżej, wraz z rosnącą liczbą możliwości leczenia i rosnącymi cenami nowych leków coraz ważniejsza staje się ocena przez organy publiczne wartości dodanej i opłacalności nowych terapii, by móc podejmować racjonalne decyzje o refundacji.

Ocena technologii medycznych (HTA) jest obecnie dobrze ugruntowanym procesem, w którym systemy opieki zdrowotnej dążą do jak najbardziej świadomych ustaleń dotyczących decyzji o dostępie do leków. Światowa Organizacja Zdrowia definiuje ocenę technologii medycznych jako „systematyczną ocenę właściwości i skutków technologii medycznych, odnoszącą się do bezpośrednich i zamierzonych skutków tych technologii oraz ich pośrednich i niezamierzonych konsekwencji, mającą głównie na celu dostarczanie informacji na potrzeby decyzji o technologiach medycznych”³⁸². W krajach oceniających technologie medyczne płatnicy oraz agencje zajmujące się ustalaniem cen i refundacją bazują na ocenach prowadzonych przez organy ds. oceny technologii medycznych w celu:

- dostarczenia informacji o klinicznych, ekonomicznych i etycznych korzyściach i szkodach płynących z nowych metod leczenia w porównaniu z dostępnymi możliwościami leczenia;

³⁷⁹ Strategia EMA „Regulatory Science to 2025”: <https://www.ema.europa.eu/en/about-us/how-we-work/regulatory-science-strategy>

³⁸⁰ Odpowiedź udzielona przez komisarz Stelę Kyriakides w imieniu Komisji Europejskiej na zapytanie parlamentarne E-004370/2019 z 21 lutego 2020 r.: https://www.europarl.europa.eu/doceo/document/E-9-2019-004370-ASW_EN.html (dostęp: kwiecień 2020 r.).

³⁸¹ Komunikat Komisji: Nowa strategia przemysłowa dla Europy, COM(2020)120, <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/PL/TXT/PDF/?uri=CELEX:52020DC0102&from=EN>

³⁸² Definicja oceny technologii medycznych opracowana przez WHO (EB 134/30): <https://www.who.int/health-technology-assessment/about/Defining/en/>

- zapewnienia wsparcia w procesie negocjacji cen;
- określenia statusu refundacji.

Co ciekawe i istotne dla bardziej zrównoważonego podejmowania decyzji o dostępie do leków, w wielu (choć nie we wszystkich) krajach europejskich krajowy organ ds. oceny technologii medycznych ocenia również interwencje nefarmakologiczne, np. interwencje z wykorzystaniem urządzeń, procedur chirurgicznych i (w niektórych przypadkach) interwencje w zakresie zdrowia publicznego.

Europejska współpraca w zakresie oceny technologii medycznych

Uznając potencjalną nieefektywność wynikającą z powielania ocen i rozbieżnych podejść do oceny technologii medycznych we wszystkich krajach Europy, od wielu lat podejmowane są starania o zacieśnienie współpracy między krajowymi organami ds. tej oceny w całej Europie. Ważną rolę odegrała tu wspierana przez UE europejska sieć ds. oceny technologii medycznych (EUNetHTA)³⁸³. Istniejącą od 2005 r. sieć EUNetHTA wspierają trzy projekty współpracy w ramach programu UE dla zdrowia „Wspólne działanie” na lata 2010–2020.

EUNetHTA jasno określiła potrzebę bardziej zrównoważonej współpracy w zakresie oceny technologii medycznych między krajami, by ograniczyć powielanie ocen i poprawić dostęp do leków. W odpowiedzi – i po przeprowadzeniu konsultacji – Komisja Europejska przedłożyła w 2018 r. wniosek ustawodawczy przewidujący jednolite podejście do klinicznej części oceny technologii medycznych³⁸⁴, w tym:

- **wspólne oceny kliniczne** skupiające się na najbardziej innowacyjnych technologiach medycznych o największym potencjalnym wpływie na pacjentów;
- **wspólne konsultacje naukowe**, umożliwiające podmiotom opracowującym technologie medyczne zwracanie się o wskazówki do organów ds. HTA;
- **wspólną identyfikację nowo pojawiających się technologii medycznych** w celu wczesnego rozpoznania obiecujących technologii.

Zgodnie z tym wnioskiem kliniczne aspekty HTA byłyby oceniane centralnie, natomiast dziedziny niekliniczne, w tym aspekty gospodarcze, etyczne i organizacyjne, pozostawałyby pod jurysdykcją krajową lub regionalną.

Wniosek ten, postrzegany jako sposób na lepszą ocenę jakości i ostatecznie szybszy dostęp do skutecznych metod leczenia, uzyskał szerokie poparcie Parlamentu Europejskiego i wielu zainteresowanych stron, w tym organizacji pacjentów, konsumentów i płatników, organizacji pozarządowych zajmujących się ochroną zdrowia, środowisk akademickich i przemysłu^{385,386}. Parlament Europejski przyjął stanowisko w sprawie wniosku³⁸⁷, w tym kluczowe poprawki: utworzenie grupy koordynacyjnej; środki służące przejrzystości; dialog za pośrednictwem sieci zainteresowanych stron z organizacjami pacjentów i konsumentów, ekspertami i pracownikami służby zdrowia; lepsze wykorzystanie wspólnych sprawozdań z oceny klinicznej przez państwa członkowskie w celu

³⁸³ Europejska sieć ds. oceny technologii medycznych: <https://eunetha.eu/>

³⁸⁴ Wniosek dotyczący rozporządzenia w sprawie oceny technologii medycznych, COM(2018)51: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/pl/TXT/PDF/?uri=CELEX:52018PC0051&from=pl>

³⁸⁵ Dokument przedstawiający stanowisko Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem w sprawie wniosku ustawodawczego Komisji w sprawie oceny technologii medycznych: https://www.european-cancer-leagues.org/wp-content/uploads/ECL-Position-HTA_June18.pdf

³⁸⁶ Stanowisko dotyczące Europejskiej Koalicji Pacjentów z Chorobami Nowotworowymi w odniesieniu do wniosku ustawodawczego Komisji w sprawie oceny technologii medycznych: <https://ecpc.org/news-events/ecpc-response-to-hta-proposal/>

³⁸⁷ Rezolucja Parlamentu Europejskiego w pierwszym czytaniu w sprawie wniosku ustawodawczego Komisji w sprawie oceny technologii medycznych, P8_TA(2019)0120: <https://oeil.secure.europarl.europa.eu/oeil/popups/summary.do?id=1573866&t=e&l=en>

harmonizacji procedur i uniknięcia powielania; przepisy dotyczące stabilnego i stałego finansowania publicznego za pośrednictwem wieloletnich ram finansowych Unii.

Postępy w pracach nad wnioskiem ustawodawczym utknęły jednak w martwym punkcie z powodu braku zgody państw członkowskich w kwestii pożądanego poziomu współpracy w tej dziedzinie. Chociaż państwa członkowskie opowiadają się za zacieśnieniem współpracy w zakresie HTA na szczeblu unijnym, to znacznie różnią się w poglądach na temat równowagi między elementami dobrowolnymi i obowiązkowymi. Główna linia podziału dotyczy wyjaśnienia, jak nowe przepisy wpłyną na krajowe decyzje o refundacji z krajowych programów ubezpieczenia zdrowotnego oraz czy państwa członkowskie powinny w razie potrzeby mieć możliwość przeprowadzania krajowych ocen klinicznych^{388, 389}.

Zalecenie: Wyjście z impasu w zakresie współpracy UE w dziedzinie HTA

Należy ponownie położyć nacisk na przełamanie impasu politycznego, który uniemożliwia przyjęcie wniosku w sprawie zacieśniania współpracy UE w dziedzinie oceny technologii medycznych. Ciągłe opóźnianie przyjęcia wniosku wywołuje poważną frustrację, gdyż wola jego realizacji jest powszechna.

Inicjatywy współpracy regionalnej

W odpowiedzi na wyzwania budżetowe związane z nowymi lekami wprowadzanymi na rynek oraz na niepewną przyszłość wniosku ustawodawczego Komisji Europejskiej w sprawie HTA niektóre państwa członkowskie zaczęły łączyć zasoby w ramach inicjatyw współpracy regionalnej poza sformalizowanymi strukturami UE. Współpracują one w takich obszarach³⁹⁰ jak analiza sytuacji, ocena technologii medycznych oraz wymiana informacji na temat praktyk w ustalaniu cen i refundacji. Zakres działań w tych inicjatywach obejmuje od identyfikacji nowych technologii po wspólne negocjowanie cen i wspólne zamówienia. Idea wspólnych zamówień na leki jest stosunkowo nowa w Europie, natomiast podobne projekty współpracy realizowano już pod koniec lat 70. w krajach o niskim i średnim dochodzie³⁹¹.

Obecnie w krajach Europejskiego Obszaru Gospodarczego (EOG) opracowuje się 11 wspólnych inicjatyw w zakresie zamówień publicznych³⁹²; poniżej opisano najbardziej zaawansowane: BeneluxA i oświadczenie z Valletty.

Inicjatywa BeneluxA w sprawie polityki farmaceutycznej³⁹³ obejmuje usługi zdrowotne w Belgii, Niderlandach, Luksemburgu, Austrii i Irlandii i ma zapewnić obywatelom tych mniejszych państw stały dostęp do innowacyjnych leków. Zainicjowała ją Belgia i Niderlandy w kwietniu 2015 r. We wrześniu 2015 r. dołączył Luksemburg, w czerwcu 2016 r. Austria, a w czerwcu 2018 r. Irlandia. Inicjatywa obejmuje tym samym około 43 mln osób, a w przyszłości mogą do niej dołączyć inne kraje.

³⁸⁸ Aktualna sytuacja w Radzie dotycząca wniosku ustawodawczego w sprawie HTA: <https://www.consilium.europa.eu/pl/policies/health-technology-assessment-post-2020/>

³⁸⁹ Nota prezydencji Rady do delegatur dotycząca wniosku ustawodawczego w sprawie HTA: <https://data.consilium.europa.eu/doc/document/ST-9770-2019-INII/en/pdf>

³⁹⁰ Analiza sytuacji ma na celu „określenie ważnych innowacji farmaceutycznych zanim wejdą one do obrotu” przez ciągłe gromadzenie danych oraz analizę badań i literatury. Dzięki temu możliwy będzie lepszy wgląd BeneluxA w przewidywane koszty, terminowe podejmowanie decyzji i (wspólne) negocjacje dotyczące cen: <https://beneluxa.org/horizon-scanning>.

³⁹¹ Takie jak Pan American Health Organisation Drug Revolving Fund, Gulf Cooperation Council oraz Organisation of Eastern Caribbean States Pharmaceutical Procurement Service.

³⁹² Espín J., Rovira J., Calleja A. i in., How can voluntary cross-border collaboration in public procurement improve access to health technologies in Europe? Kopenhaga (Dania): Europejskie Obserwatorium Polityki i Systemów Opieki Zdrowotnej; 2016 r.

³⁹³ Inicjatywa BeneluxA w sprawie polityki farmaceutycznej: <https://beneluxa.org/>

Deklarowanym celem BeneluxA jest zapewnienie „terminowego dostępu do przystępnych cenowo leków”. Osiągnięciu tego celu służy pięć głównych działań: wspólna analiza sytuacji; wzajemne uznawanie HTA; dzielenie się wiedzą ekspercką i najlepszymi praktykami w zakresie polityki; zwiększenie siły przetargowej dzięki wspólnemu negocjowaniu cen; poprawa przejrzystości cen³⁹⁴.

W podobnym tonie w „**oświadczeniu z Valetty**” zainteresowane państwa postanowiły dążyć do postępów w realizacji strategii wspólnych negocjacji z przemysłem farmaceutycznym w sprawie refundacji.

Oświadczenie z Valetty podpisano podczas posiedzenia na Malcie 8 i 9 maja 2017 r. w czasie prezydencji Malty w UE. Początkowo oświadczenie podpisali ministrowi zdrowia Cypru, Grecji, Irlandii, Włoch, Malty, Portugalii, Rumunii i Hiszpanii. Następnie podpisały je również Słowenia i Chorwacja. Propozycja współpracy pozostaje otwarta dla ministrów zdrowia innych państw członkowskich UE.

Obszary priorytetowe obejmują produkty lecznicze wymagające wysokich nakładów, substancje czynne, na które wkrótce wygaśnie wyłączność, oraz leki biopodobne, z których wszystkie mają duże znaczenie w leczeniu raka. Na przykład jednym z obszarów, na który grupa z Valetty zwraca szczególną uwagę, jest terapia oparta na komórkach CAR-T. Jak opisano we wcześniejszych sekcjach, w tej terapii własne limfocyty T pacjenta (rodzaj komórek układu odpornościowego) są modyfikowane w laboratorium tak, by atakowały komórki nowotworowe. Jej dostępność ograniczają jednak wysokie koszty leczenia oraz zapotrzebowanie na kolejne dane o wielu rodzajach nowotworów. Strategiczne podejścia, takie jak BeneluxA i oświadczenie z Valetty, mogą rozwiązać ten problem dzięki zacieśnieniu współpracy.

Pojawiające się narzędzia naukowe służące do spójnej oceny skuteczności klinicznej leków

Ponieważ w wielu państwach, wobec ograniczeń budżetowych, trzeba ustalać priorytety w wydatkach na zdrowie publiczne, Europejskie Towarzystwo Onkologii Medycznej (ESMO) opracowało skalę wielkości korzyści klinicznych. To znormalizowana, ogólna i zatwierdzona metoda stratyfikowania wielkości możliwych do przewidzenia korzyści klinicznych z terapii przeciwnowotworowych; mogą ją wykorzystać organy ds. zdrowia publicznego przy określaniu, które terapie powinny być dostępne dla wszystkich chorych na raka. Skala wielkości korzyści klinicznych umożliwia podejmowanie wszystkich takich decyzji w całej Europie w oparciu o spójne, wysokiej jakości i regularnie aktualizowane informacje kliniczne; to duży postęp w zapewnianiu wszystkim europejskim pacjentom chorym naraka dostępu do najkorzystniejszych metod leczenia przeciwnowotworowego zatwierdzonych obecnie do stosowania w danych schorzeniach³⁹⁵.

Wykorzystanie narzędzi takich jak skala wielkości korzyści klinicznych, które pomagają podejmować racjonalne decyzje o *dostępności leków*, wzbudza obecnie zainteresowanie również w odniesieniu do oceny wartości innych metod leczenia nowotworów, takich jak radioterapia i procedury chirurgiczne³⁹⁶.

c. Dostępność leków onkologicznych i bezpieczeństwo dostaw

Chociaż nie istnieje prawna definicja niedoboru leków, to jednak przygotowując ostatnie wytyczne dotyczące zgłaszania niedoborów, EMA i szefowie agencji medycznych w porozumieniu z zainteresowanymi stronami uzgodnili wspólną definicję: „niedobór produktu leczniczego do

³⁹⁴ BeneluxA: What are the Prospects for Collective Bargaining on Pharmaceutical Prices Given Diverse Health Technology Assessment Processes? <https://link.springer.com/article/10.1007/s40273-019-00781-w>

³⁹⁵ Skala wielkości korzyści klinicznych zaprezentowana na stronie internetowej ESMO: <https://www.esmo.org/guidelines/esmo-mcbs>

³⁹⁶ Towards an evidence-informed value scale for surgical and radiation oncology: a multi-stakeholder perspective: [https://www.thelancet.com/journals/lanonc/article/PIIS1470-2045\(18\)30917-3/fulltext](https://www.thelancet.com/journals/lanonc/article/PIIS1470-2045(18)30917-3/fulltext)

stosowania u ludzi lub do celów weterynaryjnych występuje, gdy podaź nie zaspokaja popytu na poziomie krajowym”³⁹⁷.

Zapewnienie dostępności leków to podstawowy obowiązek posiadacza pozwolenia na dopuszczenie do obrotu. W dyrektywie 2001/83 w sprawie wspólnotowego kodeksu odnoszącego się do produktów leczniczych stosowanych u ludzi³⁹⁸ zawarto wymóg, by posiadacze pozwoleń na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego oraz dystrybutorzy danego produktu leczniczego, w granicach swoich obowiązków, zapewniali wystarczające i stałe dostawy dla aptek oraz dla osób upoważnionych do zaopatrywania w produkty lecznicze, z uwzględnieniem potrzeb pacjentów (art. 81 akapit drugi dyrektywy). Posiadacze pozwoleń na dopuszczenie do obrotu mają też obowiązek zawiadamiać na czas właściwe organy danego państwa członkowskiego o wystąpieniu niedoborów z powodu „tymczasowego albo stałego wstrzymania wprowadzania produktu do obrotu” w danym państwie członkowskim (art. 23a akapit drugi dyrektywy). W razie niedoboru leku dopuszczonego do obrotu w procedurze scentralizowanej należy również zawiadomić EMA.

W Europie i na świecie niedobory leków są coraz częstsze, co negatywnie wpływa na opiekę zdrowotną we wszystkich obszarach, w tym w dziedzinie chorób nowotworowych³⁹⁹. Ostatnie badania przeprowadzone przez Europejskie Towarzystwo Onkologii Medycznej (ESMO) we współpracy z Economist Intelligence Unit dowodzą, że realnych codziennych skutków kryzysu w postaci niedoboru leków doświadczają kraje i duże, i małe, mające i znaczne, i niewielkie zasoby,⁴⁰⁰.

W opiece nad chorymi na raka opóźnienia i przerwy w chemioterapii spowodowane niedoborem leków mogą być bardzo niepokojące dla pacjentów, rodzin, opiekunów i pracowników służby zdrowia, gdyż krytyczny charakter takiego leczenia często w dużej mierze zależy od utrzymania stałej dawki. Ponadto w razie niedoboru leków onkologicznych zazwyczaj jest niewiele alternatyw o potwierdzonej skuteczności – lub nie ma ich wcale.

Do powszechnie znanych i sprawdzonych leków onkologicznych, których okresowo brakuje w Europie, należą leki podstawowe, takie jak karboplatyna i tamoksyfen⁴⁰¹, oraz inne, np. metotreksat i fluorouracyl⁴⁰². Są one szeroko stosowane w leczeniu raka szyjki macicy, nowotworów regionu głowy i szyi, raka płuc, raka jelita grubego i raka piersi.

Przyczyny niedoborów leków są wieloczynnikowe i obejmują:

- **Problemy dotyczące produkcji**

Np. problemy z zaopatrzeniem w surowce, półprodukty, farmaceutyczne składniki czynne (API) i gotowe leki; problemy w zakładach produkcyjnych; wpływ zdarzeń zewnętrznych, np. katastrof spowodowanych przez człowieka czy klęsk żywiołowych. W leków innowacyjnych wiele farmaceutycznych składników czynnych produkuje się w Europie, ale „nawet jeśli składniki czynne produkowane są w UE, większość surowców, zarówno w przypadku leków generycznych, jak i innowacyjnych, pochodzi z Chin”⁴⁰³.

³⁹⁷ Wytyczne EMA dotyczące wykrywania i zgłaszania niedoborów: https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/guidancedetection-notification-shortages-medicinal-products-marketing-authorisation-holders-mahs_en.pdf

³⁹⁸ Dyrektywa 2001/83/WE w sprawie wspólnotowego kodeksu odnoszącego się do produktów leczniczych stosowanych u ludzi. Aktualna wersja skonsolidowana: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/pl/TXT/PDF/?uri=CELEX:02001L0083-20190726&from=p>

³⁹⁹ EAHP's 2018 Survey on Medicines Shortages to improve patient outcomes: <https://www.eahp.eu/practice-and-policy/medicines-shortages/2018-medicines-shortage-survey>

⁴⁰⁰ Shortages of inexpensive, essential care medicines: <https://www.esmo.org/policy/shortages-of-inexpensive-essential-cancer-medicines>

⁴⁰¹ Cancer medicine shortages in Europe: <https://www.eiu.com/graphics/marketing/pdf/ESMO-Cancer-medicines-shortages.pdf>

⁴⁰² Country profile of Germany: Cancer medicine shortages: <https://www.esmo.org/content/download/197312/3552896/1>

⁴⁰³ Nota Komisji Europejskiej, DG ds. Zdrowia i Bezpieczeństwa Żywności do Komitetu Farmaceutycznego: https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/files/committee/ev_20200312_795_en.pdf

- **Decyzje handlowe posiadacza pozwolenia na dopuszczenie do obrotu**

Np. wycofanie z rynku krajowego lub całkowite zaprzestanie produkcji.

- **Problemy ze zdolnościami produkcyjnymi**

Np. nieoczekiwany wzrost popytu lub niedokładne oszacowanie zapotrzebowania, niemożliwe do rozwiązania przez wykorzystanie innych linii produkcyjnych czy wykorzystanie zdolności buforowej.

- **Kwestie podaży**

Np. niedobory wynikające z handlu równoległego, gdy zapasy leków w jednym kraju są uszczuplone w wyniku wywozu leku do innego kraju w celu uzyskania korzyści gospodarczej.

Posiadacze pozwoleń na dopuszczenie do obrotu powinni być szczególnie czujni w przypadku leków, których proces wytwarzania zależy w całości lub w części od jednego zakładu, a także tych, dla których nie ma alternatywy lub alternatywy są ograniczone, zatem niedobór może prowadzić do zagrożenia dla zdrowia publicznego (np. leki krytyczne lub niezbędne). W takich przypadkach właściwe organy mogą wymagać od posiadaczy pozwoleń na dopuszczenie do obrotu opracowania planu zapobiegania niedoborom, w ramach obowiązku zapewnienia ciągłości dostaw. Odpowiedzialność spoczywa również na dystrybutorach hurtowych, którzy powinni zapewniać ciągłość dostaw dla farmaceutów i osób uprawnionych do zaopatrywania w leki w celu zaspokojenia potrzeb pacjentów na obszarze działania dystrybutora. Większością niedoborów leków zajmują się właściwe organy krajowe; EMA może zostać zaangażowana np. w razie niedoboru w kilku państwach członkowskich lub niedoboru zagrażającego bezpieczeństwu.

Pracownicy służby zdrowia z pierwszej linii opieki często mówią, że brak informacji o przyczynie niedoborów i przewidywanym czasie ich trwania to jedna z wielu przeszkód w dokładnym informowaniu pacjentów oraz w przygotowaniu na czas niezawodnych planów awaryjnych. Wiąże się to z utratą cennego czasu klinicystów, który w razie niedoboru muszą tworzyć alternatywne plany leczenia.

Chociaż EMA ma ograniczone uprawnienia w tej dziedzinie, starała się zapewnić pomoc, np. opracowując centralny katalog niedoborów konkretnych leków, występujących lub mogących wystąpić w kilku państwach członkowskich⁴⁰⁴. Propagowała również współpracę między krajowymi agencjami ds. leków⁴⁰⁵, w tym utworzenie specjalnej grupy zadaniowej EMA i szefów agencji leków (HMA) ds. dostępności leków dopuszczonych do stosowania u ludzi i do celów weterynaryjnych. W projekcie pilotażowym grupa zadaniowa utworzyła sieć pojedynczych punktów kontaktowych (SPOC), usprawniając wymianę informacji między państwami członkowskimi, EMA i Komisją na temat istotnych niedoborów leków oraz koordynując pomoc w zapobieganiu niedoborom i zarządzaniu nimi.

Należy tu przypomnieć zalecenia polityczne mające na celu skuteczniejsze zapobieganie niedoborom leków i zarządzanie nimi w UE, również sformułowane przez zainteresowane strony na szczeblu europejskim i obejmujące:

- poprawę skuteczności ustawodawstwa farmaceutycznego UE w zakresie wczesnego powiadamiania o nadchodzących problemach w zaopatrzeniu;

⁴⁰⁴ Katalog niedoborów leków EMA: <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/post-authorisation/availability-medicines/shortages-catalogue>

⁴⁰⁵ Kwestie regulacyjne związane z dostępnością leków w UE: <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/post-authorisation/availability-medicines/shortages-catalogue>

- bardziej rygorystyczne wymagania od posiadaczy pozwoleń na dopuszczenie do obrotu opracowania niezawodnych planów zapobiegania niedoborom;
- bardziej precyzyjne wytyczne prawne dla państw członkowskich UE na wypadek ograniczenia handlu równoległego w celu zapobiegania niedoborom lub zarządzania nimi;
- lepsze uzgodnienia dotyczące wymiany informacji między krajami na temat niedoborów leków, w tym na forum publicznym;
- większy nacisk na zapobieganie niedoborom leków generycznych przez zachęcanie wszystkich systemów opieki zdrowotnej w UE do składania ofert na dostawy leków generycznych w formie umożliwiającej wejście na rynek więcej niż jednemu dostawcy.

Zalecenie: Rozwiązanie problemu niedoboru leków

Aby długoterminowo rozwiązać utrzymujący się problem niedoboru leków, w strategii farmaceutycznej UE należy: poprawić skuteczność prawodawstwa farmaceutycznego UE w zakresie powiadamiania o niedoborach; zapewnić państwom członkowskim przejrzystsze wytyczne dotyczące funkcjonowania handlu równoległego; zapewnić lepszą wymianę informacji między krajami na temat zarządzania niedoborami i zapobiegania im; zachęcać do usprawnienia procedur udzielania zamówień publicznych na leki generyczne i biopodobne.

3.2. Dostęp chorych na raka do wysokiej jakości opieki

KLUCZOWE WNIOSKI I ZALECENIA: DOSTĘP CHORYCH NA RAKA DO WYSOKIEJ JAKOŚCI OPIEKI

Tak jak lekarzom zaleca się, aby „leczyć pacjenta”, a nie tylko chorobę, tak też w polityce UE w zakresie walki z nowotworami należy zwracać uwagę na wszystkie potrzeby chorych na raka. Oznacza to uwzględnianie opieki i jakości życia w równej mierze co leczenia.

Zapewnienie chorym na raka **wysokiej jakości** opieki oznacza zapewnienie zrównoważonego i całościowego podejścia, dającego dostęp nie tylko do podstawowych metod leczenia, ale także do wielu innych istotnych elementów będących podstawą wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka: solidnej podstawowej opieki zdrowotnej, patologii, specjalistycznego pielęgniarstwa onkologicznego, farmacji onkologicznej, opieki paliatywnej, leczenia podtrzymującego i wsparcia psychoonkologicznego.

W tej sekcji przedstawione zostaną kolejno powyższe elementy; nadrzędne zalecenia dotyczące **poprawy poszczególnych elementów opieki nad chorymi na raka** to:

- lepsze wykorzystanie unijnych mechanizmów prawnych i finansowych do proaktywnego wspierania specjalizacji pracowników zajmujących się nowotworami, w tym pomoc w harmonizacji i rozwoju wymogów dotyczących kształcenia i szkolenia na szczeblu europejskim;
- oficjalne monitorowanie i sprawozdawczość na szczeblu UE dotyczące dostępu pacjentów do kluczowych elementów opieki w całej Europie; pomoże to jak najlepiej ukierunkować wymagania dotyczące usprawnień i poprawi rozliczalność za wyniki systemu; sugeruje się wprowadzenie takiego systemu w postaci europejskiego zestawu

wskaźników dotyczących raka lub podobnego narzędzia, potencjalnie wspieranego przez Program UE dla zdrowia;

- zachęcanie do ujęcia we wszystkich krajowych planach walki z rakiem w Europie takich spraw jak dostęp do opieki, jakość życia oraz przeżycie – przez konkretne i wymierne działania.

Należy propagować wizję świadczenia europejskiej opieki nad chorymi na raka za pośrednictwem kompleksowych sieci opieki nad chorymi na raka, opracowaną w ramach wspólnego działania w zakresie walki z rakiem (CanCon) współfinansowanego przez UE. **Zaleca się, by w Europejskim planie walki z rakiem wsparto utworzenie co najmniej jednego ośrodka kompleksowego leczenia nowotworów w każdym państwie członkowskim, a w państwach o większej liczbie ludności – co najmniej jednego takiego ośrodka na każde 5 mln mieszkańców.**

W odniesieniu do przeżycia i jakości życia w sekcji tej dokładniej wskazano szczególne potrzeby dotyczące lepszego dostępu chorych do wysokiej jakości opieki paliatywnej, leczenia podtrzymującego i wsparcia psychoonkologicznego. Należy zachęcać do wyraźniejszego ujęcia we wszystkich systemach opieki zdrowotnej **planowania opieki nad osobami, które przebyły chorobę nowotworową. Kwestie przeżycia i jakości życia powinny być podstawowymi elementami misji UE na rzecz walki z rakiem i innych unijnych mechanizmów finansowania badań.**

Należy wykorzystać narzędzia prawne i inne, aby chronić pacjentów i osoby, które przebyły chorobę nowotworową, przed dyskryminacją. Obejmuje to wprowadzenie „**prawa do bycia zapomnianym**” we wszystkich krajach (dla osób, które przebyły chorobę nowotworową; dotyczy to dostępu do usług finansowych) oraz zwiększenie roli Europejskiej Agencji ds. Bezpieczeństwa i Zdrowia w Miejscu Pracy w ochronie pacjentów chorych na raka i osób, które przebyły chorobę nowotworową, przed dyskryminacją w miejscu pracy.

Należy wykorzystać możliwości sztucznej inteligencji i technologii cyfrowych do poprawy opieki nad chorymi na raka i zdecydowanie wspierać te technologie w inicjatywach UE dotyczących gospodarki cyfrowej.

Różnice we wskaźnikach przeżycia w poszczególnych państwach członkowskich UE przekraczają 25% (zob. załącznik 9⁴⁰⁶). Oprócz wspomnianego wyżej dostępu do leczenia nowotworów **znany krytycznym wyznacznikiem tych nierówności jest jakość opieki nad chorymi na raka⁴⁰⁷, dlatego zasługuje na szczególną uwagę w polityce publicznej⁴⁰⁸.**

Zapewnienie chorym na raka wysokiej jakości opieki oznacza zapewnienie zrównoważonego i całościowego podejścia, dającego dostęp nie tylko do podstawowych metod leczenia chorób nowotworowych, ale także do wielu innych istotnych elementów będących podstawą wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka: solidnej podstawowej opieki zdrowotnej, patologii, specjalistycznego

⁴⁰⁶ Epidemiologia nowotworów we wszystkich państwach członkowskich UE. Szacunki zachorowalności, umieralności i przeżywalności uzyskano z europejskiego systemu informacji o raku (ECIS): <https://ecis.jrc.ec.europa.eu/index.php> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

⁴⁰⁷ Lawler M., Selby P., Banks I. i in., The European Cancer Patient's Bill of Rights, update and implementation 2016. ESMO Open, 2017 r.; 1: e000127.

⁴⁰⁸ Philip T., Karjalainen S., De Lorenzo F. i in., What could be a cancer mission objective if we join our forces in the fight against cancer? Tumori, grudzień 2019 r.; 105(6): s. 447–455.

pielęgniarstwa onkologicznego, farmacji onkologicznej, opieki paliatywnej, leczenia podtrzymującego i wsparcia psychoonkologicznego⁴⁰⁹.

Ocena przeprowadzona w 2014 r. w ramach pierwszego Wspólnego działania UE na rzecz walki z rakiem Europejskiego Partnerstwa na rzecz Walki z Rakiem (EPAAC) wykazała istotne różnice w świadczeniu usług między poszczególnymi państwami i wewnątrz nich, mające wpływ na jakość opieki i wyniki pacjentów. Czynniki takie jak czas oczekiwania i zapewnienie optymalnego leczenia mogą wyjaśnić około jednej trzeciej różnicy w przeżyciu chorych na raka, a brak planów walki z rakiem, na przykład krajowego planu walki z rakiem propagującego wytyczne kliniczne, szkolenia zawodowe i środki kontroli jakości, może odpowiadać za jedną czwartą tej różnicy⁴¹⁰. We wspólnym działaniu UE w zakresie walki z rakiem (CanCon), które od 2014 r. zastąpiło EPAAC, również skoncentrowano się na jakości opieki nad chorymi na raka, a w 2017 r. opublikowano Europejski poradnik poprawy jakości kompleksowego zwalczania raka⁴¹¹.

3.2.1. Dostęp do wielodyscyplinarnej opieki zintegrowanej nad chorymi na raka

a. Dostęp do niezawodnej podstawowej opieki zdrowotnej

W coraz większym stopniu uznaje się głębię i wartość roli, jaką mogą odegrać pracownicy podstawowej opieki zdrowotnej w podnoszeniu jakości opieki nad chorymi na raka i w poprawie wyników tej opieki, w tym w profilaktyce, wczesnej diagnozie, zarządzaniu chorobami współistniejącymi i długoterminowej obserwacji medycznej. Wiąże się po części z faktem, że w systemach opieki zdrowotnej poszukuje się sposobów na zwiększenie skali opieki zdrowotnej w środowisku lokalnym, co często preferują sami pacjenci, a co wspiera zwiększone wykorzystanie chemioterapii doustnej i innych domowych metod leczenia i opieki.

⁴⁰⁹ Pełen opis tych elementów – zob. Kluczowe wymogi dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka opublikowane przez Europejską Organizację ds. Raka: <https://www.european-cancer.org/2-content/8-erqcc> (dostęp: maj 2020 r.).

⁴¹⁰ Martin-Moreno J.M., Albrecht T., Radoš Krnel S., Boosting Innovation and Cooperation in European Cancer Control. Europejskie Partnerstwo na rzecz Walki z Rakiem; 2014 r.

⁴¹¹ Albrecht T., Kiasuwa R., Van den Bulcke M., European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem; 2017 r.

Zalecenie: Zwiększenie roli podstawowej opieki zdrowotnej w leczeniu nowotworów w UE

Europejski plan walki z rakiem może zwiększyć rolę podstawowej opieki zdrowotnej w leczeniu raka:

- przez zachęcanie do ujęcia we wszystkich krajowych planach walki z rakiem w Europie ambitnych, wymiernych celów i działań mających lepiej włączyć pracowników podstawowej opieki zdrowotnej i opiekunów nieformalnych do wielodyscyplinarnej opieki nad pacjentem;
- przez zapewnienie sprawozdawczości na temat zakresu włączenia podstawowej opieki zdrowotnej do opieki nad chorymi na raka w europejskich systemach opieki zdrowotnej, dzięki takim działaniom monitorującym jak „Stan zdrowia w UE”, „Zdrowie i opieka zdrowotna w zarysie” oraz europejski system informacji o raku (ECIS);
- przez opublikowanie przewodnika dobrych praktyk dla państw członkowskich UE w odniesieniu do środków pozwalających na lepszą integrację opieki nad chorymi na raka; informacje na ten temat można uzyskać m.in. z istniejących zbiorów najlepszych praktyk Komisji Europejskiej dotyczących integracji opieki zdrowotnej, a także z ustaleń i zaleceń dotyczących stanu zdrowia opracowanych w ramach działań UE oraz z prac podejmowanych w ramach szeregu wspólnych działań na rzecz walki z rakiem finansowanych z Programu UE dla zdrowia.

Źródło: Europejska Organizacja ds. Raka: rezolucja w sprawie zintegrowanej opieki nad chorymi na raka z 2018 r.: <https://www.europecancer.org/resources/114:resolution-integration-of-cancer-care.html> (dostęp: maj 2020 r.).

ECCO: opieka podstawowa, opublikowana przez Europejską Organizację ds. Raka: <https://www.europecancer.org/resources/47:essential-requirements-for-quality-cancer-care-primary-care.html> (dostęp: maj 2020 r.).

b. Dostęp do usług w dziedzinie patologii

Dokładna i terminowa diagnoza ma krytyczne znaczenie dla opracowania planu leczenia, a także informowania o rokowaniach i ocenie reakcji na leczenie. Dlatego też patolodzy są niezwykle istotnym elementem multidyscyplinarnych zespołów opiekujących się pacjentami chorymi na raka. Dobór, wykonanie i interpretacja testów diagnostycznych zależą od ich specjalistycznej wiedzy. Tymczasem **dostęp do usług patologicznych w całej Europie jest dość nierówny**, a dysproporcje pogłębia coraz większy niedobór patologów i ograniczenia budżetowe⁴¹².

Inicjatywy służące harmonizacji praktyk patologicznych w Europie obejmują m.in. programy zapewniania jakości diagnostyki, fizyczne i wirtualne działania edukacyjne, finansowanie stypendiów, testy postępów dla rezydentów i młodych patologów oraz ścisłe współdziałanie z krajowymi towarzystwami patologicznymi⁴¹³.

c. Dostęp do specjalistycznej opieki nad chorymi na raka

Pielęgniarki onkologiczne odgrywają ważną – i coraz większą – rolę w zaspokajaniu różnorodnych potrzeb w całym procesie opieki nad chorymi na raka. Są wysoko cenionymi członkami zespołów multidyscyplinarnych; pełnią takie funkcje jak:

- edukacja i informowanie na temat zdrowia publicznego w **profilaktyce podstawowej**, na przykład wspieranie w zmianie stylu życia i samozarządzaniu;

⁴¹² Horton S., Sullivan R., Flanigan J. i in., Delivering Modern, High-Quality, Affordable Pathology and Laboratory Medicine to Low-Income and Middle-Income Countries: A Call to Action. Lancet, 12 maja 2018 r.; 391(10133): s. 1953–1964.

⁴¹³ Zob. sekcja 2.2.2 lit. a) na temat rozwiązywania problemów związanych z niedoborem siły roboczej w patologii.

- zmniejszanie nierówności, poprawa dostępu i akceptowalności programów **badania przesiewowych w kierunku raka**;
- **prowadzenie leczenia**, w tym przekazywanie informacji pacjentom;
- **obserwacja medyczna** – wiele pielęgniarek pełni obecnie rolę pomocniczą w poradnictwie i opiece paliatywnej.

Pielęgniarki onkologiczne są również w systemach opieki zdrowotnej skutecznymi orędownikami praw osób, które przeżyły chorobę nowotworową, i wspierają zdolność pacjentów do samodzielnego podejmowania decyzji o opiece zdrowotnej. W całym kontinuum opieki często oznacza to, że pielęgniarka jest osobą spajającą przez cały czas trwania opieki nad pacjentem.

Rola pielęgniarek onkologicznych jest zdecydowanie uznawana⁴¹⁴. Niemniej we wszystkich krajach potrzebne są postępy w dążeniu do pełnego statusu pielęgniarstwa onkologicznego w całym procesie opieki. Udowodniono bowiem, że różnice w szkoleniu i kształceniu pielęgniarek opiekujących się chorymi na raka w całej Europie przyczyniają się do nierówności w wynikach leczenia między krajami⁴¹⁵. Wiadomo ponadto o międzynarodowym wyzwaniu, jakim jest niedobór pielęgniarek we wszystkich systemach opieki zdrowotnej. WHO przewiduje, że do 2030 r. na świecie będzie brakowało 7,6 mln pielęgniarek. Utrzymywanie się takich niedoborów dodatkowo przyczynia się do nierówności w jakości leczenia i opieki nad chorymi na raka, a także niekorzystnie wpływa na warunki pracy, a przez to na bezpieczeństwo pacjentów i inne wyniki jakościowe.

W reakcji na ewidentne różnice w dostępie do specjalistycznej opieki nad chorymi na raka w całej Europie Europejskie Stowarzyszenie Pielęgniarek Onkologicznych (EONS), wspierane przez Europejską Organizację ds. Raka, utworzyło ogólnoeuropejską sieć badawczą mającą dostarczać systemom opieki zdrowotnej dalszych dowodów na znaczenie inwestycji w ten kluczowy zawód dla dobrze funkcjonujących multidyscyplinarnych zespołów opieki nad chorymi na raka⁴¹⁶.

Wśród ostatnio wskazywanych dowodów znajduje się pozytywny wpływ specjalistycznej opieki nad chorymi na raka na poprawę leczenia przewlekłych problemów, z którymi borykają się pacjenci chorzy na nowotwory. Obejmuje to poprawę wiedzy pacjentów i samozarządzania, zmniejszenie liczby przyjęć w nagłych wypadkach, długości pobytów w szpitalu i liczby wizyt kontrolnych^{417,418}. Dzięki lepszej opiece nad pacjentem specjalistyczne pielęgniarstwo onkologiczne pozwala też poprawić wyniki w zakresie jakości życia związanej ze stanem zdrowia⁴¹⁹. Badania wśród pacjentów konsekwentnie pokazują, że obecność specjalistycznych pielęgniarek klinicznych to czynnik o najbardziej prawdopodobnym związku z dobrymi doświadczeniami pacjentów.

Do innych inicjatyw europejskich mających podnosić świadomość, oceniać dowody i zachęcać do edukacji w dziedzinie specjalistycznej opieki nad chorymi na raka należy również Europejski Dzień Pielęgniarstwa Onkologicznego, Indeks pielęgniarstwa onkologicznego EONS oraz ramy edukacji w zakresie pielęgniarstwa onkologicznego EONS.

⁴¹⁴ Zob. podstawowe wymogi dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka opublikowane przez Europejską Organizację ds. Raka: <https://www.europeanancer.org/2-content/8-ergcc> (dostęp: maj 2020 r.).

⁴¹⁵ Sharp L., Rannus K., Olofsson A. i in., Patient safety culture among European cancer nurses - an exploratory, cross-sectional survey comparing data from Estonia, Germany, Netherlands, and United Kingdom. *J Adv Nurs*, grudzień 2019 r.; 75(12): s. 3535–3543.

⁴¹⁶ Projekt RECAN: uznanie europejskiego pielęgniarstwa onkologicznego: <https://www.cancernurse.eu/research/recan.html>.

⁴¹⁷ Charalambous A., Wells M., Campbell P. i in., A Scoping Review of Trials of Interventions Led or Delivered by Cancer Nurses. *Int J Nurs Stud*, październik 2018 r.; 86: s. 36–43.

⁴¹⁸ Sharp L., Rannus K., Olofsson A. i in., Patient safety culture among European cancer nurses - an exploratory, cross-sectional survey comparing data from Estonia, Germany, Netherlands, and United Kingdom. *J Adv Nurs*, grudzień 2019 r.; 75(12): s. 3535–3543.

⁴¹⁹ Sussman J., Howell D., Bainbridge D., Brazil K., Pyette N., Abbasi S., Whelan T., The impact of specialised oncology nursing on patient supportive care outcomes. *J Psychosoc Oncol*, 2011 r.; 29(3): s. 286–307.

Zalecenie: Lepszy dostęp do specjalistycznego pielęgniarstwa onkologicznego w UE

Chcąc podnieść status i poprawić uznanie dla wkładu pielęgniarstwa onkologicznego w całej Europie, trzeba zastosować unijne regulacje dotyczące uznawania kwalifikacji zawodowych, by pomóc w standaryzacji i harmonizacji kształcenia w dziedzinie pielęgniarstwa onkologicznego. Ramy kształcenia EONS, oferujące program nauczania na magisterskich studiach podyplomowych na poziomie europejskim, są łatwo dostępne jako podstawa wspólnych ram szkolenia.

Aby pomóc przewyciężyć niedobór siły roboczej, należy kontynuować inicjatywy w zakresie planowania zasobów siły roboczej w służbie zdrowia na poziomie UE oraz monitorować dostęp do pielęgniarstwa onkologicznego, np. w ramach europejskiego zestawu wskaźników dotyczących raka, opierając się na ugruntowanych pracach Indeksu pielęgniarstwa onkologicznego EONS.

3.2.2. Potrzeby dotyczące opieki po przebyciu raka i opieki nad chorymi na raka u schyłku życia: życie z rakiem i po nim

Powyższe rozdziały dotyczyły głównie leczenia raka, należy też jednak poświęcić szczególną uwagę potrzebom osób, które raka przebyły. To nie tylko pacjenci wolni od choroby, wyleczeni, ale także pacjenci z nawrotami lub drugim rakiem pierwotnym, pacjenci z przerywanymi okresami aktywnej choroby (nowotwory przewlekłe) oraz pacjenci żyjący z zaawansowaną chorobą nowotworową przez wiele lat, czasem nawet dłużej, niż zakładano^{420,421}.

W związku ze starzeniem się społeczeństwa, postępem we wczesnej diagnostyce i skutecznością terapii **przeżywalność w przypadku nowotworów znacznie wzrosła** w Europie w ostatnich dziesięcioleciach; obecnie nowotwór przeżywa ponad 10 mln chorych⁴²². **Niezależnie od tego, czy zostali wyleczeni (są wolni od choroby), czy też nie, osoby, które przebyły chorobę nowotworową, stoją przed wieloma wyzwaniami**, takimi jak:

- późne i długotrwałe skutki leczenia i samego raka (choroby współistniejące) dla zdrowia, potencjalne nawroty guzów;
- niepokój emocjonalny, napięcia w relacjach osobistych, piętno społeczne;
- toksyczność finansowa, utrata niezależności i trudności w zatrudnieniu^{423,424}.

Skutki te są wyzwaniem dla systemów opieki zdrowotnej i systemów społecznych jako całości, które muszą **zapewnić osobom, które przebyły chorobę nowotworową, odpowiednią opiekę następczą i, bardziej ogólnie, usługi rehabilitacyjne**, czyli wszelkie działania, które pozwolą tym osobom zachować jak największą niezależność, uczestniczyć w edukacji i pracy, odgrywać określone

⁴²⁰ Albreht T., Borrás Andrés J.M., Dalmás M. i in., Survivorship and rehabilitation: policy recommendations for quality improvement in cancer survivorship and rehabilitation in EU Member States w: Albreht T., Kiasuwa R., Van den Bulcke M., European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem (rozdział 7); 2017 r.

⁴²¹ Welch-McCaffrey D. i in., Surviving adult cancers. Part 2: Psychosocial implications. Annals of Internal Medicine, 1989 r.; 111(6): s. 517-524.

⁴²² Survivorship – the next frontier of cancer care improvement, tekst dostępny na stronie internetowej Europejskiej Organizacji ds. Badań i Leczenia Nowotworów (2018 r.): <https://www.eortc.org/blog/2018/09/04/survivorship-the-next-frontier-of-cancer-care-improvement/> (dostęp: kwiecień 2020 r.).

⁴²³ Albreht T., Borrás Andrés J.M., Dalmás M. i in., Survivorship and rehabilitation: policy recommendations for quality improvement in cancer survivorship and rehabilitation in EU Member States w: Albreht T., Kiasuwa R., Van den Bulcke M., European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem (rozdział 7); 2017 r.

⁴²⁴ Nota faktograficzna opracowana przez US National Cancer Survivors Day na temat opieki nad osobami, które przebyły chorobę nowotworową, dostępna pod adresem: <https://www.ncsd.org/cancer-survivorship-issues> (dostęp: kwiecień 2020 r.).

role życiowe; jest to kluczowy element profilaktyki nowotworowej trzeciego stopnia^{425,426}. Potrzeby pacjentów pediatrycznych po przebyciu choroby nowotworowej omówiono w poświęconej im części niniejszego badania⁴²⁷.

Należy też również zwrócić szczególną uwagę na potrzeby pacjentów w zakresie **opieki u schyłku życia**. Pomimo znacznych postępów w leczeniu chorób nowotworowych i zarządzaniu nimi umieralność jest nadal wysoka; jest to druga w kolejności przyczyna zgonów na świecie⁴²⁸, w UE⁴²⁹ odpowiada za 1,2 mln zgonów rocznie; **opieka nad osobami z zaawansowaną i nieuleczalną chorobą nowotworową to zatem ważny element pracy onkologów**⁴³⁰.

a. Katamneza w planach opieki nad osobami, które przebyły chorobę nowotworową

W konkluzjach dotyczących zmniejszenia obciążenia chorobami nowotworowymi Rada UE wezwała w 2008 r. państwa członkowskie do „uwzględnienia psychospołecznych potrzeb pacjentów i poprawienia jakości życia pacjentów chorych na raka przez udzielanie wsparcia, rehabilitację i opiekę paliatywną”⁴³¹. Istnieje **jednak wciąż szereg przeszkód w zapewnieniu dostępu do niezbędnej opieki osobom, które przebyły chorobę nowotworową**, m.in. nieskuteczna koordynacja opieki i wiele niezaspokojonych potrzeb psychospołecznych. Zgodnie z przeglądami, badaniami i zaleceniami społeczności ds. chorób nowotworowych **niezawodnym podejściem jest opracowanie planów opieki nad osobami, które przebyły chorobę nowotworową**. Chociaż są dowody na istotną wartość dodaną takiej opieki dla pacjentów, dostawców usług i systemów opieki zdrowotnej, tylko nieliczni mają do niej dostęp, ze względu na dwie główne bariery: możliwość realizacji takich planów w praktyce oraz zasoby ludzkie i finansowe niezbędne do ich rozwoju i zarządzania nimi^{432,433,434,435,436,437}.

W ramach współfinansowanego przez UE wspólnego działania w zakresie walki z rakiem (CanCon) opracowano ostatnio zestaw zaleceń dotyczących treści tych planów i zarządzania nimi w państwach członkowskich UE. Plany te należy dostarczać każdemu choremu na raka po zakończeniu leczenia fazy

⁴²⁵ Albrecht T., Borrás Andrés J.M., Dalmás M. i in., Survivorship and rehabilitation: policy recommendations for quality improvement in cancer survivorship and rehabilitation in EU Member States w: Albrecht T., Kiasuwa R, Van den Bulcke M. European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem (rozdział 7); 2017 r.

⁴²⁶ Nota faktograficzna opracowana przez WHO na temat rehabilitacji: https://www.who.int/health-topics/rehabilitation#tab=tab_1 (dostęp: kwiecień 2020 r.).

⁴²⁷ Zob. sekcja 4.2.3 lit. d).

⁴²⁸ Światowa Organizacja Zdrowia (2020 r.): <https://www.who.int/news-room/fact-sheets/detail/cancer> (dostęp: maj 2020 r.).

⁴²⁹ Dane o umieralności z powodu raka w 2018 r. w UE-27 pochodzą z Globalnego Obserwatorium Raka IARC: <https://gco.iarc.fr/today/home> (dostęp: maj 2020 r.).

⁴³⁰ Cherny N., Catane R., Attitudes of medical oncologists toward palliative care for patients with advanced and incurable cancer: Report on a Survey by the European Society of Medical Oncology Taskforce on Palliative and Supportive Care. Cancer, 1 grudnia 2003 r.; 98(11): s. 10–2502.

⁴³¹ Rada Unii Europejskiej. 2876. posiedzenie Rady ds. Zatrudnienia, Polityki Społecznej, Zdrowia i Ochrony Konsumentów: konkluzje w sprawie ograniczenia obciążenia związanego z chorobami nowotworowymi. Luksemburg, Rada ds. Zatrudnienia, Polityki Społecznej, Zdrowia i Ochrony Konsumentów; 2008 r.: <https://register.consilium.europa.eu/doc/srv?l=pl&f=ST%209636%202008%20INIT> (dostęp: kwiecień 2020 r.).

⁴³² Albrecht T., Borrás Andrés J.M., Dalmás M. i in., Survivorship and rehabilitation: policy recommendations for quality improvement in cancer survivorship and rehabilitation in EU Member States w: Albrecht T., Kiasuwa R, Van den Bulcke M. European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem (rozdział 7); 2017 r.

⁴³³ Hewitt M., Greenfield S., Stovall E., From cancer patient to cancer survivor: lost in transition. Washington, DC, US National Academy of Sciences; 2006 r.

⁴³⁴ Wolff SN. The burden of cancer survivorship. a pandemic of treatment success w: Feuerstein M. (red.), Handbook of cancer survivorship. Nowy Jork, Springer; 2006 r.; s. 7–18.

⁴³⁵ Earle CC. Quality of care w: Feuerstein M. (red.), Handbook of cancer survivorship. Nowy Jork, Springer; 2006 r.; s. 19–42.

⁴³⁶ Amerykańskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej. ASCO cancer treatment and survivorship care plans. Aleksandria, VA, Amerykańskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej; 2016 r.: (<http://www.cancer.net/survivorship/follow-care-after-cancer-treatment/asco-cancer-treatment-and-survivorship-care-plans>, dostęp: kwiecień 2020 r.).

⁴³⁷ Keesing S., McNamara, Rosenwax L. Cancer survivors' experience of using survivorship care plans: a systematic review of qualitative studies. Journal of Cancer Survivorship, 2015 r.; 9: s. 260–268.

ostrej, zgodnie z podejściem zintegrowanym i zorientowanym na pacjenta. **Powinny one zawierać informacje medyczne i niemedyczne**, w szczególności:

- możliwe **skutki medyczne leczenia i choroby**, jak również zapewnianą katamnezę;
- **profilaktykę trzeciego stopnia**, czyli informacje o tym, jak pacjenci po przebyciu choroby nowotworowej mogą podnieść jakość swojego życia i zmniejszyć ryzyko nawrotu nowotworu dzięki zdrowemu stylowi życia i samzarządzaniu;
- dostęp do **opieki psychoonkologicznej**, by zwalczać lęk przed nawrotami i inne źródła stresu;
- dostęp do **wsparcia społecznego i pomocy w powrocie do pracy**, by pomóc pacjentom poradzić sobie z gospodarczymi skutkami przebycia choroby nowotworowej oraz ułatwić im reintegrację zawodową;
- **dostęp do leczenia podtrzymującego i opieki paliatywnej**, szczególnie w przypadku zaawansowanej choroby nowotworowej⁴³⁸.

W konkluzjach ze wspólnego działania podkreślono konieczność wczesnej oceny i przewidywania potrzeb pacjentów w wymienionych aspektach, by zaspokajać je w odpowiednim czasie. W zarządzaniu tymi planami duże znaczenie ma koordynacja podmiotów podstawowej opieki zdrowotnej i opieki środowiskowej ze specjalistami w dziedzinie onkologii, wyspecjalizowaną pielęgniarką lub pracownikiem socjalnym nadzorującym dany przypadek, a kształcenie i upodmiotowienie osób, które przebyły chorobę nowotworową, i ich krewnych, może zwiększyć aktywny udział w rehabilitacji. W konkluzjach ze wspólnego działania zawarto również rozbudowany zestaw precyzyjnych zaleceń politycznych, by przenieść te priorytety w praktykę i wyeliminować obecne przeszkody we wdrażaniu takich planów w krajowych systemach opieki zdrowotnej^{439,440}.

Ponadto należy wspierać badania dotyczące osób, które przebyły chorobę nowotworową, aby lepiej zrozumieć podstawy kliniczne problemów, z jakimi się borykają, ocenić korzyści z otrzymywanych świadczeń oraz określić czynniki warunkujące nierówności wśród takich osób⁴⁴¹.

b. Zapewnienie dostępu do podstawowych elementów katamnezy

Wraz ze wzrostem liczby pacjentów i osób, które przebyły chorobę nowotworową, pojawiły się nowe wyzwania dla systemów opieki zdrowotnej i systemów ochrony socjalnej, dotyczące zaspokojenia potrzeb pacjentów w chwili diagnozy, po jej postawieniu oraz w czasie leczenia i po jego zakończeniu, ze szczególnym uwzględnieniem jakości życia pacjentów w czasie zmagania z chorobą nowotworową. Często zaniedbuje się terminowe włączenie do systemu oceny jakości życia pacjentów pod względem stanu zdrowia (fizycznego, psychicznego i społecznego) oraz zarządzanie wielowymiarowym wpływem diagnostyki i leczenia nowotworów jako istotny element długoterminowej katamnezy. Całościowa opieka nad chorymi na raka musi obejmować wszystkie działania, które pomogą pacjentom poradzić sobie z chorobą i zapewnią im jak najlepszą jakość życia

⁴³⁸ Albrecht T., Borrás Andrés J.M., Dalmás M. i in., Survivorship and rehabilitation: policy recommendations for quality improvement in cancer survivorship and rehabilitation in EU Member States w: Albrecht T., Kiasuwa R, Van den Bulcke M. European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem (rozdział 7); 2017 r.

⁴³⁹ Albrecht T., Borrás Andrés J.M., Dalmás M. i in., Survivorship and rehabilitation: policy recommendations for quality improvement in cancer survivorship and rehabilitation in EU Member States w: Albrecht T., Kiasuwa R, Van den Bulcke M. European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem (rozdział 7); 2017 r.

⁴⁴⁰ Wspólne działanie UE w zakresie walki z rakiem. Peiró Pérez R., Molina Barceló A., De Lorenzo F. i in., Dokument programowy: Tackling Social Inequalities in Cancer Prevention and Control for the European Population.

⁴⁴¹ Albrecht T., Borrás Andrés J.M., Dalmás M. i in., Survivorship and rehabilitation: policy recommendations for quality improvement in cancer survivorship and rehabilitation in EU Member States w: Albrecht T., Kiasuwa R, Van den Bulcke M., European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem (rozdział 7); 2017 r.

w trakcie leczenia i po jego zakończeniu. Zasadnicze znaczenie ma zapewnienie chorym dostępu do leczenia wspomagającego oraz opieki psychoonkologicznej i paliatywnej.

i. Dostęp do leczenia wspomagającego

Leczenie wspomagające definiuje się jako zapobieganie negatywnym skutkom nowotworów i ich leczenia oraz zarządzanie tymi skutkami: fizycznymi i psychologicznymi objawami oraz skutkami ubocznymi występującym w całym kontinuum choroby nowotworowej, począwszy od diagnozy, przez leczenie przeciwnowotworowe, aż do opieki po jego zakończeniu. Leczenie wspomagające można postrzegać jako „parasol”, który uzupełnia terapię przeciwnowotworową i zaspokaja wszystkie potrzeby pacjentów chorych na raka oraz podnosi jakość ich życia. Nieodłączne elementy leczenia wspomagającego to: usprawnienie rehabilitacji, profilaktyka drugiego stopnia, opieka dla osób, które przeżyły raka, oraz opieka u schyłku życia⁴⁴².

Leczenie wspomagające świadczą zazwyczaj onkolodzy, ale w podejściu wielodyscyplinarnym można zaangażować specjalistów w zakresie danego narządu, geriatrów, klinicystów prowadzących opiekę paliatywną, specjalistów w dziedzinie leczenia bólu, dietetyków, psychologów onkologicznych, pracowników socjalnych, fizjoterapeutów, pielęgniarki lub pracowników służby zdrowia zajmujących się łagodzeniem objawów lub skutków ubocznych występujących u pacjenta. Podstawowym elementem leczenia wspomagającego jest ukierunkowanie na pacjenta, uwzględnienie również potrzeb jego rodziny i opiekunów oraz wieloaspektowa i holistyczna opieka na wszystkich etapach rozwoju choroby nowotworowej, począwszy od diagnozy aż do przezwyciężenia choroby lub schyłku życia, w trosce o dobre samopoczucie fizyczne i funkcjonalne, psychologiczne, społeczne i duchowe pacjentów⁴⁴³.

Istotnym i stałym celem leczenia wspomagającego jest zarządzanie wieloma skutkami ubocznymi, których doświadczają pacjenci w trakcie leczenia choroby nowotworowej. Od dawna znane i dobrze scharakteryzowane są immunosupresyjne skutki chemioterapii i neuropatyczne skutki onkologicznych procedur chirurgicznych; rozwój nowych środków medycznych oznacza jednak pojawienie się nowych substancji toksycznych, o których nadal bardzo niewiele wiadomo⁴⁴⁴. Niepożądane skutki dotyczą zwłaszcza układu odpornościowego⁴⁴⁵ (choroby autoimmunologiczne lub autozapalne wynikające z zastosowania immunoterapii⁴⁴⁶, a dokładniej inhibitory punktów kontrolnych układu odpornościowego⁴⁴⁷, które zgodnie z literaturą występują w prawie każdym organie^{448,449,450}.

Często niedocenia się ogromnych kosztów leczenia raka w postaci dożywotnych skutków fizycznych i psychicznych u pacjenta. Uderzająco zilustrowano zakres tych skutków ubocznych w badaniu z 2013 r.,

⁴⁴² Definicja leczenia wspomagającego opracowana przez Międzynarodowe Towarzystwo Leczenia Wspomagającego w Onkologii: <https://www.mascc.org/mascc-strategic-plan> (dostęp: lipiec 2020 r.).

⁴⁴³ Olver I., Keefe D., Herrstedt J. i in., Supportive Care in Cancer-A MASCC Perspective. Support Care Cancer. 27 kwietnia 2020 r.

⁴⁴⁴ Olver I., Keefe D., Herrstedt J. i in., Supportive Care in Cancer-A MASCC Perspective. Support Care Cancer. 27 kwietnia 2020 r.

⁴⁴⁵ Brahmer J.R., Lacchetti C., Schneider B.J. i in., Management of Immune-Related Adverse Events in Patients Treated with Immune Checkpoint Inhibitor Therapy: American Society of Clinical Oncology Clinical Practice Guideline. J Clin Oncol., 10 lipca 2018 r.; 36(17): s. 1714–1768.

⁴⁴⁶ Rapoport B.L., van Eden R., Sibud V., i in., Supportive care for patients undergoing immunotherapy. Support Care Cancer, październik 2017 r.; 25(10): s. 3017–3030.

⁴⁴⁷ Definicja inhibitorów punktów kontrolnych układu odpornościowego – zob. sekcja 3.1.2.,

⁴⁴⁸ Postow M.A., Sidlow R., Hellmann MD. Immune-related adverse events associated with immune checkpoint blockade. N. Engl. J. Med., 11 stycznia; 378(2): s. 158–168.

⁴⁴⁹ Weber J.S., Hodi F.S., Wolchok J.D. i in., Safety Profile of Nivolumab Monotherapy: A Pooled Analysis of Patients with Advanced Melanoma. J Clin Oncol., marzec 2017 r.; 35(7): s. 785–792.

⁴⁵⁰ Calabrese L.H., Calabrese C., Cappelli L.C., Rheumatic Immune-Related Adverse Events from Cancer Immunotherapy. Nat Rev Rheumatol., październik 2018 r.; 14(10): s. 569–579.

w którym oszacowano, że w samym tylko Zjednoczonym Królestwie 500 000 osób boryka się z problemami zdrowotnymi i niepełnosprawnością po leczeniu raka – to jedna czwarta (25%) osób, u których w pewnym momencie życia zdiagnozowano raka. Obejmuje to na przykład 350 000 osób doświadczających chronicznego zmęczenia lub trudności w życiu seksualnym, 240 000 osób cierpiących na problemy ze zdrowiem psychicznym oraz 200 000 osób odczuwających chroniczny ból po leczeniu⁴⁵¹. Te długoterminowe skutki leczenia nowotworów odczuwają zatem miliony osób leczonych na raka w całej Europie; zasługują one na szczególną uwagę w polityce zdrowia publicznego.

Zalecenie: Poprawa jakości życia pacjentów leczonych na raka w UE dzięki leczeniu wspomagającemu

Ze względu na zakres długoterminowych skutków ubocznych, których doświadczają pacjenci po zakończeniu leczenia choroby nowotworowej, polityka UE w zakresie walki z nowotworami powinna skupiać się na poprawie jakości życia pacjentów, a nie na samym przezwyciężeniu choroby. Zapewnianie leczenia wspomagającego powinno być postrzegane jako stosunkowo tani, skuteczny i znaczący element działań. Możliwości dalszego rozwoju leczenia wspomagającego w Europie obejmują:

- poprawę kształcenia wszystkich pracowników służby zdrowia w zakresie zarządzania długoterminowymi skutkami ubocznymi wynikającymi z choroby nowotworowej i jej leczenia;
- wprowadzenie szerokiego zakresu systemów monitorowania długoterminowych wyników pacjentów leczonych na raka, by umożliwić całościową ocenę korzyści i szkód wynikających z każdej metody leczenia nowotworu;
- zwiększenie inwestycji w badania naukowe nad leczeniem wspomagającym oraz w leczenie wspomagające w UE.

ii. Dostęp do wsparcia psychoonkologicznego

U pacjentów chorych na raka lęk jest powszechny, zarówno przed rozpoczęciem leczenia, jak i w jego trakcie i po jego zakończeniu; to zwłaszcza obawa o nawrót choroby. Obniża on jakość życia, przejawia się w takich aspektach jak poczucie własnej wartości, zmiana roli w związku, izolacja społeczna, a nawet zaburzenia psychiczne^{452, 453, 454}. Wyzwania te mogą być tym silniejsze przy nowotworach związanych ze znaczącą stygmatyzacją, np. przy raku płuc⁴⁵⁵. Stwierdzono, że lęk może również powodować odwlekanie lub odmowę leczenia, niechęć do ujawniania statusu nowotworu i do udziału w grupach wsparcia, a także niższy wskaźnik przeżycia, co podkreśla znaczenie

⁴⁵¹ MacMillan Cancer Support. "Cured but at what cost?" (2013 r.): https://www.macmillan.org.uk/images/cured-but-at-what-cost-report_tcm9-295213.pdf (dostęp: czerwiec 2020 r.).

⁴⁵² Mehnert A., Hartung T.J., Dalmas M. i in., One in Two Cancer Patients Is Significantly Distressed: Prevalence and Indicators of Distress. *Psychooncology*, styczeń 2018 r.; 27(1): s. 75–82.

⁴⁵³ Harju E., Michel G., Roser K., A systematic review on the use of the emotion thermometer in individuals diagnosed with cancer. *Psychooncology*, wrzesień 2019 r.; 28(9): s. 1803–1818.

⁴⁵⁴ Mehnert A., Herschbach P., Berg P. i in., Fear of progression in breast cancer patients - Validation of the short form of the Fear of Progression Questionnaire (FoP-Q-SF). *Z Psychosom Med Psychother.*, 2006 r.; 52(3): s. 88–274.

⁴⁵⁵ Lehto R.H., Psychosocial challenges for patients with advanced lung cancer: interventions to improve well-being. *Lung Cancer (Auckl)*, 28 lipca 2017 r.; 8: s. 79–90.

lęku^{456, 457, 458}. **Usługi zdrowotne powinny zatem obejmować pomoc psychologiczną nie tylko jako kluczowy element leczenia wspomagającego oferowanego chorym na raka i osobom, które przebyły chorobę, ale ogólnie jako nieodłączny element opieki nad pacjentem w całym procesie leczenia chorób nowotworowych.** Obejmuje to zapewnienie wszystkim pacjentom i osobom, które przebyły chorobę nowotworową, **dostępu do wczesnych, systematycznych i regularnie aktualizowanych psychospołecznych badań przesiewowych** i obserwacji we wszystkich fazach choroby^{459, 460, 461, 462}, szczególnie w momentach krytycznych lub trudnych, w tym podczas pierwszej wizyty i przy zmianach w statusie choroby^{463, 464}. Badania przesiewowe w kierunku stresu związanego z nowotworami przy użyciu standardowych instrumentów uważa się za absolutne minimum w kompleksowej opiece ukierunkowanej na pacjenta^{465, 466, 467, 468, 469}; umożliwiają pacjentom uzyskanie odpowiednio dostosowanego wsparcia psychospołecznego we właściwym czasie. Ponadto pacjentom chorym na raka oraz osobom, które przebyły chorobę nowotworową, należy zapewnić **kompleksową i etapową ocenę psychospołeczną**, uwzględniającą kwestie fizyczne, emocjonalne, praktyczne, rodzinne i duchowe/religijne^{470, 471, 472}. **Wsparcie psychoonkologiczne może przyjmować różne formy: psychoedukacji, technik relaksacyjnych, psychoterapii indywidualnej i grupowej.** Pacjenci mogą również skorzystać z prehabilitacji, czyli szczególnego wsparcia przed chirurgiczną procedurą

⁴⁵⁶ Chambers S.K., Dunn J., Occhipinti S. i in., A systematic review of the impact of stigma and nihilism on lung cancer outcomes. *BMC Cancer*, 20 maja 2012 r.; 12: s. 184.

⁴⁵⁷ Henningfield M.F., Adjei A.A., Lung Cancer Awareness Month - A Lot of Progress, But More Work Needs to Be Done. *J Thorac Oncol*, listopad 2017 r.; 12(11): s. 1603–1605.

⁴⁵⁸ Vodermaier A., Lucas S., Linden W. i in., Anxiety after diagnosis predicts lung cancer-specific and overall survival in patients with stage III non-small cell lung cancer: a population-based cohort study. *J Pain Symptom Manage.*, styczeń 2017 r.; 53(6): s. 1057–1065.

⁴⁵⁹ Albrecht T., Kiasuwa R., Van den Bulcke M., European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem (rozdział 4); 2017 r.

⁴⁶⁰ Gysels M., Higginson I.J., Rajasekaran M. i in., Improving supportive and palliative care for adults with cancer: research evidence. Londyn: Instytut NICE (National Institute for Health and Clinical Excellence); 2004 r.

⁴⁶¹ Loscalzo M., Clark K.L., Hoekman J., Successful strategies for implementing biopsychosocial screening. *Psychooncology*, maj 2011 r.; 20(5): s. 455–462.

⁴⁶² Sussman J., Baldwin L.M., The Interface of Primary and Oncology Specialty Care: From Diagnosis Through Primary Treatment. *J Natl Cancer Inst.*, 2010 r.; 2010(40): s. 18–24.

⁴⁶³ Hewitt M., Greenfield S., Stovall E., From cancer patient to cancer survivor: lost in transition. Committee on cancer survivorship: improving care and quality of life, institute of medicine and national research council. Waszyngton, DC: The National Academies Press; 2006 r.

⁴⁶⁴ Page A.E., Adler N.E., Cancer care for the whole patient: Meeting psychosocial health needs. National Academies Press; 2008 r.

⁴⁶⁵ Albrecht T., Kiasuwa R., Van den Bulcke M., European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem (rozdział 4); 2017 r.

⁴⁶⁶ Andritsch E., Beischon M., Bielack S. i in., Kluczowe wymogi ECCO dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka: Mięsak tkanek miękkich u dorosłych i mięsak kości. Przegląd krytyczny. *Crit Rev Oncol Hematol.*, luty 2017 r.; 110: s. 94–105.

⁴⁶⁷ Beets G., Sebag-Montefiore D., Andritsch E. i in., Kluczowe wymogi ECCO dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka: Rak jelita grubego. Przegląd krytyczny. *Crit Rev Oncol Hematol.*, luty 2017 r.; 110: s. 81–93.

⁴⁶⁸ Loscalzo M., Clark K.L., Holland J. Successful strategies for implementing biopsychosocial screening. *Psychooncology*, maj 2011 r.; 20(5): s. 455–462.

⁴⁶⁹ Page A.E., Adler N.E. Cancer care for the whole patient: Meeting psychosocial health needs. National Academies Press; 2008 r.

⁴⁷⁰ CPAC, Bultz B., Kanadyjskie Partnerstwo na rzecz Walki z Rakiem - Guide to Implementing Screening for Distress, the 6th Vital Sign Moving Towards Person-Centered Care; 2009 r. Pobrano z Toronto: http://www.virtualhospice.ca/Assets/Distress-%20CPAC_20150713161546.pdf (dostęp: lipiec 2020 r.).

⁴⁷¹ Gysels M., Higginson I.J., Rajasekaran M. i in., Improving supportive and palliative care for adults with cancer: research evidence. Londyn: Instytut NICE (National Institute for Health and Clinical Excellence); 2004 r.

⁴⁷² Nekhlyudov L., O'Malley D.M., Hudson, S.V., Integrating Primary Care Providers in the Care of Cancer Survivors: Gaps in Evidence and Future Opportunities. *Lancet Oncol.*, styczeń 2017 r.; 18(1): e30–e38.

onkologiczną, mającego zmniejszyć stres fizjologiczny i psychologiczny przed operacją oraz zmniejszyć powikłania pooperacyjne^{473,474}.

Wykazano, że interwencje psychospołeczne skutecznie poprawiają wyniki psychospołeczne u chorych na raka, w tym pod względem niepokoju emocjonalnego (samopoczucia), lęku, depresji i jakości życia^{475, 476, 477, 478, 479, 480, 481} i są opłacalne przy różnych, potencjalnie akceptowalnych progach gotowości do ponoszenia opłat⁴⁸².

Wszyscy pacjenci i osoby, które przebyły chorobę nowotworową, powinni więc mieć dostęp do pracowników i konsultantów psychospołecznych odpowiednio do potrzeb^{483, 484, 485}, a także do podstawowych oficjalnych źródeł wsparcia psychospołecznego (np. wspólnie i nieosądzającej komunikacji)^{486, 487}. Zapewnienie opieki psychoonkologicznej wymaga zaangażowania specjalistów z szeregu dziedzin, w tym pracowników socjalnych, pielęgniarek i wielu innych pracowników służby zdrowia, dlatego dokładna ocena potrzebnych zasobów ludzkich i finansowych może być trudna. **Na opiekę psychoonkologiczną jednoznacznie wskazuje się jednak jako na obszar stale niezaspokojonych potrzeb pacjentów, nawet w porównaniu z potrzebami łagodzenia bólu w onkologii⁴⁸⁸**. Jak stwierdzono w badaniu przeprowadzonym w 2015 r. w ramach Europejskiego partnerstwa na rzecz walki z rakiem (EPAAC), zaledwie w dziesięciu europejskich systemach opieki zdrowotnej wprowadzono specjalne rozwiązania budżetowe na potrzeby onkologii psychospołecznej, w ośmiu wdrożono zalecane na poziomie krajowym wytyczne kliniczne w tej dziedzinie, a tylko w sześciu istnieją oficjalne świadectwa edukacji w tym zakresie. Ponadto badania w dziedzinie opieki psychoonkologicznej są w znacznym stopniu niedofinansowane: na przykład zaledwie 1% badań nad rakiem płuc miało na celu poznanie potrzeb i poprawę opieki wspierającej i jakości życia pacjentów,

⁴⁷³ Jensen B.T., Lauridsen S.V., Jensen J.B., Prehabilitation for Major Abdominal Urologic Oncology Surgery. *Curr Opin Urol.*, maj 2018 r.; 28(3): s. 243–250.

⁴⁷⁴ Vahr Lauridsen S., Thomsen T., Kaldan G. i in., Smoking and Alcohol Cessation Intervention in Relation to Radical Cystectomy: A Qualitative Study of Cancer Patients' Experiences. *BMC Cancer*, 25 listopada 2017 r.; 17(1):793.

⁴⁷⁵ Carlson L., Bultz B., Efficacy vs. cost of psychosocial interventions: an evidence-based call for action. *Oncol Exchange*, 2002 r.; 1(2): s. 24–29.

⁴⁷⁶ Carlson L., Bultz B.D., Efficacy and medical cost offset of psychosocial interventions in cancer care: making the case for economic analyses. *Psychooncology*, 2004 r.; 13(12): s. 837–849.

⁴⁷⁷ Europejska Organizacja ds. Raka. Stanowisko - Zintegrowana opieka nad chorymi na raka: połączenie opieki podstawowej i specjalistycznej: <https://www.european-cancer.org/resources/57:integrated-cancer-care-bringing-primary-care-and-secondary-care-together.html> (dostęp: lipiec 2020 r.).

⁴⁷⁸ Gysels M., Higginson I.J., Rajasekaran M. i in. Improving supportive and palliative care for adults with cancer: research evidence. Londyn: Instytut NICE (National Institute for Health and Clinical Excellence); 2004 r.

⁴⁷⁹ Jacobsen P.B., Shibata D., Siegel E.M., Evaluating the quality of psychosocial care in outpatient medical oncology settings using performance indicators. *Psychooncology*, listopad 2011 r.; 20(11): s. 1221–1227.

⁴⁸⁰ Raingruber B., The Effectiveness of Psychosocial Interventions with Cancer Patients: An Integrative Review of the Literature (2006–2011). *ISRN Nursing*, 2011 r., 638218.

⁴⁸¹ Faller H., Schuler M., Richard M. i in., Effects of Psycho-Oncologic Interventions on Emotional Distress and Quality of Life in Adult Patients With Cancer: Systematic Review and Meta-Analysis. *J Clin Oncol.*, 20 lutego 2013 r.; 31(6): s. 782–93.

⁴⁸² Jansen F., Van Zwieten V., Coupé V.M.H. i in., A Review on Cost-Effectiveness and Cost-Utility of Psychosocial Care in Cancer Patients. *Asia-Pacific Journal of Oncology Nursing*, 2016 r.; 3(2): s. 125–136.

⁴⁸³ Borrás J.M., Albrecht T., Audisio R. i in., Policy statement on multidisciplinary cancer care. *Eur J Cancer*, luty 2014 r.; 50(3): s. 80–475.

⁴⁸⁴ CPAC, Bultz B., Kanadyjskie Partnerstwo na rzecz Walki z Rakiem - Guide to Implementing Screening for Distress, the 6th Vital Sign Moving Towards Person-Centered Care; 2009 r. Pobrano z Toronto: http://www.virtualhospice.ca/Assets/Distress-%20CPAC_20150713161546.pdf (dostęp: lipiec 2020 r.).

⁴⁸⁵ Page AE, Adler NE. *Cancer care for the whole patient: Meeting psychosocial health needs*. National Academies Press; 2008 r.

⁴⁸⁶ Gysels M., Higginson I.J., Rajasekaran M. i in., Improving supportive and palliative care for adults with cancer: research evidence. Londyn: Instytut NICE (National Institute for Health and Clinical Excellence); 2004 r.

⁴⁸⁷ Pascoe S.W., Neal R.D., Allgar V.L. i in., Psychosocial care for cancer patients in primary care? Recognition of opportunities for cancer care. *Fam Pract.*, sierpień 2004 r.; 21(4): s. 437–42.

⁴⁸⁸ Jacobsen P.B., Shibata D., Siegel E.M., Evaluating the quality of psychosocial care in outpatient medical oncology settings using performance indicators. *Psychooncology*, listopad 2011 r.; 20(11): s. 1221–1227.

mimo że temu rodzajowi nowotworów towarzyszą wysokie potrzeby psychospołeczne⁴⁸⁹.

Stwierdzone wymagania dotyczące rozwoju opieki psychoonkologicznej w Europie obejmują:

- integrację i włączenie do krajowych planów walki z rakiem strukturalnych środków finansowych na rehabilitację psychospołeczną, reintegrację i powrót do normalnego życia⁴⁹⁰;
- przygotowanie wszystkich podmiotów podstawowej opieki zdrowotnej i onkologicznej do realizacji programów edukacyjnych dla osób, które przebyły chorobę nowotworową, z rozszerzeniem kompetencji psychospołecznych świadczeniodawców^{491,492,493,494};
- opracowanie certyfikacji w subspecjalizacji dotyczącej wychodzenia z chorób nowotworowych, obejmującej podstawy psychoonkologii⁴⁹⁵;
- zapewnienie zrównoważonych inwestycji w odpowiednie szkolenia psychoonkologiczne i szkolenia dla osób, które przebyły chorobę nowotworową^{496,497,498,499,500,501};
- wykorzystanie potencjału nowych technologii do lepszego gromadzenia i monitorowania danych oraz poprawy komunikacji i interakcji między wyspecjalizowanymi podmiotami opieki zdrowotnej w zakresie onkologii, podstawowej opieki zdrowotnej i specjalistami psychospołecznymi, by osiągnąć dynamiczne i skoordynowane zarządzanie potrzebami w zakresie opieki i stanem psychospołecznym pacjentów chorych na raka^{502,503}.

iii. Dostęp do opieki paliatywnej

Istotna rola opieki paliatywnej w wielodyscyplinarnej opiece nad chorymi na raka

W opiece paliatywnej holistycznie podchodzi się do problemów fizycznych, psychospołecznych i duchowych u osób z chorobami zagrażającymi życiu lub skracającymi życie. Celem opieki

-
- ⁴⁸⁹ Henningfield M.F., Adjei A.A., Lung Cancer Awareness Month - A Lot of Progress, But More Work Needs to Be Done. *J Thorac Oncol*, listopad 2017 r.; 12(11): s. 1603–1605.
- ⁴⁹⁰ Albrecht T., Kiasuwa R., Van den Bulcke M., European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działania w zakresie walki z rakiem (rozdział 4); 2017 r.
- ⁴⁹¹ Cohen E.E., LaMonte S.J., Erb N.L. i in., American Cancer Society head and neck cancer survivorship care guideline. *CA Cancer J Clin.*, maj 2016 r.; 66(3): s. 39–203.
- ⁴⁹² O'Malley D.M., Davis S.N., Crabtree B.F. i in., Primary care physicians experiences of caring for cancer survivors: Toward developing a primary care-responsive cancer survivorship research agenda. *J Clin Oncol.*, 2017 r.; 35(5_suppl): s. 97.
- ⁴⁹³ Resnick M.J., Lacchetti C., Penson D.F., Prostate cancer survivorship care guidelines: American Society of Clinical Oncology practice guideline endorsement. *J Oncol Pract.*, maj 2015 r.; 11(3): e445–9.
- ⁴⁹⁴ Runowicz C.D., Leach C.R., Henry N.L. i in., American cancer society/American society of clinical oncology breast cancer survivorship care guideline. *CA Cancer J Clin.*, styczeń–luty 2016 r.; 66(1): s. 43–73.
- ⁴⁹⁵ Rubinstein E.B., Miller W.L., Hudson S.V. i in., Cancer survivorship care in advanced primary care practices: A qualitative study of challenges and opportunities. *JAMA Intern Med.*, 1 grudnia 2017 r.; 177(12): s. 1726–1732.
- ⁴⁹⁶ Albrecht T., Kiasuwa R., Van den Bulcke M., European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działania w zakresie walki z rakiem (rozdział 4); 2017 r.
- ⁴⁹⁷ Gysels M., Higginson I.J., Rajasekaran M. i in., Improving supportive and palliative care for adults with cancer: research evidence. Londyn: Instytut NICE (National Institute for Health and Clinical Excellence); 2004 r.
- ⁴⁹⁸ Holland J.C., Bultz B.D., The NCCN guideline for distress management: a case for making distress the sixth vital sign. *J Natl Compr Canc Netw.*, styczeń 2007 r.; 5(1): s. 3–7.
- ⁴⁹⁹ Jacobsen P., Ransom S., Implementation of NCCN distress management guidelines by member institutions. *J Natl Compr Canc Netw.*, styczeń 2007 r.; 5(1): s. 99–103.
- ⁵⁰⁰ Kim H.L., Puymon M.R., Qin M. i in., NCCN clinical practice guidelines in oncology™; 2013 r.
- ⁵⁰¹ Sussman J., Baldwin L.M., The Interface of Primary and Oncology Specialty Care: From Diagnosis Through Primary Treatment. *J Natl Cancer Inst Monogr.*, 2010 r.; 2010(40): s. 18–24.
- ⁵⁰² Jacobsen P.B., Shibata D., Siegel E.M., Evaluating the quality of psychosocial care in outpatient medical oncology settings using performance indicators. *Psychooncology*, listopad 2011 r.; 20(11): s. 1221–1227.
- ⁵⁰³ Banks L., Weller D., Ungan M. i in., Kluczowe wymogi ECCO dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka: Primary Care. *Crit Rev Oncol Hematol.*, październik 2019 r.; 142: s. 187–199.

paliatywnej jest poprawa jakości życia chorych i ich rodzin oraz zachowanie ich godności przez łagodzenie wszelkich form cierpienia wywołanego chorobą.

Znaczenie opieki paliatywnej dostrzegły główne towarzystwa onkologiczne i uznały ją za element leczenia nowotworów na wysokim poziomie⁵⁰⁴. Komisja Lancet do spraw opieki paliatywnej i badań nad uśmierzeniem bólu (Lancet Commission on Palliative Care and Pain Relief Study) wskazuje też, że **opieka paliatywna to istotny element całościowej opieki, którą powinny świadczyć wszystkie podmioty opieki zdrowotnej i społecznej oraz specjaliści ds. opieki paliatywnej**, w każdym środowisku opieki zdrowotnej, w tym w warunkach domowych⁵⁰⁵. W 2014 r. w specjalnej rezolucji Światowego Zgromadzenia Zdrowia wezwano wszystkie kraje, by włączyły opiekę paliatywną do swoich systemów opieki zdrowotnej⁵⁰⁶. Uznając opiekę paliatywną za prawo człowieka, Światowe Zgromadzenie Zdrowia 67.19 podkreśliło jej znaczenie w programach zdrowia publicznego i opowiedziało się za opracowaniem, udoskonaleniem i wdrożeniem zasad opieki paliatywnej, finansowaniem zasobów ludzkich w opiece paliatywnej, partnerstwami wielosektorowymi oraz zwiększeniem dostępu do podstawowych leków stosowanych zwykle w opiece paliatywnej.

Korzyści z włączenia opieki paliatywnej do procesu opieki nad pacjentami chorymi na raka

Ostatnie postępy pod względem skuteczności i tolerancji leczenia nowotworów sprawiły, że w niektórych przypadkach choroba nowotworowa stała się chorobą przewlekłą, **coraz więcej dowodów wskazuje jednak na korzyści wynikające z wprowadzenia wczesnej opieki paliatywnej** zarówno w leczeniu nowotworów niehematologicznych^{507,508}, jak i hematologicznych^{509,510}. Opieka paliatywna ma poprawiać jakość życia, a są dowody na to, że wprowadzona na wczesnym etapie rozwoju choroby może przyczynić się do **poprawy przeżywalności pacjentów**^{511,512,513,514}. Ponadto **odnotowuje się korzyści płynące z wczesnego wprowadzenia opieki paliatywnej również w odniesieniu do kontroli objawów, stanu emocjonalnego i jakości życia**. Wczesna interwencja, bez rezygnowania z opieki nad osobami u schyłku życia, przynosi zmiany w świadczeniu opieki paliatywnej, zwłaszcza w szpitalach, gdzie **dostrzega się potrzebę lepszej integracji opieki paliatywnej i onkologicznej**⁵¹⁵;

⁵⁰⁴ Amerykańskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej (ASCO) - Europejskie Towarzystwo Onkologii Medycznej (ESMO) – Wspólne oświadczenie na temat wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka. J Clin Oncol., 20 lipca 2006 r.; 24(21): s. 3498–9.

⁵⁰⁵ Knaul F.M., Farmer P.E., Krakauer E.L. i in., Komisja Lancet do spraw opieki paliatywnej i badań nad uśmierzeniem bólu (Lancet Commission on Palliative Care and Pain Relief Study Group). Ułatwienie dostępu do opieki paliatywnej i uśmierzenia bólu - konieczność powszechnego uwzględnienia w opiece zdrowotnej (Alleviating the access abyss in palliative care and pain relief - an imperative of universal health coverage): Raport Komisji Lancet. Lancet. 7 kwietnia 2018 r.; 391(10128): s. 1391–454.

⁵⁰⁶ Rezolucja Światowego Zgromadzenia Zdrowia w sprawie wzmocnienia opieki paliatywnej jako elementu kompleksowej opieki w ciągu całego życia (2014 r.): https://apps.who.int/gb/ebwha/pdf_files/WHA67/A67_R19-en.pdf (dostęp: maj 2020 r.).

⁵⁰⁷ Tassinari D., Drudi F., Monterubbianesi M.C. i in., Early palliative care in advanced oncologic and nononcologic chronic diseases: a systematic review of literature. Rev Recent Clin Trials, 2016 r.; 11(1): s. 63–71.

⁵⁰⁸ Haun M.W., Estel S., Rücker G. i in. (2017 r.), Early palliative care for adults with advanced cancer. Cochrane Database Syst Rev., 12 czerwca 2017 r.; 6: CD011129.

⁵⁰⁹ Loggers E.T., LeBlanc T.W., El-Jawahri A. i in., Pre-transplantation Supportive and Palliative Care Consultation for High-Risk Hematopoietic Cell Transplantation Patients. Biol Blood Marrow Transplant, lipiec 2016 r.; 22(7): s. 1299–1305.

⁵¹⁰ Porta-Sales J., Guerrero-Torrelles M., Moreno-Alonso D. i in., Is Early Palliative Care Feasible in Patients With Multiple Myeloma? J Pain Symptom Manage. listopad 2017 r.; 54(5): s. 692–700.

⁵¹¹ Hui D., Kim Y.J., Park J.C. i in., Integration of oncology and palliative care: a systematic review. Oncologist, styczeń 2015 r.; 20(1): s. 77–83.

⁵¹² Holmenlund K., Sjogren P., Nordly M., Specialised palliative care in advanced cancer: what is the efficacy? A systematic review. Palliat Support Care, grudzień 2017 r.; 15(6): s. 724–740.

⁵¹³ Haun M.W., Estel S., Rücker G. i in. (2017 r.), Early palliative care for adults with advanced cancer. Cochrane Database Syst Rev., 12 czerwca 2017 r.; 6: CD011129.

⁵¹⁴ Temel J.S., Greer J.A., Muzikansky A. i in., Early Palliative Care for Patients With Metastatic Non-Small-Cell Lung Cancer. N Engl J Med., 19 sierpnia 2010 r.; 363(8): s. 733–42.

⁵¹⁵ Kaasa S., Loge J.H., Aapro M. i in., Integration of oncology and palliative care: Komisja Onkologiczna Lancet. Lancet Oncol., listopad 2018 r.; 19(11): e588–e653.

opieka paliatywna powinna wykraczać poza standardowe konsultacje⁵¹⁶. Zespoły opieki paliatywnej, w ścisłej współpracy z onkologami i hematologami, dbają o jak najlepsze wykorzystanie różnorodnej i komplementarnej wiedzy i umiejętności w opiece nad pacjentami i ich rodzinami.

Dane wskazują również na to, że **włączenie opieki paliatywnej do opieki nad osobami z chorobą nowotworową może być tańsze i bardziej opłacalne** od standardowych metod leczenia raka^{517,518,519,520,521}. Wykazano również, że wczesne objęcie opieką paliatywną obniża wskaźniki ponownej hospitalizacji i może skracać czas tejże⁵²², przyczyniając się do znacznego obniżenia kosztów. Włączenie opieki paliatywnej do systemu opieki zdrowotnej i rozszerzenie zakresu opieki, bez pozbawiania pacjentów dostępu do opieki leczniczej, pozwala również na elastyczność i płynne powiązanie leczenia choroby i opieki paliatywnej od momentu postawienia diagnozy. Aby chory i jego rodzina zaakceptowali opiekę paliatywną na wczesnym etapie rozwoju choroby, muszą mieć pewność i być świadomi, że taka decyzja nie oznacza rezygnacji z leczenia modyfikującego przebieg choroby.

Wyzwania w zapewnianiu wysokiej jakości opieki paliatywnej w całej UE

W najnowszej edycji Atlasu Opieki Paliatywnej w Europie (Atlas of Palliative Care in Europe) opracowanego przez Europejskie Towarzystwo Opieki Paliatywnej (EAPC) odnotowano znaczne postępy w integracji opieki paliatywnej z krajowymi systemami opieki zdrowotnej w Europie⁵²³. **Coraz większą uwagę poświęca się jednak wyzwaniom w dostępie do terapii uśmierzania bólu i jej dostępności, takim jak różnice kulturowe między systemami opieki zdrowotnej, bariery regulacyjne oraz brak zrozumienia ze strony niektórych pracowników służby zdrowia.** Wczesna i pełna integracja opieki paliatywnej z opieką nad chorymi na raka wymaga oceny i poprawy podstawowego kształcenia i szkolenia lekarzy w zakresie opieki paliatywnej. Dane pokazują, że personel onkologiczny jest wciąż niewystarczająco przygotowany do zapewnienia niezbędnej pacjentom opieki paliatywnej^{524, 525, 526,527,528, 529}. **Rozwiązanie tego problemu niewątpliwie pomoże poprawić opiekę nad chorymi na raka i ich rodzinami.**

⁵¹⁶ Slama O., Pochop L., Sedo J. i in., Effects of Early and Systematic Integration of Specialist Palliative Care in Patients with Advanced Cancer: Randomised Controlled Trial PALINT. *J Palliat Med.*, 8 maja 2020 r.

⁵¹⁷ Kavalieratos D., Corbelli J., Zhang D. i in., Association Between Palliative Care and Patient and Caregiver Outcomes: A Systematic Review and Meta-analysis. *JAMA*, 22 listopada 2016 r.; 316(20): s. 2104–2114.

⁵¹⁸ Gaertner J, Siemens W, Meerpohl JJ, i in., Effect of Specialist Palliative Care Services on Quality of Life in Adults With Advanced Incurable Illness in Hospital, Hospice, or Community Settings: Systematic Review and Meta-Analysis. *BMJ*, 4 lipca 2017 r.; 357: j2925.

⁵¹⁹ Brick A., Smith S., Normand C. i in., Costs of Formal and Informal Care in the Last Year of Life for Patients in Receipt of Specialist Palliative Care. *Palliat Med.*, kwiecień 2017 r.; 31(4): s. 356–368.

⁵²⁰ Chalkidou K., Marquez P., Dhillon P.K. i in., Evidence-informed frameworks for cost-effective cancer care and prevention in low, middle, and high-income countries. *Lancet Oncol.*, marzec 2014 r.; 15(3): e119–e131.

⁵²¹ May P., Garrido M.M., Cassel J.B. i in., Cost analysis of a prospective multi-site cohort study of palliative care consultation teams for adults with advanced cancer: Where do cost-savings come from? *Palliat Med.*, kwiecień 2017 r.; 31(4): s. 378–386.

⁵²² Cassel J.B., Kerr K., Pantilat S. i in., Palliative care consultation and hospital length of stay. *J Palliat Med.*, czerwiec 2010 r.; 13(6): s. 7–761.

⁵²³ Atlas Opieki Paliatywnej w Europie (Atlas of Palliative Care in Europe) 2019 r.: https://www.eapcnet.eu/Portals/0/PDFs/Atlas%20Europa%202019_DEF.pdf (dostęp: maj 2020 r.).

⁵²⁴ Prazak K.A., Lester P.E., Fazzari M., Evaluation of physician assistant student knowledge and perception of competence in palliative symptom management. *J Allied Health*, zima 2014 r.; 43(4): e69–e74.

⁵²⁵ Chen E., McCann J.J., Lateef O.B., Attitudes toward and experiences in end-of-life care education in the intensive care unit: A survey of resident physicians. *Am J Hosp Palliat Care*, listopad 2015 r.; 32(7): s. 44–738.

⁵²⁶ Lesnock J.L., Arnold R.M., Meyn L.A. i in., Palliative care education in gynecologic oncology: A survey of the fellows. *Gynecol Oncol.*, wrzesień 2013 r.; 130(3): s. 5–431.

⁵²⁷ Buss M.K., Lessen D.S., Sullivan A.M. i in., Hematology/oncology fellows' training in palliative care: Results of a national survey. *Cancer*, 15 września 2011 r.; 117(18): s. 11–4304.

⁵²⁸ Thomas R.A., Curley B., Wen S. i in., Palliative Care Training During Fellowship: A National Survey of U.S. Hematology and Oncology Fellows. *J Palliat Med.*, wrzesień 2015 r.; 18(9): s. 747–51.

⁵²⁹ Al-Kindi S.G., Zeinah G.F., Hassan A.A., Palliative care knowledge and attitudes among oncology nurses in Qatar. *Am J Hosp Palliat Care*, sierpień 2014 r.; 31(5): s. 469–74.

c. Ochrona przed dyskryminacją osób po przebyciu choroby nowotworowej, przez inicjatywy regulacyjne

Oprócz dostępu do właściwej opieki i wsparcia osoby, które przebyły chorobę nowotworową, mogą również skorzystać na odpowiednich przepisach chroniących je przed społeczno-ekonomicznymi skutkami choroby.

Są to przepisy mające **chronić życie zawodowe osób, które przebyły chorobę nowotworową**, przez przyznanie im prawa do przejścia z pracy pełnoetatowej na pracę w niepełnym wymiarze⁵³⁰, ochronę przed dyskryminacją w miejscu pracy wynikającą z niepełnosprawności lub wymaganie od pracodawcy rozsądnego dostosowania zadań, czasu pracy i środowiska pracy do stanu danej osoby^{531,532}. Europejska społeczność zajmująca się chorobami nowotworowymi uważa, że wskazanie najlepszych praktyk w państwach członkowskich UE oraz ich szersze wdrażanie to obiecująca perspektywa, którą można wesprzeć przez rozszerzenie roli Europejskiej Agencji Bezpieczeństwa i Zdrowia w Pracy (OSHA)⁵³³.

Leczenie nowotworów to coraz większe obciążenie finansowe dla pacjentów i ich rodzin. Dlatego trzeba identyfikować pacjentów wysokiego ryzyka i zapewnić im wsparcie niezbędne do przezwyciężenia trudności finansowych w trakcie leczenia i po jego zakończeniu. Co najważniejsze, kluczowy problem **dyskryminacji finansowej osób, które przebyły chorobę nowotworową**, w postaci przeszkód w dostępie do usług finansowych (ubezpieczenie zdrowotne czy umowy kredytowe) dla osób, u których rozpoznano chorobę nowotworową, mający szereg dramatycznych konsekwencji w życiu codziennym, można rozwiązać w drodze **przepisów o „prawie do bycia zapomnianym”**⁵³⁴. Przepisy takie obowiązują już we Francji, Belgii i Luksemburgu; przyznają one osobom, które przebyły chorobę nowotworową, prawo do niezgłaszania tej choroby po 10 latach od zakończenia aktywnego leczenia, a po 5 latach, jeśli zapadły na nią przed ukończeniem 18 roku życia⁵³⁵. Europejskie środowisko zajmujące się chorobami nowotworowymi uważa szersze wdrożenie „prawa do bycia zapomnianym” w krajach europejskich za priorytet. Odzwierciedla to szereg inicjatyw zainteresowanych stron, w tym w rezolucja Europejskiej Organizacji do Walki z Rakiem z 2018 r. w sprawie rozwiązania problemu dyskryminacji finansowej osób, które przebyły chorobę nowotworową. Treść tej rezolucji uzgodniło, po konsultacjach społecznych, 400 czołowych przedstawicieli pracowników służby zdrowia, pacjentów, środowisk badawczych i innych zainteresowanych stron; docelowy termin realizacji rezolucji wyznaczono na rok 2025⁵³⁶.

⁵³⁰ Włoski dekret z mocą ustawy nr 276/2003, art. 46, zmieniający dekret z mocą ustawy nr 61/2000, art. 12 bis.

⁵³¹ Brytyjska ustawa o równości z 2010 r. (UK Equality Act 2010).

⁵³² Albrecht T., Borrás Andrés J.M., Dalmás M. i in., Survivorship and rehabilitation: policy recommendations for quality improvement in cancer survivorship and rehabilitation in EU Member States w: Albrecht T., Kiasuwa R, Van den Bulcke M. European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem (rozdział 7); 2017 r.

⁵³³ Dokument przedstawiający stanowisko Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem (ECL) w sprawie „Europejskiego planu walki z rakiem”: https://www.europeanleague.org/wp-content/uploads/ECL-Vision-EU-Beating-Cancer-Plan_Final.pdf

⁵³⁴ Davenport L. „Economic Discrimination of Cancer Survivors Hampers Recovery”, Medscape, 6 marca 2018 r.: <https://www.medscape.com/viewarticle/893456> (dostęp: kwiecień 2020 r.).

⁵³⁵ Nota faktograficzna na temat „prawa do bycia zapomnianym” na stronie internetowej Europejskiej Koalicji Pacjentów z Chorobami Nowotworowymi (ECPC): <https://ecpc.org/policy/the-right-to-be-forgotten-a-new-research-project/> (dostęp: kwiecień 2020 r.).

⁵³⁶ Rezolucja Europejskiego Szczytu Walki z Rakiem ECCO 2018 w sprawie sytuacji osób, które przebyły chorobę nowotworową, i dyskryminacji finansowej: <https://www.european-cancer.org/resources/115:resolution-survivorship-financial-discrimination.html> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

Zalecenie: Zaspokojenie pilnych potrzeb osób, które przebyły chorobę nowotworową w UE

Europejski plan walki z rakiem powinien zmierzać do tego, by każdy pacjent w Europie po zakończeniu leczenia otrzymywał plan opieki po przebyciu choroby nowotworowej.

Misja UE na rzecz walki z rakiem powinna wspierać badania nad przeżyciem, aby lepiej zrozumieć podstawy kliniczne problemów, z jakimi borykają się osoby po przebyciu choroby nowotworowej, ocenić korzyści z otrzymywanych świadczeń oraz wskazać czynniki warunkujące nierówności związane z przeżyciem choroby nowotworowej.

Europejski plan walki z rakiem powinien również obejmować cel przyznanie osobom, które przebyły chorobę nowotworową, prawa do niezgłaszania choroby nowotworowej we wioskach o dostęp do usług finansowych, takich jak kredyty hipoteczne, pożyczki i ubezpieczenia. W kilku krajach UE funkcjonuje już takie „prawo do bycia zapomnianym”.

Europejską Agencję Bezpieczeństwa i Zdrowia w Pracy (OSHA) należy upoważnić do odgrywania większej roli w propagowaniu dobrych praktyk w państwach członkowskich UE pod względem integracji zawodowej pacjentów chorych na raka i osób, które przebyły chorobę nowotworową, oraz ochrony tych osób przed dyskryminacją w miejscu pracy.

3.2.3. Wymogi przekrojowe dotyczące zapewnienia wysokiej jakości opieki nad osobami z chorobą nowotworową

Poza wymienionymi wyżej wyzwaniem specyficznymi dla poszczególnych dyscyplin w świadczeniu opieki nad chorymi na raka występują również przekrojowe potrzeby w zakresie zasobów ludzkich, organizacji opieki, dostosowania do innowacji, walki z nierównościami i upodmiotowienia pacjentów.

a. Zapewnienie wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka przez wysokiej jakości pracowników w wysokiej jakości obiektach infrastruktury zdrowotnej

i. Kluczowa rola wielodyscyplinarnych zespołów w opiece nad chorymi na raka

Zapewnienie opieki nad chorymi na raka przez wielodyscyplinarny zespół, składający się ze wszystkich pracowników medycznych zajmujących się danym pacjentem, uznaje się za jeden z podstawowych wymogów organizacji wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka. Z danych wynika jednoznacznie, że opieka zapewniana przez wielodyscyplinarne zespoły daje lepsze wyniki u pacjentów^{537, 538, 539, 540}.

W ujęciu szczegółowym strategii leczenia dla wszystkich pacjentów należy ustalać, planować i realizować na podstawie uzgodnień w podstawowym zespole wielodyscyplinarnym, złożonym z wyspecjalizowanych pracowników służby zdrowia najodpowiedniejszych dla danej diagnozy i stadium choroby, charakterystyki i preferencji pacjenta, oraz na podstawie wkładu szerokiej społeczności pracowników służby zdrowia. Proces decyzyjny zazwyczaj bazuje na cotygodniowych,

⁵³⁷ Selby P., Popescu R., Lawler M. i in., The Value and Future Developments of Multidisciplinary Team Cancer Care. Am Soc Clin Oncol Educ Book, 2019 r.; 39: s. 332–340.

⁵³⁸ Zob. Podstawowe wymogi dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka opublikowane przez Europejską Organizację ds. Raka: <https://www.europeanccancer.org/2-content/8-ergcc> (dostęp: maj 2020 r.).

⁵³⁹ Biganzoli L., Cardoso F., Beishon M. i in., The Requirements of a Specialist Breast Centre. Breast, czerwiec 2020 r.; 51: s. 65–84.

⁵⁴⁰ Prades J., Remue E., Van Hoof E. i in., Is it worth re-organising cancer services on the basis of multidisciplinary teams (MDTs)? A systematic review of the objectives and organisation of MDTs and their impact on patient outcomes. Health Pol., 2015 r.; 119(4): 464e74.

a nawet częstszych spotkaniach zespołu wielodyscyplinarnego, na którym omawia się poszczególne przypadki, by wyważyć zalecenia z wytycznych klinicznych z „realiami” danego pacjenta^{541,542}.

W skład podstawowych zespołów wielodyscyplinarnych wchodzi zazwyczaj specjaliści z zakresu różnych metod leczenia nowotworów (**chirurdzy onkologiczni, radioonkolodzy, lekarze onkolodzy, radiolodzy interwencyjni**), a także **radiolodzy, patolodzy** oraz **pielęgniarki onkologiczne**^{543,544}. W zależności od rodzaju nowotworu i ścieżki opieki nad pacjentem do podstawowych zespołów wielodyscyplinarnych można także powoływać dodatkowych specjalistów, takich jak urolodzy (w przypadku raka prostaty⁵⁴⁵), dermatolodzy (w przypadku czerniaka skóry⁵⁴⁶), okuliści (w przypadku czerniaka oka⁵⁴⁷), gastroenterolodzy i endoskopiści (w przypadku raka jelita grubego⁵⁴⁸) lub specjaliści ds. żywienia (w przypadku raka przełyku i żołądka⁵⁴⁹).

Podstawowy zespół wielodyscyplinarny w szczególności omawia przypadki:

- wszystkich nowych pacjentów po postawieniu diagnozy i ocenie stopnia zaawansowania nowotworu w celu ustaleniu optymalnego leczenia;
- pacjentów po poważnych zabiegach w celu podjęcia decyzji o dalszym leczeniu i katamnezie;
- pacjentów z nawrotem podczas katamnezy w celu podjęcia decyzji o optymalnej terapii^{550,551}.

Rozbudowane zespoły wielodyscyplinarne, których członkowie nie muszą brać udziału w każdym spotkaniu, ale pełnią istotne funkcje w opiece nad pacjentem, a z ich fachowej wiedzy należy korzystać w razie potrzeby, składają się z pracowników służby zdrowia z szeregu dyscyplin, takich jak medycyna nuklearna, anestezjologia i intensywne opiece, farmacja onkologiczna, onkologia geriatryczna, opieka psychoonkologiczna, psychoterapia, opieka paliatywna, rehabilitacja seksualna, neuroonkologia, chirurgia plastyczna, wsparcie w samoocenie, genetyka kliniczna i profilaktyka^{552,553}.

ii. *Ośrodki kompleksowego leczenia nowotworów: kluczowe cechy i uzasadnienie*

Oprócz zapewnienia opieki przez zespoły wielodyscyplinarne **kluczową rolę pełnią instytucje wyspecjalizowane w leczeniu nowotworów**, w tym przede wszystkim **ośrodki kompleksowego leczenia nowotworów, gdzie opiekę nad pacjentem łączy się z edukacją i działalnością**

⁵⁴¹ Zob. podstawowe wymogi dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka opublikowane przez Europejską Organizację ds. Raka, aby zapoznać się z pełniejszym opisem wszystkich takich elementów: <https://www.european-cancer.org/2-content/8-ergcc>.

⁵⁴² Biganzoli L., Cardoso F., Beishon M. i in., The Requirements of a Specialist Breast Centre. Breast, czerwiec 2020 r.; 51: s. 65–84.

⁵⁴³ Zob. podstawowe wymogi dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka opublikowane przez Europejską Organizację ds. Raka: <https://www.european-cancer.org/2-content/8-ergcc> (dostęp: maj 2020 r.).

⁵⁴⁴ Biganzoli L., Cardoso F., Beishon M. i in., The Requirements of a Specialist Breast Centre. Breast, czerwiec 2020 r.; 51: s. 65–84.

⁵⁴⁵ Brausi M., Hoskin P., Andritsch E. i in., Podstawowe wymogi dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka Europejskiej Organizacji ds. Raka: Prostate cancer. Crit Rev Oncol Hematol., kwiecień 2020 r.; 148: 102861.

⁵⁴⁶ Wouters M.W., Michielin O., Bastiaannet E. i in., Podstawowe wymogi dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka Europejskiej Organizacji ds. Raka: Melanoma. Crit Rev Oncol Hematol., luty 2018 r.; 122: s. 164–178.

⁵⁴⁷ Wouters M.W., Michielin O., Bastiaannet E. i in., Podstawowe wymogi dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka Europejskiej Organizacji ds. Raka: Melanoma. Crit Rev Oncol Hematol., luty 2018 r.; 122: s. 164–178.

⁵⁴⁸ Beets G., Sebag-Montefiore D., Andritsch E. i in., Kluczowe wymogi ECCO dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka: Rak jelita grubego. Przegląd krytyczny. Crit Rev Oncol Hematol., luty 2017 r.; 110: s. 81–93.

⁵⁴⁹ Allum W., Lordick F., Alsina M. i in., Podstawowe wymogi dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka Europejskiej Organizacji ds. Raka: Oesophageal and gastric cancer. Crit Rev Oncol Hematol., luty 2018 r.; 122: s. 179–193.

⁵⁵⁰ Zob. podstawowe wymogi dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka opublikowane przez Europejską Organizację ds. Raka: <https://www.european-cancer.org/2-content/8-ergcc> (dostęp: maj 2020 r.).

⁵⁵¹ Biganzoli L., Cardoso F., Beishon M. i in., The Requirements of a Specialist Breast Centre. Breast, czerwiec 2020 r.; 51: s. 65–84.

⁵⁵² Zob. podstawowe wymogi dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka Europejską Organizację ds. Raka: <https://www.european-cancer.org/2-content/8-ergcc> (dostęp: maj 2020 r.).

⁵⁵³ Biganzoli L., Cardoso F., Beishon M. i in., The Requirements of a Specialist Breast Centre. Breast, czerwiec 2020 r.; 51: s. 65–84.

badawczą^{554,555}. Należy podkreślić, że dobrze udokumentowano **wyższą jakość ośrodków kompleksowego leczenia nowotworów pod względem wyników leczenia**^{556,557,558}. Ostatnie badania pokazują też, że instytucje prowadzące działalność badawczą osiągają lepsze wyniki nie tylko u pacjentów uczestniczących w projektach badawczych, ale u wszystkich pacjentów leczonych w danej instytucji^{559,560,561}. Ośrodki te są mogą zatem zapewniać wysokiej jakości wielodyscyplinarną opiekę nad chorymi na raka w całej UE i eliminować tym samym nierówności geograficzne we wskaźnikach przeżywalności osób z chorobami nowotworowymi⁵⁶².

Mimo braku ujednoliconej i szeroko stosowanej definicji ośrodka kompleksowego leczenia nowotworów można wyszczególnić typowe cechy tych placówek:

- skupienie wykwalifikowanego personelu onkologicznego w jednym miejscu;
- wystarczająco duża liczba pacjentów, aby uzyskać korzyści skali;
- odpowiednia liczba pacjentów z mniej powszechnymi nowotworami, wymagającymi specjalistycznej wiedzy;
- stała możliwość informowania na bieżąco całego personelu;
- zdolność projektowania i prowadzenia badań klinicznych;
- wiedza specjalistyczna w zakresie epidemiologii, onkologii i badań nad rakiem w szeregu dziedzin;
- infrastruktura zarządzania danymi^{563,564,565}.

iii. Poza ośrodkami kompleksowego leczenia nowotworów: rozwój specjalistycznych ośrodków i jednostek pomocy chorym na raka

Ze względu na wzrost obciążenia chorobami nowotworowymi w UE, jak również coraz szerszą wiedzę o wielu rodzajach nowotworów, z których każdy ma odmienne implikacje kliniczne i wymaga

⁵⁵⁴ Albrecht T., Amati C., Angelastro A. i in., Integrated cancer control: the case for comprehensive cancer care networks (CCCN) w: Albrecht T., Kiasuwa R., Van den Bulcke M., European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem (rozdział 5); 2017 r.

⁵⁵⁵ Zob. definicja ośrodka kompleksowego leczenia nowotworów opracowana przez amerykański Narodowy Instytut Walki z Rakiem (US National Cancer Institute), w której głównym kryterium jest prowadzenie badań nad nowotworami: <https://www.cancer.gov/publications/dictionaries/cancer-terms/def/comprehensive-cancer-center> (dostęp: maj 2020 r.).

⁵⁵⁶ Albrecht T., Amati C., Angelastro A. i in., Integrated cancer control: the case for comprehensive cancer care networks (CCCN) w: Albrecht T., Kiasuwa R., Van den Bulcke M., European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem (rozdział 5); 2017 r.

⁵⁵⁷ Selby P., Gillis C., Haward R., Benefits from specialised cancer care. Lancet, 3 sierpnia 1996 r.; 348(9023): s. 8–313.

⁵⁵⁸ Stead M., Cameron D., Lester N. i in., Strengthening clinical cancer research in the United Kingdom. Br J Cancer, 10 maja 2011 r.; 104(10): s. 34–1529.

⁵⁵⁹ Selby P., Liu L., Downing A. i in., How can clinical research improve European health outcomes in cancer? J Cancer Policy, 2019 r.; 20: 100182, s. 1-6.

⁵⁶⁰ Beets G., Sebag-Montefiore D., Andritsch E. Kluczowe wymogi ECCO dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka: Rak jelita grubego. Przegląd krytyczny. Crit Rev Oncol Hematol, luty 2017 r.; 110: s. 81–93.

⁵⁶¹ Downing A., Morris E.J., Corrigan N. i in., 2016 r. High hospital research participation and improved colorectal cancer survival outcomes: a population-based study. Gut, styczeń 2017 r.; 66(1): s. 89–96.

⁵⁶² Philip T., Karjalainen S., De Lorenzo F. i in., What could be a cancer mission objective if we join our forces in the fight against cancer? Tumori. grudzień 2019 r.; 105(6): s. 447–455.

⁵⁶³ Albrecht T., Amati C., Angelastro A. i in., Integrated cancer control: the case for comprehensive cancer care networks (CCCN) w: Albrecht T., Kiasuwa R., Van den Bulcke M., European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem (rozdział 5); 2017 r.

⁵⁶⁴ Selby P., Gillis C., Haward R., Benefits from specialised cancer care. Lancet, 3 sierpnia 1996 r.; 348(9023): s. 8–313.

⁵⁶⁵ Stead M., Cameron D., Lester N. i in., Strengthening clinical cancer research in the United Kingdom. Br J Cancer, 10 maja 2011 r.; 104(10): s. 34–1529.

od zespołów wielodyscyplinarnych specjalistycznej wiedzy umożliwiającą optymalne leczenie i opiekę, coraz większy nacisk kładzie się na **konieczność dalszej specjalizacji instytucji zajmujących się leczeniem nowotworów**.

Poszczególne kraje skupiały dotąd wiedzę ekspercką o niektórych typach nowotworów w specjalnych ośrodkach lub jednostkach, np. placówkach ds. nowotworów dziecięcych i rzadkich, a wszystkie ośrodki kompleksowego leczenia nowotworów mają własne zespoły ds. głównych typów nowotworów. W przypadku często spotykanych nowotworów u dorosłych na poziomie europejskim podjęto jednak intensywne starania o utworzenie uniwersalnych, wyspecjalizowanych jednostek zajmujących się wyłącznie nowotworami piersi, w związku z kilkoma deklaracjami europejskimi, w których wyznaczono rok 2016 jako termin zapewnienia wszystkim kobietom i mężczyznom chorym na raka piersi opieki w **specjalistycznych ośrodkach wielodyscyplinarnych**^{566,567}. Chociaż celu tego nie osiągnięto⁵⁶⁸, **eksperci apelują o wprowadzenie w systemach opieki zdrowotnej zasad takiej specjalistycznej opieki nad chorymi na wszystkie rodzaje nowotworów**^{569,570}.

iv. Znormalizowana jakość opieki nad chorymi na raka dzięki wytycznym, normom jakości i systemom certyfikacji

Wobec braku środków regulacyjnych podających obowiązkową definicję ośrodków kompleksowego leczenia nowotworów i specjalistycznych ośrodków pomocy chorym na raka to **normy i systemy certyfikacji mają kluczowe znaczenie dla odpowiedniego oznaczenia takich ośrodków, zapewnienia jakości i jej stałej poprawy**. Grupy ekspertów opracowały w tym zakresie szereg programów na poziomie europejskim:

- Program Akredytacji i Wyznaczania prowadzony przez Organizację Europejskich Instytutów Onkologicznych (OEI) na podstawie standardów OEI dotyczących wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka⁵⁷¹;
- System certyfikacji Ośrodków Leczenia Nowotworów Piersi, funkcjonował⁵⁷² w oparciu o wytyczne dotyczące wymagań wobec specjalistycznych ośrodków leczenia nowotworów piersi opracowane przez Europejskie Stowarzyszenie Specjalistów ds. Nowotworów Piersi (EUSOMA)⁵⁷³.

Oprócz wskazania ośrodków kompleksowego leczenia nowotworów i specjalistycznych ośrodków pomocy chorym na raka **zapewnienie pacjentom równego dostępu do wysokiej jakości opieki w całej UE wymaga również normalizacji i oceny specjalistycznych usług świadczonych w takich placówkach**. Wśród dodatkowych międzynarodowych lub europejskich norm i systemów certyfikacji w tym zakresie można wymienić:

⁵⁶⁶ Parlament Europejski. Rezolucja w sprawie raka piersi w rozszerzonej Unii Europejskiej 18 października 2006 r., <http://bit.ly/1XTOWTu>; 2006 r.

⁵⁶⁷ Parlament Europejski. Oświadczenie pisemne złożone w sprawie walki z rakiem piersi w Unii Europejskiej. 27 kwietnia 2015 r., <http://bit.ly/1zS6aHB>.

⁵⁶⁸ Cardoso F., Cataliotti L., Costa A. i in., Europejski manifest konferencji na temat raka piersi na temat ośrodków/jednostek leczenia raka piersi. Eur J Cancer, luty 2017 r.; 72: s. 244–250.

⁵⁶⁹ Zob. podstawowe wymogi dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka opublikowane przez Europejską Organizację ds. Raka: <https://www.european-cancer.org/2-content/8-ergcc> (dostęp: maj 2020 r.).

⁵⁷⁰ Biganzoli L., Cardoso F., Beishon M. i in., The Requirements of a Specialist Breast Centre. Breast, czerwiec 2020 r.; 51: s. 65–84.

⁵⁷¹ Zob. zakładka dotycząca Programu Akredytacji i Wyznaczania na stronie internetowej OEI: <https://oei.eu/Accreditation/> (dostęp: maj 2020 r.)

⁵⁷² Zob. strona internetowa programu certyfikacji Ośrodków Leczenia Nowotworów Piersi: <https://www.breastcentrescertification.com/> (dostęp: maj 2020 r.).

⁵⁷³ Biganzoli L., Cardoso F., Beishon M. i in., The Requirements of a Specialist Breast Centre. Breast, czerwiec 2020 r.; 51: s. 65–84.

- centra doskonałości w leczeniu wspomagającym w chorobach nowotworowych powołane przez Międzynarodowe Towarzystwo Leczenia Wspomagającego w Onkologii (MASCC)⁵⁷⁴;
- Międzynarodowy System Akredytacji Świadczeń w zakresie Onkologii Interwencyjnej opracowywany obecnie przez Europejskie Towarzystwo Radiologii Interwencyjnej i Sercowo-Naczyniowej (CIRSE)⁵⁷⁵ na podstawie norm CIRSE dotyczących zapewniania jakości w onkologii interwencyjnej⁵⁷⁶;
- wytyczne Europejskiego Stowarzyszenia Medycyny Nuklearnej (EANM) dotyczące procedury obrazowania nowotworów metodą pozytonowej tomografii emisyjnej (PET)⁵⁷⁷;
- Międzynarodową Normę Jakości w zakresie Opieki nad Chorymi na Raka Międzynarodowego Towarzystwa Wsparcia Psychoonkologicznego (IPOS)⁵⁷⁸;
- normy Międzynarodowej Organizacji Normalizacyjnej (ISO), o szerokim zakresie zastosowań w zapewnianiu wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka, np. w odniesieniu do obrazowania cyfrowego czy do wyrobów medycznych⁵⁷⁹.

Zapewnienie wysokiej jakości opieki nad pacjentami chorymi na raka wymaga również **ujednoczenia organizacji opieki w ujęciu całościowym, zgodnie z najnowszymi dostępnymi danymi naukowymi**. Grupy ekspertów opracowały zatem również wytyczne organizacyjne na poziomie europejskim, określające kluczowe cechy ścieżki opieki, takie jak skład zespołu wielodyscyplinarnego i role jego członków, dla różnych typów nowotworów lub grup pacjentów. Wytyczne te obejmują:

- podstawowe wymogi dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka (ERQCC)⁵⁸⁰ opublikowane przez Europejską Organizację ds. Raka w odniesieniu do mięsaka⁵⁸¹, raka jelita grubego⁵⁸², raka przełyku i żołądka⁵⁸³, czerniaka⁵⁸⁴, raka piersi⁵⁸⁵ i raka prostaty⁵⁸⁶; obecnie opracowywane są wymogi w odniesieniu do raka płuc, raka trzustki i glejaka;

⁵⁷⁴ Zob. zakładka poświęcona centrom doskonałości w zakresie leczenia wspomagającego w chorobach nowotworowych na stronie internetowej MASCC: <https://www.mascc.org/centers-of-excellence-in-supportive-care-in-cancer-policy> (dostęp: maj 2020 r.).

⁵⁷⁵ Zob. normy zapewniania jakości w onkologii interwencyjnej opublikowane przez CIRSE: https://www.cirse.org/wp-content/uploads/2020/01/IASIOS_quality_standards_in_IO_2019_V2_web.pdf (dostęp: maj 2020 r.).

⁵⁷⁶ Zob. strona internetowa Międzynarodowego Systemu Akredytacji Świadczeń w zakresie Onkologii Interwencyjnej: <https://www.iasios.org/> (dostęp: maj 2020 r.).

⁵⁷⁷ Boellard R., Delgado-Bolton R., Oyen W. i in., FDG PET/CT: Wytyczne proceduralne EANM dotyczące obrazowania nowotworów: wersja 2.0. Eur J Nucl Med Mol Imaging, luty 2015 r.; 42(2): s. 54–328.

⁵⁷⁸ Zob. zakładka poświęcona Międzynarodowej Normie Jakości w zakresie Opieki nad Chorymi na Raka na stronie internetowej IPOS: <https://www.ipos-society.org/about/quality> (dostęp: maj 2020 r.).

⁵⁷⁹ Zob. sprawozdanie „ISO and Health” Międzynarodowej Organizacji Normalizacyjnej: <https://www.iso.org/files/live/sites/iso.org/files/store/en/PUB100343.pdf> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

⁵⁸⁰ Zob. podstawowe wymogi dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka opublikowane przez Europejską Organizację ds. Raka: <https://www.european-cancer.org/2-content/8-ergcc> (dostęp: maj 2020 r.).

⁵⁸¹ Andritsch E., Beischon M., Bielsack S. i in., Kluczowe wymogi ECCO dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka: Mięsak tkanek miękkich u dorosłych i mięsak kości. Przegląd krytyczny. Crit Rev Oncol Hematol., luty 2017 r.; 110: s. 94–105.

⁵⁸² Beets G., Sebag-Montefiore D., Andritsch E. i in., Kluczowe wymogi ECCO dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka: Rak jelita grubego. Przegląd krytyczny. Crit Rev Oncol Hematol., luty 2017 r.; 110: s. 81–93.

⁵⁸³ Allum W., Lordick F., Alsina M. i in., Podstawowe wymogi dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka Europejskiej Organizacji ds. Raka: Oesophageal and gastric cancer. Crit Rev Oncol Hematol., luty 2018 r.; 122: s. 179–193.

⁵⁸⁴ Wouters M.W., Michielin O., Bastiaannet E. i in., Podstawowe wymogi dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka Europejskiej Organizacji ds. Raka: czerniak. Crit Rev Oncol Hematol., luty 2018 r.; 122: s. 164–178.

⁵⁸⁵ Zob. zakładka poświęcona centrom doskonałości w zakresie leczenia wspomagającego w chorobach nowotworowych na stronie internetowej MASCC: <https://www.mascc.org/centers-of-excellence-in-supportive-care-in-cancer-policy> (dostęp: maj 2020 r.).

⁵⁸⁶ Brausi M., Hoskin P., Andritsch E. i in., Podstawowe wymogi dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka Europejskiej Organizacji ds. Raka: rak gruczołu krokowego. Crit Rev Oncol Hematol., kwiecień 2020 r.; 148: 102861.

- wytyczne Europejskiego Towarzystwa Urologicznego (EAU) dotyczące leczenia nowotworów dróg moczowych⁵⁸⁷;
- wytyczne europejskiej grupy ds. nowotworów dziedzicznych (EHTG) dotyczące postępowania w przypadku dziedzicznych zespołów nowotworowych⁵⁸⁸;
- wytyczne Europejskiego Towarzystwa Onkologii Ginekologicznej (ESGO) i wskaźniki jakości w leczeniu nowotworów ginekologicznych⁵⁸⁹;
- normy opieki nad dziećmi z chorobami nowotworowym Europejskiego Towarzystwa Onkologii Pediatricznej (SIOP Europe)⁵⁹⁰;
- wytyczne Międzynarodowego Towarzystwa Onkologii Geriatrycznej (SIOG) dotyczące zapewnienia opieki nad pacjentami onkologicznymi w podeszłym wieku⁵⁹¹.

v. *Zmniejszanie dystansu między specjalistami a pacjentami: rola sieci współpracy*

Pomimo wymienionych dowodów i inicjatyw na rzecz leczenia w instytucjach specjalizujących się w opiece nad chorymi na raka, takich jak ośrodki kompleksowego leczenia nowotworów i specjalistyczne ośrodki i jednostki pomocy chorym na raka, **wielu pacjentów z chorobami nowotworowymi w UE nadal leczy się w szpitalach ogólnych**. Niejednokrotnie oznacza to **nierówności terytorialne w dostępie do wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka**. Jak wykazały badania, istotnym czynnikiem uniemożliwiającym podjęcie leczenia w ośrodkach kompleksowego leczenia nowotworów jest odległość.

W ostatnich latach coraz większą uwagę poświęca się możliwościom, jakie oferują **sieci kontaktów w dziedzinie leczenia chorób nowotworowych, łączących odległych fizycznie wielodyscyplinarnych ekspertów, a także działaniom edukacyjnym i badawczym**. Badanie przeprowadzone w ramach najnowszego współfinansowanego przez UE wspólnego działania w zakresie walki z rakiem (CanCon) wykazało, że **w wielu państwach UE istnieją sieci walki z rakiem** (instytucje dzielą się wiedzą specjalistyczną i zapleczem potrzebnymi do walki z rakiem), które mogą przyjmować różne konfiguracje, również dostosowane do kontekstu poszczególnych krajów. Pomimo tej różnorodności w poszczególnych regionach i krajach wspólnym celem sieci jest poprawa i integracja usług związanych z chorobami nowotworowymi, jak również badań klinicznych^{592, 593}.

By sformalizować te starania i opracować wytyczne dotyczące dalszego wdrażania takich sieci, w ramach CanCon opracowano model „**sieci kompleksowej opieki nad chorymi na raka**”. Sieci takie dawałyby większe szanse na **równy dostęp do wysokiej jakości opieki w pobliżu miejsca zamieszkania** i mogłyby **powiązać wiedzę specjalistyczną wyspecjalizowanych ośrodków przyjmujących dużą liczbę pacjentów z większą dostępnością szpitali ogólnych, pozostałych instytucji opieki zdrowotnej** (np. ośrodków obrazowania, ośrodków opieki społecznej)

⁵⁸⁷ Zob. wytyczne opublikowane przez EAU: <https://uroweb.org/individual-guidelines/oncology-guidelines/> (dostęp: maj 2020 r.).

⁵⁸⁸ Zob. wytyczne opublikowane przez EHTG: <https://ehtg.org/guidelines/> (dostęp: maj 2020 r.).

⁵⁸⁹ Zob. wytyczne opublikowane przez ESGO: <https://guidelines.esgo.org/> (dostęp: maj 2020 r.).

⁵⁹⁰ Zob. normy opieki nad dziećmi z chorobami nowotworowym opublikowane przez SIOP Europe: <https://siop.eu/european-research-and-standards/standards-of-care-in-paediatric-oncology/> (dostęp: maj 2020 r.).

⁵⁹¹ Zob. wytyczne opublikowane przez SIOG: <https://www.sioq.org/content/siog-guidelines-0> (dostęp: maj 2020 r.).

⁵⁹² Albreht T., Amati C., Angelastro A. i in., Integrated cancer control: the case for comprehensive cancer care networks (CCCN) W: Albreht T, Kiasuwa R, Van den Bulcke M. European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem (rozdział 5); 2017 r.

⁵⁹³ Stead M., Cameron D., Lester N. i in., Strengthening clinical cancer research in the United Kingdom. Br J Cancer, 10 maja 2011 r.; 104(10): s. 34–1529.

i pracowników podstawowej opieki zdrowotnej w istniejących systemach opieki zdrowotnej^{594, 595, 596}.

Sieci kompleksowej opieki nad chorymi na raka (CCCNs) określa się jako wielośrodkowe struktury pozwalające na celową i kompleksową integrację działań, pracujące pod wspólnym kierownictwem i zarządzające wszystkimi aspektami opieki nad osobami z chorobami nowotworowymi. Sieci CCCN obejmują szereg jednostek należących do różnych instytucji, zajmujących się badaniami, profilaktyką, diagnostyką, leczeniem, obserwacją, leczeniem wspierającym i opieką paliatywną oraz rehabilitacją, współdziałających na podstawie formalnej umowy o współpracy w sposób programowy i ustrukturyzowany, z jednolitymi systemami zapewniania jakości i wymiany informacji. W modelu CCCN opieka nad pacjentami jest obowiązkiem wielodyscyplinarnych i wyspecjalizowanych w konkretnych rodzajach nowotworów zespołów międzybranżowych obejmujących szpitale specjalistyczne i placówki opieki środowiskowej, współpracujących zgodnie z podejściem zorientowanym na pacjenta w celu **zapewnienia kompleksowej opieki wszystkim osobom mieszkającym na danym obszarze geograficznym**. Tworzenie takich sieci przynosi następujące dodatkowe korzyści:

- większą opłacalność opieki nad chorymi na raka dzięki połączonym zasobom, wspólnym placówkom i eliminacji powielania działań;
- łatwiejszą łączność/integrację dzięki powiązaniu wiedzy specjalistycznej poszczególnych specjalistów ze świadczeniami podstawowej opieki zdrowotnej;
- zapewnienie spójnej ścieżki opieki, nawet dla pacjentów, którzy muszą zmieniać placówki medyczne, aby skorzystać z unikalnych lub złożonych metod leczenia;
- optymalne warunki do prowadzenia badań podstawowych i translacyjnych, a także badań klinicznych i populacyjnych programów badawczych.

Z uwagi na wspomniane korzyści we wspólnym działaniu w zakresie walki z rakiem wydano zestaw zaleceń dotyczących szerszego wdrożenia kompleksowych sieci współpracy w walce z rakiem w całej UE. Co ważne, zalecenia te obejmują określenie wskaźników skuteczności i modeli oceny, a także prowadzenie pomiarów jakości i ciągłych procesów poprawy jakości⁵⁹⁷. W związku z **rolą sieci współpracy w zaspokajaniu potrzeb współczesnej onkologii potrzebne będą normy i systemy akredytacji zapewniające jakość tych sieci**, podobnie jak w przypadku opisanych powyżej ośrodków kompleksowego leczenia nowotworów i specjalistycznych ośrodków pomocy dla osób chorych na raka.

⁵⁹⁴ Albrecht T., Amati C., Angelastro A. i in., Integrated cancer control: the case for comprehensive cancer care networks (CCCN) W: Albrecht T, Kiasuwa R, Van den Bulcke M. European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem (rozdział 5); 2017 r.

⁵⁹⁵ Zob. podstawowe wymogi dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka opublikowane przez Europejską Organizację ds. Raka: <https://www.european-cancer.org/2-content/8-ergcc> (dostęp: maj 2020 r.).

⁵⁹⁶ Biganzoli L., Cardoso F., Beishon M. i in., The Requirements of a Specialist Breast Centre. *Breast*, czerwiec 2020 r.; 51: s. 65–84.

⁵⁹⁷ Albrecht T., Amati C., Angelastro A. i in. Integrated cancer control: the case for comprehensive cancer care networks (CCCN) w: Albrecht T, Kiasuwa R, Van den Bulcke M., European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control. Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem (rozdział 5); 2017 r.

Zalecenie: Wspieranie równego dostępu do wielodyscyplinarnej, wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka w UE

Organizacja opieki nad chorymi na raka sprawowanej przez zespoły wielodyscyplinarne w ośrodkach leczenia nowotworów i w powiązanych z nimi sieciach ma kluczowe znaczenie dla zapewnienia pacjentom wysokiej jakości opieki oraz dla wyeliminowania nierówności w opiece po przebyciu choroby nowotworowej i w jakości życia chorych na raka w całej Europie. UE powinna więc wspierać utworzenie co najmniej jednego ośrodka kompleksowego leczenia nowotworów w każdym państwie członkowskim (w krajach o większej liczbie ludności jeden ośrodek powinien przypadać na każde 5 mln mieszkańców), a także zalecanych specjalistycznych ośrodków pomocy dla osób chorych na raka, a wokół tych ośrodków – sieci współpracy w walce z rakiem.

Dla realizacji tych działań kluczowe znaczenie będzie miało zastosowanie najlepszych praktyk organizacyjnych i klinicznych. UE powinna więc jak najlepiej wykorzystać najnowsze normy i systemy certyfikacji opracowane przez grupy ekspertów z europejskiego środowiska zajmującego się chorobami nowotworowymi, przyjmując je w nowo utworzonym europejskim zestawie wskaźników dotyczących raka za mierniki postępu w równym dostępie do wielodyscyplinarnej i wysokiej jakości opieki.

Warto nadmienić, że obecny stan organizacji kompleksowej opieki nad chorymi na raka w UE wskazuje, iż wprowadzenie tych zaleceń w praktyce będzie wymagać znacznych interwencji politycznych i inwestycji w państwach członkowskich z Europy Środkowej i Wschodniej, a także w wielu państwach członkowskich z południa Europy.

b. Zwiększanie możliwości wykorzystania nowych technologii w opiece nad chorymi na raka: Sztuczna inteligencja i „duże zbiory danych” o zdrowiu

Rak to jedna z głównych chorób, w których można skorzystać z potencjału sztucznej inteligencji (AI) i innowacyjnych technologii. Sztuczna inteligencja i algorytmy głębokiego uczenia maszynowego mogą **wspierać specjalistów w trafnym diagnozowaniu raka** i jego rozmiarów, na przykład przez wczesne wykrywanie raka piersi, jelita grubego, płuc i mózgu. Ponadto sztuczna inteligencja może **pomóc lepiej zrozumieć tę chorobę i podejmować decyzje kliniczne** dzięki monitorowaniu postępów choroby. Szybka analiza danych umożliwiłaby szybkie postawienie zindywidualizowanej diagnozy, uwzględniającej informacje o stylu życia, dane genetyczne i tkankowe, dane patologiczne i obrazy medyczne. Możliwości analityczne rozwiązań opartych na sztucznej inteligencji **skróciłyby również czas potrzebny na postawienie diagnozy, a w konsekwencji przyspieszyłyby rozpoczęcie leczenia.**

Pomimo powszechnie uznanego potencjału sztucznej inteligencji w opiece nad chorymi na raka napotyka ona niewątpliwie bariery dotyczące interoperacyjności, norm prawnych i etycznych, zarządzania, cyberbezpieczeństwa i wymogów technicznych. Oprócz uruchomienia europejskiego planu walki z rakiem komisarz ds. zdrowia Stella Kyriakides została upoważniona do „jak najlepszego wykorzystania potencjału e-zdrowia oraz do pracy nad utworzeniem Europejskiej przestrzeni danych dotyczących zdrowia w celu upowszechniania wymiany danych na temat zdrowia i wspierania badań nad nowymi strategiami profilaktycznymi, a także nad metodami leczenia, lekami, wyrobami medycznymi i ich wynikami”⁵⁹⁸. W lutym 2020 r. Komisja Europejska przedstawiła swoje plany i działania

⁵⁹⁸ Pismo określające zadania kandydatki na komisarza Stali Kyriakides: https://ec.europa.eu/commission/sites/beta-political/files/mission-letter-stella-kyriakides_en.pdf

na rzecz rozwoju sztucznej inteligencji i gospodarki opartej na danych, w tym projekty ram regulacyjnych dotyczących sztucznej inteligencji oraz utworzenia Europejskiej przestrzeni danych dotyczących zdrowia⁵⁹⁹.

Podejmowane działania powinny **dać solidną podstawę prawną do bezpiecznego gromadzenia**, przechowywania, wymiany i wykorzystywania danych, w pełnej zgodności z normami prywatności i etyki, w **badaniach nad rakiem i opiece nad osobami z chorobami nowotworowymi**. Europejski plan walki z rakiem może lepiej wspierać transformację opieki nad chorymi na raka przez wykorzystanie sztucznej inteligencji dzięki wskazaniu działań, które poprawią dostęp do danych, infrastruktury i jakości, by zwiększyć precyzję wczesnej diagnozy i zoptymalizować leczenie. W badaniach nad rakiem kluczowymi elementami umożliwiającymi postęp w całej UE i przyciągającymi inwestycje w stosowanie sztucznej inteligencji, algorytmów i danych w opiece nad chorymi na raka są misja UE na rzecz walki z rakiem oraz przyszły program w zakresie badań naukowych i innowacji „Horyzont Europa”.

Zalecenie: Wykorzystanie sztucznej inteligencji do walki z rakiem w UE

Europejski plan walki z rakiem powinien zapewnić lepsze wsparcie transformacji opieki nad chorymi na raka w kierunku wykorzystania sztucznej inteligencji, dzięki wskazaniu działań, które poprawią dostęp do danych, infrastruktury i jakości, by zwiększyć precyzję wczesnej diagnozy i zoptymalizować leczenie.

Misję UE na rzecz walki z rakiem oraz przyszły program "Horyzont 2020" w zakresie badań naukowych i innowacji należy traktować jak kluczowe elementy stymulujące badania naukowe w UE oraz przyciągające inwestycje w stosowanie sztucznej inteligencji, algorytmów i danych w opiece nad chorymi na raka.

c. Niwelowanie nierówności i zaspokajanie potrzeb określonych populacji w opiece nad chorymi na raka

Powyższe rozdziały dotyczą nierówności geograficznych w opiece nad chorymi na raka, leczeniu i wynikach; należy też zwrócić należytą uwagę na inne znane formy możliwych nierówności i dyskryminacji.

Szczególną uwagę należy zwrócić na zagadnienia wieku chorych⁶⁰⁰. W nadchodzących latach, wraz ze starzeniem się społeczeństwa, w Europie i na świecie gwałtownie wzrośnie zachorowalność osób starszych. Około 50% wszystkich nowotworów diagnozuje się u osób powyżej 65 roku życia. Są dowody na to, że osoby starsze mogą być dyskryminowane: poświęca się im mniej uwagi i korzystają z mniej skutecznego leczenia. Zalecenia polityczne opracowane w celu sprostania tym wyzwaniom obejmują:

- włączenie onkologii geriatrycznej do programów nauczania lekarzy i pielęgniarek, w tym na studiach podyplomowych;
- włączenie oceny geriatrycznej (w tym chorób współistniejących) do decyzji i wytycznych dotyczących onkologii (wszyscy onkolodzy muszą stać się „onkologami geriatrycznymi”);
- wspieranie badań istotnych dla osób starszych; obecne badania, na przykład opracowywanie nowych leków, koncentrują się głównie na młodszych populacjach;
- rozwiązanie problemu niedoboru wyspecjalizowanych onkologów i geriatrów oraz pokrewnego personelu medycznego w zakresie onkologii geriatrycznej;

⁵⁹⁹ Komisja przedstawia strategię dotyczące danych i sztucznej inteligencji: https://ec.europa.eu/commission/presscorner/detail/en/ip_20_273

⁶⁰⁰ Lawler M., Selby P.J., Aapro M.S., Ageism in Cancer care. BMJ. 2014 r.; 348: g1 614.

- rozwój interdyscyplinarnych klinik onkologii geriatrycznej, zwłaszcza w placówkach akademickich i kompleksowych ośrodkach leczenia nowotworów.

(Sytuację i potrzeby polityczne w onkologii dziecięcej omówiono szczegółowo w oddzielnej sekcji niniejszego badania.)

W odniesieniu do migrantów badania wykazały większe trudności w nieznanym im systemach opieki zdrowotnej, mniejszą skłonność do udziału w programach badań przesiewowych, a także przypadki odmowy dostępu do leczenia raka.

Jeśli chodzi o kulturowe aspekty opieki nad chorymi na raka, prace Europejskiej Organizacji ds. Raka nad kampanią eliminowania nowotworów wywołanych HPV jako problemu zdrowia publicznego w Europie wskazały, że trzeba zachować szczególne względy w informowaniu o szczepieniach przeciwko HPV w niektórych wspólnotach religijnych, w których otwarta dyskusja z młodzieżą na temat seksualności może wymagać delikatności i uważności. Ponadto polityka szczepień dziewcząt, ale nie chłopców, przeciwko HPV może być formą dyskryminacji ze względu na płeć, ponieważ również u mężczyzn może rozwinąć się wiele nowotworów wywołanych HPV, np. rak penisa, odbytu i gardła. Podwyższone ryzyko zachorowania na takie nowotwory występuje u mężczyzn uprawiających seks z innymi mężczyznami, co wymaga wyczerpania na szczególne potrzeby w komunikacji i polityce antynowotworowej w społeczności lesbijek, gejów, biseksualistów i osób transpłciowych (LGBT).

3.3. Badania nad rakiem: opracowywanie nowych metod leczenia i podnoszenie standardów opieki nad chorymi

KLUCZOWE WNIOSKI I ZALECENIA: BADANIA NAD NOWOTWORAMI

Badania nad rakiem oraz ich przełożenie na codzienną praktykę kliniczną mają zasadnicze znaczenie dla stałej poprawy profilaktyki, diagnozy, leczenia i katamnezy.

Misja UE na rzecz walki z rakiem oraz przyszły program w zakresie badań naukowych i innowacji „Horyzont Europa” to wyjątkowa szansa, bykładając nacisk na walkę z rakiem, UE ponownie uznała badania nad nowotworami za jeden ze swoich priorytetów. Tej szansy nie wolno zmarnować.

Misji UE na rzecz walki z rakiem powinna zatem towarzyszyć zdecydowana długoterminowa wizja badań nad rakiem w Europie.

W tej wizji należy wskazać: jak UE może przyspieszyć przełożenie badań nad rakiem na poprawę w praktyce; jak zlikwidować nierówności w badaniach naukowych w Europie; jak zacieśnienie i zwiększenie skuteczności współpracy w zakresie danych w Europie może ożywić i przyspieszyć badania nad rakiem. W takiej wizji należy również wyjaśnić i określić rolę, jaką w urzeczywistnianiu nowej ery europejskich badań nad rakiem mają do odegrania takie inicjatywy jak europejska przestrzeń danych dotyczących zdrowia, Europejski system informacji o raku, europejska sieć rejestrów chorób nowotworowych, europejskie sieci referencyjne oraz proponowany europejski zestaw wskaźników dotyczących raka.

Podstawową ideą dla rozwoju badań w Europie – z przełożeniem na praktyczne zastosowania i w nawiązaniu do spraw omówionych w sekcji 3.2 niniejszego badania, poświęconej organizacji opieki nad chorymi na raka – jest możliwość szerszego wykorzystania Kompleksowej sieci opieki nad chorymi na raka (Comprehensive Cancer Care Network – CCCN) nie tylko do poprawy opieki nad chorymi, ale także do popularyzacji Europejskiej sieci praktycznych badań nad rakiem.

Prowadzenie badań klinicznych nad rakiem można poprawić na różne sposoby, zwłaszcza w nowej strategii farmaceutycznej UE, europejskim planie walki z rakiem, misji UE na rzecz walki

z rakiem oraz programie finansowania, tj. programie UE dla zdrowia. W tej sekcji zwrócono uwagę na takie kwestie jak m.in.:

- zalecane metody poszerzania zakresu badań nad **optymalizacją leczenia**;
- zwiększanie możliwości prowadzenia badań nad **repozycjonowaniem leków**;
- dodatkowe wsparcie dla **badania nad niesystemowym (miejscowym) leczeniem nowotworów**: operacji chirurgicznych, radioterapii i onkologii interwencyjnej.

W Europie zaczyna się nowa era w badaniach nad leczeniem nowotworów, dlatego zachęca się do dalszego rozwoju regulacji, by skorzystać ze **środków bazujących na wynikach, które zgłaszają pacjenci**.

Powszechnie zgłaszane skargi społeczności naukowej zajmującej się badaniami nad rakiem dotyczące wpływu ogólnego rozporządzenia o ochronie danych (RODO) na prowadzenie badań należy potraktować poważnie, podejmując analizę skutków rozporządzenia i otwarcie podchodząc do zaleceń dotyczących zmian w rozporządzeniu.

Należy kontynuować i przyspieszyć prace Wspólnego Centrum Badawczego Komisji Europejskiej nad harmonizacją rejestrów nowotworów w Europie i podnoszeniem standardów.

Należy też zdecydowanie rozważyć zmianę dyrektywy w sprawie transgranicznej opieki zdrowotnej, aby pomóc zapewnić pacjentom lepszy dostęp do badań klinicznych w poszczególnych krajach. Należy w tym względzie kierować się nadrzędną zasadą prowadzenia badań blisko miejsca zamieszkania pacjenta, by w miarę możliwości unikać konieczności dojazdów pacjenta do miejsca badania.

3.3.1. Aktualna sytuacja i przekrojowe wyzwania w dziedzinie badań nad rakiem

Badania nad rakiem oraz ich przełożenie na codzienną praktykę kliniczną mają zasadnicze znaczenie dla stałej poprawy profilaktyki, diagnostyki, leczenia i katamnezy.

Misja UE na rzecz walki z rakiem oraz przyszły program w zakresie badań naukowych i innowacji „Horyzont Europa” to wyjątkowa szansa, aby akcentując walkę z rakiem, UE ponownie uznała badania nad nowotworami za jeden ze swoich priorytetów. Tej szansy nie wolno zmarnować.

Misja UE na rzecz walki z rakiem i europejski plan walki z rakiem do pewnego stopnia pokrywają się z dalekosięznymi amerykańskimi programami „Cancer Moonshot”⁶⁰¹. Służą one opracowaniu wizji badań biomedycznych, które przyniosą lepsze wyniki u chorych na raka. **W Europie występują istotne nierówności w badaniach nad rakiem i innowacyjności, co prowadzi do znacznych różnic w wynikach, zarówno między krajami europejskimi, jak i w ich obrębie**^{602,603}. Najbardziej uderza w tych dysproporcjach nierówny rozkład badań nad nowotworami w Europie⁶⁰⁴, zwłaszcza w Europie Środkowej i Wschodniej⁶⁰⁵.

⁶⁰¹ Lowy D.R., Singer D.S., Implementing the Cancer Moonshot and beyond. *Lancet Oncol.*, 2017 r.; 18: e622-e623.

⁶⁰² Lawler M., Le Chevalier T., Banks I. i in., European Cancer Concord (ECC). Karta praw pacjentów chorych na raka w Europie (A Bill of Rights for patients with cancer in Europe). *Lancet Oncol.*, 2014 r.; 15: s. 60–258.

⁶⁰³ Aapro M., Astier A., Audisio R. i in., Określanie kluczowych działań w kierunku poprawy dostępu do innowacji w opiece nad chorymi na raka: stanowisko Europejskiej Organizacji ds. Raka. *Eur J Cancer*, 2017 r.; 82: s. 193–202.

⁶⁰⁴ Begum M., Lewison G., Lawler M. i in., Mapping the European cancer research landscape: An evidence base for national and Pan-European research and funding. *Eur J Cancer*, 2018 r.; 100: s. 75–84.

⁶⁰⁵ Begum M., Lewison G., Jassem J. i in., Mapping cancer research across Central and Eastern Europe, the Russian Federation and Central Asia: Implications for future national cancer control planning. *Eur J Cancer*, 2018 r.; 104: s. 127–136.

Skłoniło to europejskich naukowców do zaproponowania oddolnego podejścia do walki z rakiem „European Cancer Groundshot”⁶⁰⁶, aby uzyskać empiryczne dowody, które pozwolą precyzyjnie wskazać zarówno znaczące nierówności, jak i niedostaki badawcze istotne dla Europy. Może to pomóc w opracowaniu planu działań w zakresie badań i innowacji, by powstał ukierunkowany na pacjenta europejski program badań i leczenia nowotworów. W inicjatywie Groundshot podjęto głównie wyzwania występujące w krajach Europy Środkowej i Wschodniej.

Zalecenie: Wizja UE w zakresie badań nad rakiem

Misji UE na rzecz walki z rakiem powinna towarzyszyć zdecydowana długoterminowa wizja badań nad rakiem w Europie

W tej wizji badań nad rakiem należy wskazać: jak UE może przyspieszyć przełożenie badań nad rakiem na poprawę w praktyce; jak można zlikwidować nierówności w badaniach naukowych w Europie; jak zacieśnienie i zwiększenie skuteczności współpracy w zakresie danych w Europie może zdynamizować i przyspieszyć badania nad rakiem.

W takiej wizji należy również wyjaśnić i określić rolę, jaką w urzeczywistnieniu nowej ery europejskich badań nad chorobami nowotworowymi mają do odegrania takie inicjatywy, jak europejska przestrzeń danych dotyczących zdrowia, europejski system informacji o raku, europejska sieć rejestrów chorób nowotworowych, europejskie sieci referencyjne oraz proponowany europejski zestaw wskaźników dotyczących raka.

3.3.2. Komponenty badań nad rakiem: konkretne szanse i wyzwania

Należy zrozumieć, że badania nad rakiem obejmują szeroki zakres działań o bardzo różnym charakterze. Można je podzielić na trzy kategorie: badania podstawowe, translatorskie i kliniczne.

a. Podstawowe badania nad rakiem

Podstawowe badania nad rakiem mają poprawić zrozumienie komórkowych, molekularnych, genetycznych, biochemicznych i immunologicznych mechanizmów wpływających na postępy choroby, diagnozowanie i leczenie raka⁶⁰⁷. Są to przede wszystkim badania laboratoryjne prowadzone przez instytucje publiczne. **Ze względu na złożony i zróżnicowany charakter nowotworów nauki podstawowe mają krytyczne znaczenie w onkologii.**

Podstawowe badania nad nowotworami umożliwiają m.in. rozszyfrowanie procesów przesądzających o nabyciu przez normalną komórkę (lub przez grupę normalnych komórek) wszystkich cech nowotworu złośliwego, od niestabilności genomowej i przewlekłej zdolności do proliferacji do zakłócenia odpowiedzi immunologicznej, możliwości pozyskiwania składników odżywczych przez naczynia krwionośne i wtargnięcia do nowych organów organizmu przez przerzuty⁶⁰⁸. Mogą również zapewnić wgląd w mechanizmy oporu, w momencie naturalnej reakcji układu odpornościowego i zwalczania komórek nowotworowych, zanim organizm utraci możliwość kontroli nad nimi.

⁶⁰⁶ Lawler M., Naredi P., Cufer T. i in., Lancet Oncology European Groundshot Commission. Moonshot or groundshot: addressing Europe's cancer challenge through a patient-focused, data-enabled lens. Lancet Oncol., 2019 r.; 20: s. 1482–1485.

⁶⁰⁷ Prezentacja Laboratorium Badań Podstawowych Amerykańskiego Centrum Badań nad Rakiem: <https://ccr.cancer.gov/basic-research-laboratory> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

⁶⁰⁸ Zob. sekcja 1.1.1.a dotycząca „czynników pobudzających raka”, włącznie z definicją nowotworu złośliwego i opisem „wyróżników raka” 127.

W ostatnich dziesięcioleciach nastąpił spektakularny rozwój nauk podstawowych o nowotworach, w dużej mierze dzięki takim technologiom jak sekwencjonowanie DNA, co z kolei otworzyło nowe możliwości w onkologii precyzyjnej⁶⁰⁹.

Zalecenie: Wsparcie na wysokim szczeblu UE dla podstawowych badań nad rakiem

W misji UE na rzecz walki z rakiem oraz programie badań i innowacji „Horyzont Europa” należy zaakcentować wysoką rangę potrzeb w zakresie podstawowych badań nad rakiem, aby utrzymać pozycję Europy w czołówce odkryć i przełomowych wydarzeń w poznawaniu raka.

b. Badania translacyjne

Uznaje się, że w Europie można znacznie poprawić przełożenia wysokiej jakości podstawowych badań nad rakiem na zmiany w praktyce. Wymaga to znacznej poprawy w dziedzinie badań translacyjnych.

Badania translacyjne (medycyna translacyjna, nauka translacyjna, nauka „od laboratorium do zastosowania”) to próby wykorzystania podstawowych badań naukowych do stworzenia nowych terapii, zabiegów medycznych lub diagnostyki. Badania translacyjne mają zasadnicze znaczenie dla postępu onkologii precyzyjnej, ponieważ umożliwiają odkrycie cech swoistych spotykanych wyłącznie u niektórych pacjentów lub w niektórych nowotworach, a następnie stworzenie korzystnej dla nich zindywidualizowanej terapii.

Zalecenie: Poprawa infrastruktury badań translacyjnych nad rakiem w Europie

Zgodnie z zaleceniami Europejskiej Akademii Nauk o Nowotworach (EACS) w europejskim planie walki z rakiem i w misji UE na rzecz walki z rakiem należy koordynować wsparcie dla całościowej struktury ośrodków leczenia nowotworów w całej Europie, m.in. by poprawić powiązania między badaniami nad rakiem a świadczeniem opieki zdrowotnej.

Translacyjne badania nad rakiem powinny należeć do głównych elementów misji UE na rzecz walki z rakiem oraz programu badań i innowacji „Horyzont Europa”.

c. Badania kliniczne nad rakiem

Badania kliniczne nad rakiem to badania, w których ludzi, dane lub próbki tkanek od ludzi bada się, by zdobyć wiedzę o zdrowiu i chorobie, znaleźć nowe i lepsze metody wykrywania, diagnozowania i leczenia chorób oraz profilaktyki.

W przypadku chorób nowotworowych dotyczy to nie tylko opracowaniu nowych metod leczenia, ale także, bardziej ogólnie, wszystkich badań służących podnoszeniu standardów opieki nad pacjentami.

Przykładowe kliniczne badania nad rakiem obejmują:

- badania prewencyjne;
- badania przesiewowe;
- badania nad leczeniem.

Badania nad leczeniem mogą koncentrować się na: leczeniu systemowym (tj. lekach); leczeniu niesystemowym (miejscowym), takim jak operacje chirurgiczne i radioterapia; połączeniu różnych

⁶⁰⁹ Zob. sekcja 3.2.1. ustęp dotyczący onkologii precyzyjnej.

metod. Badania mogą mieć na celu opracowanie nowych metod leczenia lub poprawę prowadzenia leczenia, np. przez deeskalację, skrócenie okresów leczenia, poprawę bezpieczeństwa pacjentów itd.⁶¹⁰

Badania kliniczne mogą dotyczyć także wszelkich innych obszarów opieki nad chorymi na raka, w tym katamnezy i opieki u schyłku życia, a także potrzeb osób, które przebyły chorobę nowotworową.

Należy informować, że badania kliniczne nad rakiem nie dotyczą tylko wprowadzania produktów (np. leków) na rynek. Wszelkie postępy w opiece nad chorymi na raka (jak i w opiece zdrowotnej w ogóle) trzeba oprzeć na mocnych dowodach, a te można zbierać w badaniach klinicznych.

Zalecenie: Poszerzenie zakresu europejskich badań klinicznych nad rakiem

W związku z misją UE na rzecz walki z rakiem, europejskim planem walki z rakiem i strategią farmaceutyczną UE trzeba przeprowadzić przegląd otoczenia regulacyjnego i zachęt do badań klinicznych nad rakiem w Europie. Obejmuje to wskazanie i wykorzystanie możliwości wyważenia badań klinicznych nad rakiem, by dotyczyły one pełnego spektrum kontroli nowotworów, w tym wszystkich metod leczenia, oraz niezbędne wsparcie dla akademickich, niezależnych badań klinicznych nad rakiem.

3.3.3. Wnioski dotyczące reformy środowiska badań klinicznych nad rakiem w Europie

a. Optymalizacja leczenia

Ze względu na szczególne wyzwania w rozwoju onkologii precyzyjnej, w tym na ograniczoną liczbę potencjalnych użytkowników, dopuszczono szereg nowych spersonalizowanych terapii medycznych. Pojawiają się jednak pewne obawy wynikające z ograniczonej wiedzy o dawkowaniu, sekwencjonowaniu, łączeniu i czasie trwania takich terapii. To z kolei budzi niepokój, że leki mogą być dawkiwane nieoptymalnie, powodując w perspektywie zbędną toksyczność dla pacjentów oraz negatywnie wpływając na budżet opieki zdrowotnej. Ogólnie podkreślono rosnące zapotrzebowanie na badania kliniczne po dopuszczeniu do obrotu, by bardziej szczegółowo analizować optymalne stosowanie leków lub innych metod leczenia po ich dopuszczeniu.

Aby pomóc w prowadzeniu reform w tym zakresie, Europejska Organizacja Badań i Leczenia Raka (EORTC) opracowała „Manifest Optymalizacji Leczenia” uwzględniający te wyzwania i cieszący się szerokim poparciem europejskiej społeczności zajmującej się chorobami nowotworowymi⁶¹¹. Manifest wzywa do wprowadzenia takich zmian jak:

- gromadzenie dowodów na optymalizację leczenia na wcześniejszym etapie rozwoju przyszłego leczenia, tj. w momencie zapoznania się z profilami bezpieczeństwa i skuteczności;
- wprowadzenie badań nad optymalizacją leczenia jako oficjalnego i obowiązkowego etapu ścieżki dopuszczenia danej metody leczenia na rynek;
- finansowanie badań nad optymalizacją leczenia ze środków publicznych, aby zagwarantować, że są one wolne od uwarunkowań komercyjnych, w tym za pośrednictwem misji UE na rzecz walki z rakiem i programu w zakresie badań i innowacji „Horyzont Europa”.

⁶¹⁰ Zob. sekcja 3.3.3.a. dotycząca optymalizacji leczenia.

⁶¹¹ W ramach poparcia dla manifestu Europejska Organizacja do Walki z Rakiem stworzyła specjalną sieć swoich członków, organizacji pacjentów i innych podmiotów, aby pomóc w realizacji tych dążeń do zmian.

Zalecenie: Optymalizacja leczenia w ramach strategii farmaceutycznej UE

Stworzenie i wdrożenie nowej strategii farmaceutycznej UE należy wykorzystać jako kluczową szansę na początek nowej ery optymalizacji leczenia chorych na raka w nadchodzących dziesięcioleciach.

b. Repozycjonowanie leków

Repozycjonowanie leków to strategia rozwoju polegająca na wykorzystywaniu istniejących licencjonowanych leków do nowych wskazań. Choć ta metoda poprawy możliwości leczenia klinicznego jest przystępna cenowo i bezpieczna, to jest też w dużej mierze niewykorzystana⁶¹². Na przykład w projekcie Repozycjonowania Leków w Onkologii (ReDO), uruchomionym przez Fundusz Walki z Rakiem, wymieniono ponad 300 leków nienowotworowych, co do których uzyskano pewne dowody na działanie przeciwnowotworowe; 50% spośród tych przypadków poparto odpowiednimi danymi z badań dotyczących ludzi, a 16% z nich – danymi z co najmniej jednego pozytywnego badania klinicznego⁶¹³. Przykładem inicjatyw w tym zakresie są aktualnie prowadzone badania nad aspiryną jako lekiem na nawroty raka jelita grubego, a nawet lekiem umożliwiającym pokonanie tego nowotworu, oraz repozycjonowanie leku na dusznicę bolesną do leczenia raka płuc.

Wskazano jednak dwie główne bariery polityczne utrudniające rozwój badań nad możliwościami repozycjonowania:

- **Brak jasnych ścieżek regulacyjnych dotyczących repozycjonowania leków**

Obecne przepisy farmaceutyczne koncentrują się na opracowywaniu nowych leków, a nie na nowych wskazaniach do stosowania istniejących leków, a ponadto wyraźnie brakuje unijnych i krajowych ścieżek ułatwiających repozycjonowania leków.

- **Brak zachęt finansowych i finansowania badań naukowych w zakresie repozycjonowania leków**

Propozycje ekspertów obejmują m.in. zniesienie ograniczeń dotyczących podmiotów mogących ubiegać się o przedłużenie okresu ważności zezwoleń na dopuszczenie do obrotu, co ułatwiłoby repozycjonowanie, a także zaproszeń do składania ofert w dziedzinie badań naukowych finansowanych przez UE, obejmujących konkretnie repozycjonowanie leków na raka na zasadach niekomercyjnych, uwzględniających potrzeby zdrowia publicznego⁶¹⁴.

Zalecenie: Rozwój repozycjonowania leków do leczenia nowotworów w UE

Misja UE na rzecz walki z rakiem, europejski plan walki z rakiem i przyszła strategia farmaceutyczna dla Europy powinny wyraźnie współdziałać w poprawie środowiska prowadzenia badań nad repozycjonowaniem leków do leczenia raka.

c. Badania kliniczne na potrzeby leczenia pozasystemowego

Jak wyraźnie opisano w sekcji 3.2, leczenie nowotworów jest wielowymiarowe i obejmuje nie tylko leki przeciwnowotworowe, ale także inne istotne, pozasystemowe metody, takie jak procedury chirurgiczne, radioterapię i onkologię interwencyjną. Jednak badania kliniczne nad tymi metodami

⁶¹² Nota faktograficzna na temat repozycjonowania leków na stronie internetowej Funduszu Walki z Rakiem: <https://www.anticancerfund.org/en/drug-repurposing> (dostęp: lipiec 2020 r.).

⁶¹³ Strona internetowa projektu Repozycjonowania Leków w Onkologii (ReDO): <http://www.redo-project.org/> (dostęp: lipiec 2020 r.).

⁶¹⁴ Repurposing drugs for cancer treatment: Unlocking the potential: https://www.anticancerfund.org/sites/default/files/attachments/policy_paper_on_repurposing.pdf

leczenia mają znacznie bardziej ograniczoną skalę. Przypisuje się to w dużej mierze odmiennym zachętom finansowym do takich badań.

Leczenie pozasystemowe/lokalno-regionalne może jednak również skorzystać na rozwoju naukowym i technologicznym, który – jeśli przełoży się na zastosowania kliniczne i zostanie przetestowany w badaniach klinicznych – może przynieść pacjentom znaczące korzyści. Badania takie mają zatem zasadnicze znaczenie dla poprawy wyników pacjentów. Brakuje jednak obecnie świadomości ich istnienia oraz wsparcia dla takich badań. Wiele nowotworów, szczególnie we wczesnym stadium, jest leczonych wyłącznie za pomocą procedur chirurgicznych lub radioterapii.

Szerzej zakrojone działania ogólnosystemowe mające poprawić zachęty do badań w tych obszarach obejmują przejście do systemów opieki zdrowotnej opartych w większym stopniu na wartościach, w których zachęca się do innowacji w leczeniu, oferujących wymierne i określone ulepszenia⁶¹⁵, niezależnie od sposobu leczenia. Aby ułatwić takie działania, zaproponowano oparte na dowodach skale wartości dla onkologii chirurgicznej i radiologicznej.

Zalecenie: Zachęcanie do europejskich badań nad wszystkimi metodami leczenia

Bez gruntownej reformy dominujących struktur zachęt finansowych regulujących kierunek prywatnych inwestycji w badania nad leczeniem konieczne będzie stałe publiczne finansowanie badań w dziedzinach takich jak chirurgia, radioterapia i onkologia interwencyjna. Programy badawcze UE, takie jak misja UE na rzecz walki z rakiem, powinny zatem obejmować również zdecydowane wsparcie takich badań.

- d. **Reformy regulacyjne niezbędne do uwzględnienia postępu naukowego i technologicznego w badaniach nad rakiem**
- i. *Wspieranie w przepisach UE dalszego rozwoju pomiarów wyników usług medycznych na podstawie opinii pacjentów*

Z punktu widzenia pacjenta coraz istotniejsze jest włączenie środków dotyczących jakości życia do celów badań klinicznych, obejmujących zarówno aspekty psychologiczne, jak i medyczne.

Powodzenie leczenia nowotworów jest związane nie tylko ze zwiększeniem przeżywalności, ale także z osiągnięciem znaczącej poprawy jakości życia pacjenta.

Aby sprostać tej potrzebie, w ostatniej dekadzie stale rozwijano regulacyjną koncepcję pomiarów wyników świadczonych usług medycznych na podstawie opinii pacjentów (PROM) jako element normalizujący środowisko badań.

Przez wynik oceniany na podstawie opinii pacjentów (PRO) rozumie się każdą opinię o stanie zdrowia pacjenta, która pochodzi bezpośrednio od niego, a jego odpowiedź nie jest interpretowana przez lekarza czy kogokolwiek innego.

Ocena wyników na podstawie opinii pacjentów zwykle zawiera informacje o jakości życia, objawach, funkcjonowaniu, zadowoleniu z opieki lub objawów, przestrzeganiu przyjmowania przepisanych leków lub innej terapii oraz postrzeganej wartości leczenia⁶¹⁶.

Pomiar wyników świadczonych usług medycznych na podstawie opinii pacjentów pomaga gromadzić dane w nowych formach, które można wykorzystać do kierowania decyzjami o polityce klinicznej i

⁶¹⁵ W kierunku opartej na dowodach skali wartości dla onkologii chirurgicznej i radiologicznej: a multi-stakeholder perspective: [https://www.thelancet.com/journals/lanonc/article/PIIS1470-2045\(18\)30917-3/fulltext](https://www.thelancet.com/journals/lanonc/article/PIIS1470-2045(18)30917-3/fulltext)

⁶¹⁶ Donovan J.L., Hamdy F.C., Lane J.A. i in., Patient-Reported Outcomes after Monitoring, Surgery, or Radiotherapy for Prostate Cancer. N Engl J Med., 13 października 2016 r. 375(15): s. 1425–1437.

zdrowotnej, do poprawy leczenia, zmniejszenia skutków ubocznych, zwiększenia efektywności obiegu pracy i poprawy komunikacji między pacjentem a lekarzem.

Zalecenie: Wspieranie w przepisach UE dalszego rozwoju pomiaru wyników usług medycznych na podstawie opinii pacjentów

W kontekście nowej, powstającej strategii farmaceutycznej UE, wszelkie dostosowania otoczenia regulacyjnego w zakresie oceny i zatwierdzania leków powinny mieć na celu wspieranie szerszego uwzględnienia w badaniach klinicznych wyników świadczonych usług medycznych na podstawie opinii pacjentów.

ii. Pełne zbadanie wpływu ogólnego rozporządzenia UE w sprawie ochrony danych na badania nad rakiem

Niektórzy europejscy badacze zajmujący się rakiem wyrazili poważne obawy dotyczące obciążeń i ograniczeń w badaniach, nałożonych ogólnym rozporządzeniem o ochronie danych (RODO), które weszło w życie w 2018 r. Krytyka dotyczy:

- dodatkowych przeszkód w udziale Europy w światowych projektach badań nad nowotworami;
- barier w prowadzeniu analizy wtórnej, wynikających z interpretacji wymogów dotyczących zgody pacjenta zawartych w rozporządzeniu.

Zalecenie: Pełne zbadanie wpływu ogólnego rozporządzenia w sprawie ochrony danych na europejskie badania nad rakiem

Obawy badaczy zajmujących się rakiem, dotyczące wpływu ogólnego rozporządzenia o ochronie danych na ich pracę, należy traktować z najwyższą powagą. Komisja Europejska powinna przeprowadzić ocenę ex post wpływu rozporządzenia na badania nad rakiem po dwóch latach od daty rozpoczęcia stosowania rozporządzenia i na tej podstawie podjąć działania, które pozwolą zmniejszyć obciążenia regulacyjne. Przykładem takiego działania może być lepsza harmonizacja obecnie rozbieżnych krajowych wymogów RODO mających wpływ na badania nad rakiem.

iii. Wykorzystanie potencjału rejestrów nowotworów

W ciągu ostatnich 30 lat Unia Europejska silnie wspierała lepsze wykorzystanie danych w walce z rakiem. Na przykład Wspólne Centrum Badawcze (JRC), wypełniając zadanie doradztwa naukowego wobec Komisji Europejskiej i w ścisłej współpracy z Dyrekcją Generalną ds. Zdrowia i Bezpieczeństwa Żywności (DG SANTE), a także z głównymi europejskimi zainteresowanymi stronami w tej dziedzinie, opracowuje i utrzymuje europejski system informacji o raku (ECIS). Jest to kompleksowa infrastruktura zdrowotna i badawcza, harmonizująca dane z rejestrów chorób nowotworowych i dostarczająca istotnych informacji, które mogą ułatwić interpretację dynamiki chorób nowotworowych w Europie.

Dane potrzebne do ilościowego określenia obciążenia chorobami nowotworowymi w określonej geograficznie populacji są systematycznie gromadzone w populacyjnych rejestrach nowotworów; zawierają one informacje o wszystkich zgłaszanych przypadkach nowotworów na danym obszarze. Od 2012 r., w odpowiedzi na apel Rady Europejskiej do Komisji o dalszą harmonizację rejestracji nowotworów w UE, JRC aktywnie wspiera takie działania i wykorzystywanie danych z rejestrów

nowotworów zrzeszonych w Europejskiej Sieci Rejestrów Nowotworów (ENCR), obejmującej obecnie 178 rejestrów z całej Europy (w tym w państwach spoza UE ⁶¹⁷).

Zalecenie: Wykorzystanie potencjału rejestrów nowotworów w UE

W misji UE dotyczącej raka i europejskim planie walki z rakiem należy odnowić i rozszerzyć mandat, finansowanie i wsparcie polityczne dla Wspólnego Centrum Badawczego, by kontynuować i przyspieszyć prace koordynacyjne z udziałem rejestrów nowotworów w całej Europie.

iv. Transgraniczny dostęp do badań klinicznych

Dostęp do badań klinicznych ma szczególne znaczenie w opiece nad chorymi na raka. Badania kliniczne pozwalają bowiem nie tylko opracowywać nowe metody leczenia, ale – zwłaszcza w przypadku rzadkich nowotworów złośliwych – mogą być także jedyną szansą pacjentów na leki ratujące życie.

Naukowcy z Europejskiego Forum na rzecz Dobrej Praktyki Klinicznej (EFGCP), Europejskiej Organizacji ds. Badań i Leczenia Nowotworów (EORTC), KU Leuven i Patvocates, przy wsparciu Europejskiej Federacji Przemysłu i Stowarzyszeń Farmaceutycznych (EFPIA), przeprowadzili niedawno badanie⁶¹⁸, w którym wskazano szereg problemów utrudniających pacjentom korzystanie z informacji i wsparcia w dostępie do innowacyjnego leczenia, również za granicą.

Należy dalej dążyć na szczeblu europejskim i krajowym do zmniejszenia barier uniemożliwiających pacjentom chorym na raka dostęp do innowacyjnego leczenia, również za granicą, w tym dzięki transgranicznym badaniom klinicznym⁶¹⁹. Wobec braku przepisów lub wytycznych UE mających ułatwić pacjentom udział w badaniach poza danym państwem pacjenci wyjeżdżający do innego państwa, by wziąć udział w badaniach klinicznych, borykają się z takimi problemami jak brak jasnych protokołów działań następczych po powrocie do kraju oraz trybu pokrycia kosztów udziału w badaniu przez ubezpieczenie krajowe. Przeszkody te można by usunąć, zmieniając dyrektywę UE w sprawie stosowania praw pacjentów w transgranicznej opiece zdrowotnej.

Dostępu do innowacyjnych terapii we wczesnych badaniach klinicznych nie uznaje się obecnie za element programu S2, zgodnie z rozporządzeniem WE nr 883/2004 w sprawie koordynacji systemów zabezpieczenia społecznego. W czasach, gdy liczne przykłady pokazują, że dostęp do innowacyjnych leków może przynieść znaczne korzyści poszczególnym pacjentom, niepokoi fakt, że nie mogą oni wyjechać za granicę, by uzyskać dostęp do nowych terapii, ani otrzymać refundacji⁶²⁰.

Dzięki inicjatywom podjętym w niektórych krajach określono realne rozwiązania tymczasowe, które mogą być wskazówką i ewentualnie wzorem dla przyszłego prawodawstwa. Do inicjatyw tych należą:

- nordycka sieć wymiany nowych wyników badań i informacji o dostępie do nowych terapii;
- słowackie prawodawstwo przewidujące, że obywatele uczestniczący w badaniach w innych państwach będą objęci ubezpieczeniem krajowym, jeżeli wcześniej poinformują o tym udziale organy medyczne;

⁶¹⁷ Pomiar obciążenia chorobami nowotworowymi w Europie: europejski system informacji o raku (ECIS): <https://www.emjreviews.com/oncology/abstract/measuring-the-cancer-burden-in-europe-the-european-cancer-information-system-ecis/>

⁶¹⁸ Sprawozdanie ze szczytu ECCO 2019, sekcja poświęcona transgranicznym badaniom klinicznym: <https://www.ecco-org.eu/component/attachments/?task=download&id=171> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

⁶¹⁹ European Cancer Summit 2019, sprawozdanie z sesji na temat transgranicznych badań klinicznych: <https://www.european-cancer.org/component/attachments/?task=download&id=154:Crossborder-access-to-clinical-trials-2> (dostęp: maj 2020 r.).

⁶²⁰ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 3).

- holendersko-niemiecka współpraca, w regionach przygranicznych, między szpitalami uniwersyteckimi, w zakresie badań, wymiany danych oraz usprawnianiu i uproszczeniu dostępu pacjentów do badań.

Celem badań transgranicznych nie jest zachęcanie pacjentów do masowego przemieszczania się między krajami. Jest to zresztą mało prawdopodobne, ponieważ pacjenci wolą leczyć się blisko domu, w znanym sobie otoczeniu. Badania transgraniczne wnoszą wartość dodaną w szczególnych przypadkach, takich jak choroby rzadkie, gdy nie istnieją żadne lokalne możliwości. Możliwość łatwego dostępu do nowych terapii w innym kraju potencjalnie zmienia wówczas życie.

Co ważne, w transgranicznym dostępie do badań klinicznych nadrzędna powinna być idea przejazdu do pacjenta, a nie przejazdu pacjenta w celu wzięcia udziału w badaniu. W czasach coraz większej dostępności środków komunikacji cyfrowej powinno być to łatwe do osiągnięcia.

Należy zauważyć, że badania kliniczne dotyczące pozasystemowych metod leczenia, takich jak procedury chirurgiczne, onkologia radiacyjna i onkologia interwencyjna, wiążą się z określonymi wyzwaniem metodologicznymi i organizacyjnymi. Na przykład tylko 1% pacjentów chorych na raka w Europie jest zapraszanych do udziału w badaniach z zakresu onkologii chirurgicznej. Ze względu na znaczenie takich badań w dążeniu do lepszych wyników i wyższej jakości opieki nad pacjentami chorymi na raka badania kliniczne w tych dziedzinach powinny być zatem wspierane dzięki współpracy między specjalistami i finansowaniu publicznemu.

Ponadto włączenie do celów badań klinicznych wskaźników jakości życia, obejmujących zarówno aspekty psychologiczne, jak i medyczne, jest postrzegane przez chorych na raka jako obiecująca perspektywa. Jest to również szansa na rozwój usług psychoonkologicznych w całej Europie.

Zalecenie: Transgraniczny dostęp do badań klinicznych w UE

Należy poddać przeglądowi stosowanie i treść dyrektywy w sprawie stosowania praw pacjentów w transgranicznej opiece zdrowotnej, by wskazać i zapewnić możliwości poprawy praw obywateli i dostępu do udziału w badaniach klinicznych w wymiarze transgranicznym.

4. NOWOTWORY RZADKIE ORAZ NOWOTWORY DZIECIĘCE

Choć poszczególne ich rodzaje nie występują często, nowotwory rzadkie stanowią poważne zagrożenie dla zdrowia publicznego w Europie, ponieważ dotyczą około 5,1 mln pacjentów w całej Europie⁶²¹. Ich **nietypowy charakter** stwarza wiele specyficznych wyzwań w badaniach klinicznych, organizacji opieki zdrowotnej i podejmowaniu decyzji klinicznych⁶²², **i wymaga specjalnego podejścia politycznego.**

Należy zwrócić uwagę, że wszystkie **nowotwory pediatryczne** są nowotworami rzadkimi^{623,624}. Niemniej jednak mają one specyficzne cechy wynikające z wieku pacjentów oraz cechy biologiczne, kliniczne i organizacyjne, które wymagają bardziej **dostosowanych podejść, strategii i środków, wykraczających poza zwykłą ekstrapolację opieki nad dorosłymi**⁶²⁵. Oprócz problematyki nowotworów rzadkich u dorosłych w oddzielnej sekcji szczegółowo omówiono specyfikę nowotworów dziecięcych.

Z braku prostego kryterium epidemiologicznego czy biologicznego ustalenie definicji nowotworów rzadkich jest samo w sobie wyzwaniem. W UE za choroby uważa się te, które obecnie dotyczą mniej niż 5 na 10 000 osób⁶²⁶. EMA wykorzystuje ten próg jako podstawę do podejmowania decyzji regulacyjnych, jednak stosunek umieralności do chorobowości prowadzi do możliwych przekłamań, ponieważ rzadkie, ale dobrze rokujące nowotwory złośliwe mogą być zaliczane do nowotworów pospolitych rakiem i na odwrót⁶²⁷. Ponadto wiele etapów leczenia występuje przy nowotworach rzadkich tylko raz, dlatego uznaje się, że to zachorowalność lepiej odzwierciedla rzeczywiste obciążenie dla systemów opieki zdrowotnej⁶²⁸. W finansowanym przez UE projekcie nadzoru nad nowotworami rzadkimi w Europie, RARECARE (2007-2010), z udziałem europejskich ekspertów pracujących nad uzgodnionymi danymi epidemiologicznymi o rzadkich chorobach nowotworowych, zaproponowano zatem **definicję opartą na zachorowalności (mniej niż 6 na 100 000 osób rocznie w populacji europejskiej)**⁶²⁹, uznawaną obecnie za konwencję w europejskim środowisku onkologicznym⁶³⁰, a nawet stosowaną w niektórych badaniach poza Europą⁶³¹.

W ostatnich latach w europejskiej polityce walki z rakiem podejmowano dość dużo działań dotyczących nowotworów rzadkich i pediatrycznych. **Najnowsze inicjatywy wspierane ze środków unijnych obejmują:**

⁶²¹ Internetowe narzędzie analityczne ze strony internetowej RARECAREnet . <http://www.rarecarenet.eu/analysis.php> (dostęp: luty 2020 r.).

⁶²² Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1).

⁶²³ Steliarova-Foucher E., Fidler M.M., Colombet M. i in. Changing geographical patterns and trends in cancer incidence in children and adolescents in Europe, 1991–2010 (Automated Childhood Cancer Information System): a population-based study. *Lancet Oncol.*, wrzesień 2018 r.; 19(9): s. 1159–1169.

⁶²⁴ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1).

⁶²⁵ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: Dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich.

⁶²⁶ Rozporządzenie UE w sprawie sierocych produktów leczniczych.

⁶²⁷ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1).

⁶²⁸ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1).

⁶²⁹ Gatta G., Van der Zwan J.M., Casali P.G. i in., Rare cancers are not so rare: the rare cancer burden in Europe. *Eur J Cancer*, listopad 2011 r.; 47(17): s. 2493–2511.

⁶³⁰ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1).

⁶³¹ Gaddipati H., Liu K., Pariser A. i in., Rare cancer trial design: lessons for FDA approvals. *Clin Cancer Res.*, 2012 r.; 18(19): s. 8–5172.

- projekt sieci informacji na temat rzadkich nowotworów (**RARECAREnet**) (2012-2016): ogólnoeuropejskie badanie epidemiologiczne będące kontynuacją projektu RARECARE, mające na celu uzyskanie aktualnych danych na temat rzadkich chorób nowotworowych w UE oraz zbadanie stopnia centralizacji leczenia tych chorób⁶³²;
- wspólne działanie UE w zakresie nowotworów rzadkich (**JARC**; 2016–2019): zainicjowana przez państwa członkowskie inicjatywa wielostronna, dzięki której opracowano program działania na rzecz walki z nowotworami rzadkimi do 2030 r. (10 kluczowych zaleceń z zakresu polityki nowotworów rzadkich, do wdrożenia na szczeblu krajowym i unijnym⁶³³);
- europejskie sieci referencyjne (**ESR**): uruchomione w 2017 r. wirtualne sieci podmiotów służby zdrowia z całej Europy, służące zwalczaniu złożonych lub rzadkich chorób i schorzeń wymagających wysoce specjalistycznego leczenia oraz skupienia wiedzy i zasobów⁶³⁴; cztery z nich poświęcone są konkretnie nowotworom rzadkim (EURACAN, EuroBloodNet, PaedCan i GENTURIS).

⁶³² Gatta G., Capocaccia R., Botta L. i in., Burden and centralised treatment in Europe of rare tumours: results of RARECAREnet-a population-based study *Lancet Oncol.*, sierpień 2017 r.; 18(8): s. 1022–1039.

⁶³³ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: Dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich.

⁶³⁴ Nota faktograficzna Komisji Europejskiej dotycząca europejskich sieci referencyjnych: https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/2017_brochure_en.pdf (dostęp: luty 2020 r.).

4.1. Nowotwory rzadkie

4.1.1. Klasyfikacje i zakres rzadkich nowotworów

KLUCZOWE WNIOSKI I ZALECENIA: NOWOTWORY RZADKIE

Choć poszczególne ich rodzaje nie występują często, nowotwory rzadkie stanowią poważne zagrożenie dla zdrowia publicznego w Europie, ponieważ dotyczą około 5,1 mln pacjentów w całej Europie. Szacowana **5-letnia względna przeżywalność jest przeciętnie znacznie niższa** w przypadku nowotworów rzadkich niż w przypadku nowotworów pospolitych. Ich **nietypowy charakter** stwarza wiele szczególnych wyzwań w badaniach klinicznych, organizacji opieki zdrowotnej i podejmowaniu decyzji klinicznych

W związku z utrzymującym się dramatycznym zróżnicowaniem wskaźnika przeżyć w Europie, również w przypadku wysoce uleczalnych typów nowotworów rzadkich, należy nieprzerwanie kłaść nacisk na politykę nowotworów rzadkich w europejskim planie walki z rakiem, misji UE na rzecz walki z rakiem oraz nowej strategii farmaceutycznej UE, które wkrótce będą wdrażane.

Jednym z najbardziej oczywistych i znaczących problemów w zarządzaniu rzadkimi chorobami nowotworowymi jest brak specjalistycznej wiedzy klinicznej, bezpośrednio wynikający z faktu, że podmioty służby zdrowia napotykać niewiele przypadków zachorowań na nowotwory rzadkie, co ma duży wpływ na postawienie diagnozy i opiekę nad pacjentami.

By zająć się tym problemem w organizacji systemu opieki zdrowotnej, opracowano trzy uzupełniające się podejścia, zalecane przez specjalistów ds. rzadkich rodzajów nowotworów: **scentralizowane zarządzanie leczeniem, tworzenie sieci kontaktów i planowanie na szczeblu krajowym**. Każde z nich omówiono w dalszej części niniejszej sekcji.

Unia Europejska odgrywa obecnie kluczową rolę w zacieśnianiu współpracy międzypaństwowej w dziedzinie nowotworów rzadkich przez tworzenie i obsługę „**europejskich sieci referencyjnych**”. Powstały one w 2017 r. w związku z unijną dyrektywą w sprawie stosowania praw pacjentów w transgranicznej opiece zdrowotnej. Cztery z nich są poświęcone nowotworom rzadkim: EURACAN (europejska sieć referencyjna ds. rzadkich nowotworów złośliwych u dorosłych), EuroBloodNet (europejska sieć referencyjna ds. hematologicznych chorób nowotworowych u dorosłych), ERN PaedCan (europejska sieć referencyjna ds. chorób nowotworowych u dzieci) oraz ERN GENTURIS (europejska sieć referencyjna ds. genetycznych zespołów ryzyka zachorowania na raka).

ESR otwierają nowe możliwości poprawy leczenia i opieki nad chorymi na nowotwory rzadkie, w tym dzięki dzieleniu się przypadkami klinicznymi, racjonalizacji skierowań pacjentów oraz lepszemu zarządzaniu przypadkami nowotworów rzadkich w małych krajach. We wspólnym działaniu w zakresie nowotworów rzadkich (JARC) zasugerowano wiele potencjalnych zadań ESR, w tym opracowanie wytycznych dotyczących praktyki klinicznej w zakresie nowotworów rzadkich, ułatwienie działania biobanków, osiągnięcie efektywności skali w badaniach klinicznych oraz poprawę dostępu do danych potencjalnie poprawiających praktykę kliniczną.

Dlatego też ustanowienie europejskich sieci referencyjnych w dziedzinie rzadkich chorób nowotworowych pomogło wskazać wiele dodatkowych możliwości wartościowej ogólnoeuropejskiej współpracy z wykorzystaniem infrastruktury sieci do kontaktów między ośrodkami w całej Europie. **Jednak aby to osiągnąć, ESR muszą otrzymywać długotrwałe wsparcie finansowe.**

Pomimo inicjatyw regulacyjnych UE, takich jak rozporządzenie w sprawie sierocych produktów leczniczych, nadal istnieją liczne wyzwania w badaniach nad rzadkimi chorobami nowotworowymi. Dlatego też zalecenia ze wspólnego działania w zakresie nowotworów rzadkich (JARC) współfinansowanego przez UE, dotyczące poprawy funkcjonowania środowiska badawczego w dziedzinie rzadkich chorób nowotworowych, należy włączyć do europejskiego planu walki z rakiem i nowej strategii farmaceutycznej UE. Obejmuje to zachęcanie do opracowywania i stosowania innowacyjnych metod projektowania badań klinicznych, poprawę transgranicznego dostępu do badań klinicznych oraz szereg zaleceń dotyczących zwalczania obciążeń nakładanych na badaczy w związku z rozporządzeniem RODO.

W oparciu o dane z 94 europejskich populacyjnych rejestrów nowotworów, obejmujących 46% ludności UE⁶³⁵, w projekcie RARECAREnet opracowano całościowy **europejski wykaz nowotworów**⁶³⁶. Jest on aktualizacją wykazu opracowanego wcześniej w projekcie RARECARE⁶³⁷ i ponownie przeanalizowanego niedawno przez JARC⁶³⁸; bazuje on na trzecim wydaniu Międzynarodowej Klasyfikacji Chorób Onkologicznych (ICD-O-3) opracowanym przez WHO⁶³⁹ i wprowadza trzypoziomowy system klasyfikacji:

- poziom 3: poszczególne jednostki nowotworowe, identyfikowane za pomocą kodów topograficznych ICD-O-3 (tj. lokalizacji anatomicznej) i morfologicznych (tj. typu komórek i zachowania biologicznego⁶⁴⁰);
- poziom 2: kategorie nowotworów uważanych za podobne z punktu widzenia leczenia klinicznego i badań naukowych; nowotwory rzadkie są identyfikowane na podstawie szacowanej zachorowalności;
- poziom 1: ogólne kategorie nowotworów, uważane za wymagające takiej samej wiedzy klinicznej i takiej samej struktury skierowań pacjentów⁶⁴¹.

W zestawieniu z uzgodnioną definicją nowotworów rzadkich system ten pozwala na określenie **zakresu rzadkich nowotworów w Europie**: w oparciu o najnowsze dostępne dane można zdefiniować **198 różnych nowotworów rzadkich**, występujących w 62 ogólnych kategoriach nowotworów (poziom 1) i obejmujących 521 pojedynczych jednostek nowotworowych (poziom 3). Dla porównania cała klasyfikacja RARECAREnet obejmuje 218 nowotworów (poziom 2)⁶⁴². Nowotwory rzadkie stanowią zatem **84% całego spektrum**.

Ponadto w RARECARE i RARECAREnet podzielono rodzaje nowotworów na **12 głównych „rodzin”**, liczących po kilka ogólnych kategorii nowotworów (poziom 1), którymi zajmują się te same społeczności lekarzy i badaczy klinicznych⁶⁴³; kategorie te zostały niedawno ponownie przeanalizowane przez JARC⁶⁴⁴. Są to: **nowotwory głowy i szyi, nowotwory układu pokarmowego*, nowotwory klatki piersiowej*, nowotwory żeńskich narządów płciowych*, nowotwory męskich narządów płciowych i układu moczowego*, nowotwory neuroendokrynne, nowotwory narządów wydzielania wewnętrznego, mięsaki, nowotwory ośrodkowego układu nerwowego, nowotwory**

⁶³⁵ Gatta G., Capocaccia R., Botta L. i in., Burden and centralised treatment in Europe of rare tumours: results of RARECAREnet—a population-based study *Lancet Oncol.*, sierpień 2017 r.; 18(8): s. 1022–1039.

⁶³⁶ Wykaz rzadkich nowotworów RARECAREnet (pobrano ze strony internetowej RARECAREnet: http://www.rarecaren.net/images/Resources/RARECAREnet_list_of_rare_cancers_Dec15.xlsx; dostęp: luty 2020 r.).

⁶³⁷ Wykaz rzadkich nowotworów RARECAREnet (pobrano ze strony internetowej RARECAREnet: http://www.rarecare.eu/rarecancers/Rare_Cancers_list_March2011.xls; dostęp: luty 2020 r.).

⁶³⁸ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1).

⁶³⁹ Fritz A., Percy C., Jack A., Kanagaratnam S., Sobin L., Parkin MD. Międzynarodowa Klasyfikacja Chorób Onkologicznych (ICD-O). Wydanie trzecie, Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2000 r.

⁶⁴⁰ Definicje kodów topograficznych i morfologicznych ICD-O-3 ze strony internetowej DIMDI (Niemieckiego Instytutu Dokumentacji i Informacji Medycznej), <https://www.dimdi.de/dynamic/en/classifications/icd/icd-o-3/> (dostęp: marzec 2020 r.).

⁶⁴¹ Strona internetowa RARECAREnet, <http://www.rarecaren.net/> (dostęp: luty 2020 r.).

⁶⁴² Wykaz nowotworów RARECAREnet (pobrano ze strony internetowej RARECAREnet: http://www.rarecaren.net/images/Resources/RARECAREnet_list_of_rare_cancers_Dec15.xlsx; dostęp: luty 2020 r.).

⁶⁴³ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1).

⁶⁴⁴ Wykaz rodzin nowotworów rzadkich JARC – zaczerpnięty ze wspólnego działania w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1).

skóry i nieczerniakowe nowotwory skóry*, „nowotwory pediatryczne”⁶⁴⁵ i nowotwory hematologiczne*.

Niektóre z tych rodzin nowotworów obejmują również pewne nowotwory pospolite, co oznaczono gwiazdką, natomiast **wszystkie obejmują nowotwory rzadkie**. Dlatego zwane są „12 »rodzinami« nowotworów rzadkich”; ten podział może być podstawą badań nad rzadkimi nowotworami w Europie i zarządzania nimi.

Co ważne, Międzynarodowa Klasyfikacja Nowotworów Dziecięcych (ICCC3) jest najczęściej przywoływaną klasyfikacją nowotworów dziecięcych⁶⁴⁶.

4.1.2. Epidemiologia nowotworów rzadkich

Na podstawie tego precyzyjnego wykazu nowotworów rzadkich w projekcie RARECAREnet obliczono również szacunkowe wskaźniki zachorowalności na takie nowotwory w Europie, a także chorobowości i przeżywalności.

Należy zauważyć, że liczby te nie odzwierciedlają danych o wszystkich nowotworach dziecięcych, ponieważ z badania wykluczono rejestry nowotworów typowo dziecięcych. Statystyki dotyczące nowotworów dziecięcych znajdują się w poświęconej im sekcji⁶⁴⁷.

Tabela 4: Szacunkowa zachorowalność na nowotwory rzadkie w UE oraz chorobowość i przeżywalność

	ZACHOROWALNOŚĆ		CHOROBOWOŚĆ	PRZEŻYwalNOŚĆ
	Ogólna zachorowalność na 100 000 osób w latach 2000-2007	Szacowane nowe przypadki w UE w 2013 r.	Szacowane przypadki w UE w 2008 r.	Szacowana przeżywalność 5-letnia w latach 2000–2007
Wszystkie nowotwory rzadkie	114,99	636 753	5 085 137	48,5%

Źródło: Gatta G, Capocaccia R, Botta L, i in. Burden and centralised treatment in Europe of rare tumours: results of RARECAREnet-a population-based study *Lancet Oncol.*, sierpień 2017 r.; 18(8):1022–1039. Internetowe narzędzie analityczne ze strony internetowej RARECAREnet, <http://www.rarecarenet.eu/analysis.php> (dostęp: luty 2020 r.).

Zgodnie z tymi danymi nowotwory rzadkie stanowią **24% wszystkich nowotworów diagnozowanych każdego roku** w UE⁶⁴⁸; „niezwykle rzadkie” nowotwory, definiowane jako nowotwory o zachorowalności poniżej 0,2 na 100 000 osób⁶⁴⁹, stanowią co prawda 61% rzadkich

⁶⁴⁵ Ta rodzina nie odzwierciedla łącznego obciążenia nowotworami dziecięcymi. Obejmuje ono pewną liczbę blastomów, o których wiadomo, że występują w populacji pacjentów pediatrycznych, jednak pacjentów tych dotyczą również rzadkie jednostki nowotworowe ujęte w innych klasach (zob. załącznik 2³¹) czy nawet jednostki nowotworowe sklasyfikowane jako powszechne w całej populacji, ale o niskich wskaźnikach zachorowalności wśród dzieci. Międzynarodowa Klasyfikacja Nowotworów Dziecięcych (ICCC3) jest najczęściej przywoływaną klasyfikacją nowotworów dziecięcych (zob. punkt 4.2).

* Ta rodzina nowotworów obejmuje zarówno nowotwory pospolite, jak i rzadkie.

⁶⁴⁶ Zob. sekcja 4.2.1. na temat rodzin nowotworów pediatrycznych.

⁶⁴⁷ Zob. sekcja 4.2.2. - epidemiologia nowotworów pediatrycznych.

⁶⁴⁸ Gatta G, Capocaccia R, Botta L. i in., Burden and centralised treatment in Europe of rare tumours: results of RARECAREnet-a population-based study *Lancet Oncol.*, sierpień 2017 r.; 18(8): s. 1022–1039.

⁶⁴⁹ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1).

jednostek nowotworowych, ale tylko 1% wszystkich nowych zachorowań na raka rocznie⁶⁵⁰. Spośród rodzin rzadkich nowotworów najczęściej spotykane są nowotwory hematologiczne, nowotwory żeńskich narządów płciowych i nowotwory układu pokarmowego – w każdej z tych rodzin podnotowuje się ponad 100 000 nowych przypadków rocznie, gdy tymczasem rzadkie nowotwory skóry stanowią jedynie około 7 tys. nowych przypadków rocznie (zob. Załącznik 10⁶⁵¹).

Analizując tendencje zachorowalności w czasie, stwierdza się ogólny wzrost o 0,5% rocznie⁶⁵²; co więcej, wskaźniki zachorowalności również wykazują znaczną zmienność w poszczególnych krajach, nawet po skorygowaniu o wiek^{653,654}. Chociaż różnice te mogą wynikać w pewnym stopniu z różnic w dokładności diagnostyki patologicznej lub w klasyfikacji i rejestrowaniu nowotworów rzadkich, ale także z różnic w narażeniu na niektóre czynniki ryzyka wystąpienia nowotworów, np. na brodawczaka ludzkiego (HPV) czy otyłość⁶⁵⁵, co pokazuje, jakie działania w zakresie profilaktyki pierwotnej należy podjąć.

Szacowana średnia **5-letnia względna przeżywalność jest znacznie niższa** w przypadku tych nowotworów rzadkich (w większości występujących u dorosłych) niż w przypadku ich pospolitych odpowiedników (63,4%). Odnosi się to również do większości poszczególnych rodzin nowotworów (zob. załącznik 10⁶⁵⁶), nawet po wykluczeniu nowotworów pospolitych o znanych dobrych rokowaniach⁶⁵⁷. Ponadto chociaż ogólna względna przeżywalność w przypadku nowotworów pospolitych u dorosłych wzrosła w latach 1999–2007 o 5,5%, to wzrost ten wyniósł zaledwie 3% w przypadku nowotworów rzadkich występujących u dorosłych⁶⁵⁸. Chociaż różnice te mogą do pewnego stopnia wynikać z odmiennej biologii niektórych rzadkich rodzajów nowotworów, to stanowią one kolejny **silny sygnał, że potrzebna jest polityka poświęcona rzadkim rodzajom nowotworów**, by wesprzeć poprawę wyników u pacjentów⁶⁵⁹.

Ponadto wskaźniki przeżywalności skorygowane o wiek i spektrum przypadków⁶⁶⁰, które można uznać za jedne z najbardziej związanych wskaźników skuteczności systemów opieki zdrowotnej w zwalczaniu

⁶⁵⁰ Obliczenia wykonane na podstawie danych z Gatta G, Capocaccia R, Botta L, i in. Burden and centralised treatment in Europe of rare tumours: results of RARECAREnet-a population-based study Lancet Oncol., sierpień 2017 r.; 18(8): s. 1022–1039.

⁶⁵¹ Szacunkowa zachorowalność, chorobowość i przeżywalność w poszczególnych rodzinach nowotworów rzadkich; za: Gatta G, Capocaccia R, Botta L, i in. Burden and centralised treatment in Europe of rare tumours: results of RARECAREnet-a population-based study Lancet Oncol., sierpień 2017 r.; 18(8):1022–1039 oraz: Analityczne narzędzie internetowe ze strony RARECAREnet. <http://www.rarecaren.net/analysis.php> (dostęp: luty 2020 r.).

⁶⁵² Gatta G, Capocaccia R, Botta L, i in., Burden and centralised treatment in Europe of rare tumours: results of RARECAREnet-a population-based study Lancet Oncol., sierpień 2017 r.; 18(8): s. 1022–1039 (dane za lata 1999-2007).

⁶⁵³ Obliczenia przeprowadzone, by umożliwić porównanie wskaźników zachorowalności z różnych państw przez wyeliminowanie różnic wynikających z różnych przedziałów wiekowych (jak wiadomo, wiek ma wpływ na ryzyko zachorowania na raka).

⁶⁵⁴ Gatta G, Trama A, Capocaccia R, Epidemiology of rare cancers and inequalities in oncologic outcomes Eur J Surg Oncol., styczeń 2019 r.; 45(1): s. 3–11.

⁶⁵⁵ Gatta G, Capocaccia R, Botta L, i in., Burden and centralised treatment in Europe of rare tumours: results of RARECAREnet-a population-based study Lancet Oncol., sierpień 2017 r.; 18(8): s. 1022–1039.

⁶⁵⁶ Szacunkowa zachorowalność, chorobowość i przeżywalność w poszczególnych rodzinach nowotworów rzadkich; za: Gatta G, Capocaccia R, Botta L, i in. Burden and centralised treatment in Europe of rare tumours: results of RARECAREnet-a population-based study Lancet Oncol., sierpień 2017 r.; 18(8): s. 1022-1039 oraz RARECAREnet Internetowe narzędzie analityczne ze strony internetowej RARECAREnet, <http://www.rarecaren.net/analysis.php> (dostęp: luty 2020 r.).

⁶⁵⁷ Gatta G, Capocaccia R, Botta L, i in., Burden and centralised treatment in Europe of rare tumours: results of RARECAREnet-a population-based study Lancet Oncol., sierpień 2017 r.; 18(8): s. 1022–1039.

⁶⁵⁸ Gatta G, Capocaccia R, Botta L, i in. Burden and centralised treatment in Europe of rare tumours: results of RARECAREnet-a population-based study Lancet Oncol., sierpień 2017 r.; 18(8): s. 1022–1039.

⁶⁵⁹ Gatta G, Capocaccia R, Botta L, i in., Burden and centralised treatment in Europe of rare tumours: results of RARECAREnet-a population-based study Lancet Oncol., sierpień 2017 r.; 18(8): s. 1022–1039.

⁶⁶⁰ Obliczenia przeprowadzone, by umożliwić porównanie wskaźników przeżywalności z różnych państw przez wyeliminowanie różnic wynikających z różnych przedziałów wiekowych i podziałów na rodzaje nowotworów, o różnych rokowaniach.

nowotworów⁶⁶¹, również wykazują duże różnice geograficzne: **przeżywalność w krajach Europy Wschodniej są niższe**⁶⁶² (wszystkie poniżej 45%, w Bułgarii poniżej 35%) niż w pozostałych krajach (wszystkie powyżej 45%), zwłaszcza w krajach Europy Północnej⁶⁶³ i Środkowej⁶⁶⁴ (do ponad 55% na Islandii)⁶⁶⁵. Co ważne, przy rozpatrywaniu poszczególnych wysoce uleczalnych rzadkich rodzajów nowotworów⁶⁶⁶ nadal występują dramatyczne różnice w przeżywalności według podobnego schematu, co zdecydowanie wskazuje na **duże znaczenie wiedzy klinicznej dla wyników leczenia pacjentów z nowotworami rzadkimi.**⁶⁶⁷

Zalecenie: Dalszy nacisk na politykę nowotworów rzadkich w UE

W związku z utrzymującym się dramatycznym zróżnicowaniem wskaźnika przeżyć w Europie, również w przypadku wysoce uleczalnych rzadkich typów nowotworów, należy stale zwracać uwagę na politykę nowotworów rzadkich w europejskim planie walki z rakiem, misji UE na rzecz walki z rakiem oraz nowej strategii farmaceutycznej UE, które wkrótce będą wdrażane.

4.1.3. Wyzwania w walce z nowotworami rzadkimi

Rzadkie nowotwory to grupa bardzo zróżnicowana, zarówno pod względem umiejscowienia anatomicznego⁶⁶⁸, jak i przyczyn. Do znanych czynników powstawania nowotworów rzadkich u dorosłych należą m.in. zakażenie HPV, ekspozycja na czynniki ryzyka zawodowego⁶⁶⁹ oraz dziedziczne zespoły nowotworowe⁶⁷⁰. Mechanizmy przyczynowe nowotworów dziecięcych przedstawiono w poświęconej im sekcji⁶⁷¹.

Nietypowy charakter nowotworów rzadkich stwarza jednak podobne problemy w zapewnieniu pacjentom odpowiedniej terapii i opieki, w tym:

- trudności w dostępie pacjentów do szybkiej i dokładnej **diagnostyki**, a także wysoko wyspecjalizowanej **opieki** i odpowiedniego **leczenia**, poczucie **izolacji** pacjentów i ich rodzin;

⁶⁶¹ Gatta G., Trama A., Capocaccia R., Epidemiology of rare cancers and inequalities in oncologic outcomes Eur J Surg Oncol., styczeń 2019 r.; 45(1): s. 3–11.

⁶⁶² RARECAREnet – region Europy Wschodniej: Europa Wschodnia: Bułgaria, Republika Czeska, Estonia, Łotwa, Litwa, Polska, Słowacja (ze strony internetowej RARECAREnet <http://www.rarecarenet.eu/>, dostęp: luty 2020 r.).

⁶⁶³ RARECAREnet – region Europy Północnej: Finlandia, Islandia, Norwegia (ze strony internetowej RARECAREnet <http://www.rarecarenet.eu/>, dostęp: luty 2020 r.).

⁶⁶⁴ RARECAREnet – region Europy Środkowej: Austria, Belgia, Francja, Niemcy, Szwajcaria, Holandia (ze strony internetowej RARECAREnet <http://www.rarecarenet.eu/>, dostęp: luty 2020 r.).

⁶⁶⁵ Gatta G., Trama A., Capocaccia R., Epidemiology of rare cancers and inequalities in oncologic outcomes Eur J Surg Oncol., styczeń 2019 r.; 45(1): s. 3–11.

⁶⁶⁶ Gatta G., Trama A., Capocaccia R., Epidemiology of rare cancers and inequalities in oncologic outcomes Eur J Surg Oncol., styczeń 2019 r.; 45(1): s. 3–11.

⁶⁶⁷ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1).

⁶⁶⁸ Wykaz nowotworów RARECAREnet (pobrano ze strony internetowej RARECAREnet: http://www.rarecarenet.eu/rarecarenet/images/Resources/RARECAREnet_list_of_rare_cancers_Dec15.xlsx; dostęp: luty 2020 r.).

⁶⁶⁹ Charbotel B., Fervers B., Droz J.P., Occupational exposures in rare cancers: A critical review of the literature Crit Rev Oncol Hematol, maj 2014 r.; 90(2): s. 99–134.

⁶⁷⁰ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1).

⁶⁷¹ Zob. sekcja 4.2.3.a. – przyczyny nowotworów pediatrycznych.

- ograniczone **możliwości** badawcze, trudności w prowadzeniu **badaw klinicznych** oraz brak **terapii**^{672,673}.

Z perspektywy polityki zdrowotnej nowotwory rzadkie można ująć w instrumentach polityki chorób rzadkich, takich jak europejskie sieci referencyjne (ESR) i rozporządzenie UE w sprawie sierocych produktów leczniczych. Należy jednak również w pełni korzystać z ogólnych mechanizmów polityki w zakresie nowotworów, takich jak rejestry nowotworów i krajowe plany zwalczania nowotworów (NCCP)⁶⁷⁴, oraz uwzględnić wpływ zarządzania tymi nowotworami wraz z zarządzaniem leczeniem przypadków nowotworów pospolitych na zapewnienie opieki⁶⁷⁵.

a. Dostęp do specjalistycznej wiedzy klinicznej oraz wysokiej jakości diagnostyki i opieki

Jednym z najbardziej oczywistych i znaczących problemów w zarządzaniu rzadkimi chorobami nowotworowymi jest **brak specjalistycznej wiedzy klinicznej**, bezpośrednio związany z faktem, że podmioty służby zdrowia napotykać niewiele przypadków zachorowań na nowotwory rzadkie, co ma duży wpływ na postawienie diagnozy i zapewnienie opieki pacjentom. Co więcej, rozpoznanie niektórych rzadkich nowotworów mogą utrudniać znikome objawy, brak kojarzonych z nimi czynników ryzyka oraz fakt, że pacjenci, którzy na te nowotwory cierpią, nie pochodzą z populacji postrzeganej jako „zagrożona nowotworem”.

By zająć się tym problemem w organizacji systemu opieki zdrowotnej, opracowano **trzy uzupełniające się podejścia**, zalecane przez specjalistów ds. rzadkich rodzajów nowotworów: centralizowane zarządzanie leczeniem, tworzenie sieci kontaktów i planowanie na szczeblu krajowym⁶⁷⁶.

i. Scentralizowane zarządzanie leczeniem pacjentów chorujących na nowotwory rzadkie

Scentralizowane zarządzanie leczeniem ma miejsce wtedy, gdy pacjenci z rzadkimi chorobami nowotworowymi są leczeni w **ośrodkach specjalistycznych**, tj. w instytucjach o wysokim stopniu multidyscyplinarnej wiedzy klinicznej, placówkach zaawansowanych technologicznie i prowadzących otwarte badania kliniczne⁶⁷⁷. Podejście to zdecydowanie popiera środowisko specjalistów^{678,679,680}. Ma ono zasadnicze znaczenie dla **szybkiej diagnostyki i odpowiedniego leczenia** pacjentów, jak

⁶⁷² Gatta G., Trama A., Capocaccia R., Epidemiology of rare cancers and inequalities in oncologic outcomes Eur J Surg Oncol., styczeń 2019 r.; 45(1): s. 3–11.

⁶⁷³ Tabela EURORDIS: „Mapping out the similarities and differences between rare cancers and rare diseases” (Określanie podobieństw i różnic między nowotworami rzadkimi i chorobami rzadkimi), 2015–2016.

⁶⁷⁴ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 9).

⁶⁷⁵ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1).

⁶⁷⁶ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 3 i 9).

⁶⁷⁷ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 3).

⁶⁷⁸ Institut National du Cancer. Organisation de la prise en charge des patients adultes atteints de cancers rares – Bilan de l'activité 2011. W: Wydawnictwo INCa. Zbiór: Bilans d'activités et évaluations, Boulogne-Billancourt, 2012.

⁶⁷⁹ Krajowa Komisja Konsultacyjna Służby Zdrowia. Prescribed specialised services: commissioning intentions for 2013/14 (Zalecane usługi specjalistyczne: zamiary realizacji na lata 2013–2014), 2012 r.

⁶⁸⁰ Stordeur S., Vrijens F., Leroy R., Reference centres for adults with rare and complex cancers – Policy recommendations to improve organisation of care in Belgium Rev Epidemiol Sante Publique, 2016 r.; 64(1): s. 1–6.

również dla **wyników leczenia**, które są skorelowane z liczbą przypadków przypadających na dany ośrodek opieki zdrowotnej i świadczeniodawcę^{681,682}.

Wymagania dotyczące wdrożenia scentralizowanego zarządzania leczeniem w przypadku nowotworów rzadkich obejmują:

- podnoszenie świadomości istnienia i lokalizacji centrów wiedzy specjalistycznej;
- współpraca między lekarzami a instytucjami, począwszy od lekarzy ogólnych, zapewniająca ciągłość opieki nad pacjentem i właściwe zarządzanie całym procesem leczenia;
- wskazanie i odpowiednie oznaczenie ośrodków wiedzy specjalistycznej.

W tej ostatniej kwestii państwa członkowskie UE wezwano w 2009 r. w zaleceniu Rady do wskazania lub utworzenia takich ośrodków ds. chorób rzadkich⁶⁸³. Parlament Europejski w rezolucji z 2019 r. podkreślił „istotność ogólnounijnej współpracy w zapewnianiu skutecznego gromadzenia wiedzy, informacji i zasobów w celu skutecznego radzenia sobie w całej Unii z chorobami rzadkimi i przewlekłymi, w tym rzadkimi nowotworami; w związku z tym [zachęcił] Komisję, by wspierała tworzenie w UE wyspecjalizowanych ośrodków leczenia chorób rzadkich, które będą w pełni zintegrowane z europejskimi sieciami referencyjnymi”. PE zaproponował ponadto, aby „Komisja ogłosiła nowe zaproszenie do rozwoju nowych europejskich sieci referencyjnych oraz by nadal wpierała rozwój i rozbudowę modelu europejskiej sieci referencyjnej w sposób umożliwiający wyrównanie różnic geograficznych i uzupełnienie braków w wiedzy eksperckiej”; ostrzegł jednak, że „rozszerzenie europejskich sieci referencyjnych nie może zagrażać działaniu istniejących sieci na początkowym etapie”⁶⁸⁴.

Chociaż w kilku państwach członkowskich poczyniono znaczne postępy w **mapowaniu krajowej wiedzy specjalistycznej** o rzadkich schorzeniach, to nadal istnieją znaczne różnice w kierowaniu pacjentów z rzadkimi chorobami nowotworowymi i zarządzaniu nimi, na co wskazuje duża zmienność obserwowana przez sieć RARECAREnet przy szacowaniu stopnia centralizacji leczenia rzadkich chorób nowotworowych na podstawie danych o liczbie przyjęć do szpitali w siedmiu krajach europejskich⁶⁸⁵. Specjaliści wzywa zatem do dalszych starań o wyselekcjonowanie ośrodków wiedzy specjalistycznej w zakresie rzadkich chorób nowotworowych przy zastosowaniu spójnych kryteriów w całej UE.

Należy jednak wziąć pod uwagę kilka czynników ograniczających scentralizowane zarządzanie leczeniem.

Ze względu na małą liczbę przypadków i czas potrzebny na rozwój specjalistycznej wiedzy w dziedzinie rzadkich chorób nowotworowych **liczba ośrodków referencyjnych jest nieuchronnie ograniczona**. Ponieważ wiedza kliniczna wymagana obecnie w onkologii jest zróżnicowana, a opiekę nad pacjentami należy ujednoczyć, **ośrodki te muszą również współpracować ze sobą**⁶⁸⁶.

⁶⁸¹ Gatta G., Trama A., Capocaccia R., Epidemiology of rare cancers and inequalities in oncologic outcomes Eur J Surg Oncol., styczeń 2019 r.; 45(1): s. 3–11.

⁶⁸² Hillner B.E., Smith T.J., Desch C.E., Hospital and physician volumes or specialisation and outcomes in cancer treatment: importance of quality of cancer care J Clin Oncol., 2000 r.; 18(11): s. 2327–2340.

⁶⁸³ Rada Unii Europejskiej. Zalecenie Rady z dnia 8 czerwca 2009 r. w sprawie działań w dziedzinie rzadkich chorób. Dz.U. C 151/7 z 3.7.2009.

⁶⁸⁴ Rezolucja Parlamentu Europejskiego z dnia 12 lutego 2019 r. w sprawie wdrażania dyrektywy w sprawie transgranicznej opieki zdrowotnej, P8_TA(2019)0083, https://www.europarl.europa.eu/doceo/document/TA-8-2019-0083_PL.html.

⁶⁸⁵ Gatta G., Capocaccia R., Botta L. i in., Burden and centralised treatment in Europe of rare tumours: results of RARECAREnet-a population-based study Lancet Oncol., sierpień 2017 r.; 18(8): s. 1022–1039 (dane za lata 1999-2007).

⁶⁸⁶ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 3).

Ponadto by maksymalnie wykorzystać wiedzę kliniczną i nie przeciążać zasobów eksperckich, zaleca się **skupienie** zadań ośrodków wiedzy specjalistycznej o rzadkich chorobach nowotworowych **na multidyscyplinarnym podejmowaniu strategicznych decyzji klinicznych**, diagnostyce patologicznej i złożonych metodach leczenia, a niekoniecznie obciążać je odpowiedzialnością za całą drogę kliniczną wszystkich chorych. Należy ograniczyć migrację zdrowotną wynikającą ze scentralizowanego zarządzania leczeniem, ponieważ oznacza ona niekorzystny wpływ na jakość życia pacjentów, a także koszty dla nich, ich rodzin i społeczeństwa⁶⁸⁷.

Należy też pamiętać, że w odróżnieniu od innych, bardzo specyficznych chorób rzadkich, rzadkie przypadki nowotworów są **często leczone równolegle z ich pospolitymi odpowiednikami**, a zatem objęte zakresem działalności ośrodków zajmujących się chorobami nowotworowymi, lecz niewyspecjalizowanych w nowotworach rzadkich⁶⁸⁸.

Dlatego też **tworzenie sieci w dziedzinie ochrony zdrowia ma szczególne znaczenie dla uzupełnienia scentralizowanego zarządzania leczeniem rzadkich rodzajów nowotworów**⁶⁸⁹.

ii. Tworzenie sieci kontaktów między świadczeniodawcami i ośrodkami opieki zdrowotnej

Koncepcja ESR i połączonych sieci krajowych

Sieci opieki zdrowotnej definiuje się jako inicjatywy współpracy w dziedzinie ochrony zdrowia między świadczeniodawcami, którzy mają wspólne, jasno określone cele i zasady⁶⁹⁰. W UE w 2017 r. uruchomiono europejskie sieci referencyjne (ESR), zgodnie z dyrektywą w sprawie transgranicznej opieki zdrowotnej z 2011 r.⁶⁹¹ Było to wynikiem zdecydowanych działań całej społeczności zajmującej się chorobami rzadkimi i nowotworami rzadkimi jako sieci świadczeniodawców zajmujących się wspólną kategorią chorób rzadkich. Cztery z nowo powstałych sieci są poświęcone nowotworom rzadkim: EURACAN (europejska sieć referencyjna ds. rzadkich nowotworów złośliwych u dorosłych), EuroBloodNet (europejska sieć referencyjna ds. hematologicznych chorób nowotworowych u dorosłych), ERN PaedCan (europejska sieć referencyjna ds. chorób nowotworowych u dzieci, *zob. sekcja 4.2.*) oraz ERN GENTURIS (europejska sieć referencyjna ds. genetycznego ryzyka zachorowania na raka).

Są one definiowane jako sieci partnerskie⁶⁹², obejmujące ośrodki wiedzy specjalistycznej zatwierdzone przez odpowiednie krajowe organy opieki zdrowotnej, a ponadto obejmują europejskie grupy rzeczniactwa pacjentów (ePAG), ustanowione przez EURORDIS, by wspierać udział pacjentów w rozwoju tych sieci⁶⁹³. Zaleca się, by ESR zajmujące się nowotworami rzadkimi współpracowały z krajowymi (lub regionalnymi) sieciami „węzłowymi”⁶⁹⁴, łącząc centra wiedzy specjalistycznej z bardziej ogólnymi

⁶⁸⁷ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 3).

⁶⁸⁸ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1).

⁶⁸⁹ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1 i 3).

⁶⁹⁰ Provan K.G., Fish A., Sydow J., Interorganisational networks at the network level: a review of the empirical literature on whole networks *Journal of Management*, 2007 r.; 33: s. 479.

⁶⁹¹ Dyrektywa Parlamentu Europejskiego i Rady 2011/24/UE z dnia 9 marca 2011 r. w sprawie stosowania praw pacjentów w transgranicznej opiece zdrowotnej. Dz.U. L 88/45 z 4.4.2011.

⁶⁹² Sieci opieki zdrowotnej składające się wyłącznie z wysoko wyspecjalizowanych ośrodków referencyjnych, dobrze przystosowanych do opracowywania wytycznych dotyczących praktyki klinicznej, prowadzenia edukacji medycznej i kształcenia pacjentów lub prowadzenia badań klinicznych i translacyjnych. Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 3).

⁶⁹³ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 10).

⁶⁹⁴ Sieci („węzłowe”) to sieci opieki zdrowotnej łączące ośrodki funkcjonujące jak „dostawcy” wiedzy klinicznej lub usług ekspertów (węzły) i inne zachowujące się jak „użytkownicy” (ośrodki pośrednie); dostosowane do świadczenia usług opieki zdrowotnej na rzecz pacjentów,

ośrodkami zajmującymi się częściowo lub w całości zarządzaniem niektórymi rzadkimi przypadkami nowotworów, a tym samym stając się sieciami sieci⁶⁹⁵.

Wkład ESR w wysokiej jakości leczenie nowotworów rzadkich

Udostępnianie przypadków klinicznych

ESR bezpośrednio przyczyniają się do leczenia nowotworów rzadkich przez udostępnianie przypadków klinicznych z wykorzystaniem bezpiecznej platformy internetowej łączącej lekarzy specjalistów. Pozwala to na szybszą diagnozę i leczenie pacjentów, zapewniając im dostęp do multidyscyplinarnej oceny eksperckiej przy każdej strategicznej decyzji klinicznej⁶⁹⁶. Pokazuje to potencjał ESR w zakresie szybkiego przekazywania wysoko specjalistycznej wiedzy na temat diagnostyki i leczenia nowotworów rzadkich, bez konieczności przejazdu pacjenta.

Racjonalizacja zarządzania leczeniem pacjenta

Również racjonalizacja zarządzania leczeniem pacjenta stanowi ważny cel ESR⁶⁹⁷. W tej kwestii niezbędne wsparcie krajowe dla ośrodków należących do tych sieci przyczyniło się do dalszego rozwoju wiedzy specjalistycznej o rzadkich chorobach nowotworowych w państwach członkowskich UE, choć nadal pozostaje wiele do zrobienia, zwłaszcza w krajach Europy Wschodniej⁶⁹⁸. Ponadto ESR pozwalają zająć się problemem zarządzania rzadkimi rodzajami nowotworów w małych krajach, w których żadna instytucja z definicji nie będzie w stanie przyjąć wystarczającej liczby pacjentów z pewnymi rzadkimi rodzajami nowotworów, aby osiągnąć wartość progową powszechnie przyjmowaną przy określaniu wysoko wyspecjalizowanych ośrodków wiedzy. ESR mają wskazywać „ośrodki stowarzyszone” w takich krajach, które następnie będą współpracowały z „pełnoprawnymi członkami” sieci⁶⁹⁹.

Opracowanie wytycznych dotyczących praktyki klinicznej

Opracowywanie „najnowocześniejszych” instrumentów, takich jak wytyczne dotyczące praktyki klinicznej, stanowi wyzwanie ze względu na wysoki stopień niepewności w dziedzinie nowotworów rzadkich. Niezwykle istotne jest jednak to, aby do pacjentów dotkniętych chorobą podchodzić zgodnie z wytycznymi diagnostycznymi i terapeutycznymi uzgodnionymi przez środowisko medyczne. Choć istnieje szereg wytycznych dotyczących praktyki klinicznej w zakresie rzadkich nowotworów, to oceniając ich jakość we wspólnym działaniu w zakresie nowotworów rzadkich (JARC), zaobserwowano znaczące różnice. Dlatego też środowisko zajmujące się rzadkimi odmianami nowotworów wzywa do opracowania wysokiej jakości regularnie aktualizowanych wytycznych dotyczących poszczególnych chorób: obejmujących całe spektrum chorób i zalecenia dotyczące wszystkich obrazów klinicznych, uwzględniających trudności w gromadzeniu danych naukowych o nowotworach rzadkich⁷⁰⁰,

maksymalizujące ich szanse na dostęp do wysokiej jakości wiedzy klinicznej i minimalizujące migrację zdrowotną lub dorozumiane racjonowanie zasobów. Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 3).

⁶⁹⁵ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 3).

⁶⁹⁶ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 3).

⁶⁹⁷ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 3).

⁶⁹⁸ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 10).

⁶⁹⁹ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 3).

⁷⁰⁰ Zob. sekcja 4.1.3 lit. b) ppkt (i).

pozwalających pacjentom i lekarzom wspólnie podejmować decyzje kliniczne w warunkach niepewności⁷⁰¹ oraz umożliwiających udział przedstawicieli pacjentów⁷⁰².

Z definicji ESR to idealne miejsce do wypracowania wielodyscyplinarnego konsensusu reprezentatywnych ekspertów i korzystania z wszystkich dostępnych dowodów na skuteczność praktyk klinicznych. ESR mogą zatem poprawić możliwości opracowania wytycznych dotyczących praktyki klinicznej w zakresie nowotworów rzadkich, jak również monitorowanie zgodności praktyki klinicznej z tymi wytycznymi. To z kolei pomoże włączyć wiele ośrodków do ESR i wpłynąć na zarządzanie poszczególnymi przypadkami⁷⁰³.

Zalecenie: Korzystanie z doświadczeń ESR

Ustanowienie europejskich sieci referencyjnych w dziedzinie rzadkich chorób nowotworowych pomogło wskazać wiele dodatkowych możliwości wartościowej ogólnoeuropejskiej współpracy z udziałem wszystkich zainteresowanych stron, z wykorzystaniem infrastruktury sieci do kontaktów między ośrodkami w całej Europie, a także do łączenia ośrodków specjalistycznych z ośrodkami bardziej ogólnymi, czyli do powstania sieci sieci.

Jednak aby to osiągnąć, ESR muszą otrzymywać długoterminowe wsparcie finansowe.

Kształcenie i szkolenie medyczne

Również w kształceniu i szkoleniu medycznym występują szczególne wyzwania dotyczące nowotworów rzadkich. Pracownicy ośrodków specjalizujących się w leczeniu rzadkich chorób nowotworowych są niewielką grupą docelową. Skierowane do nich akcje edukacyjne mogą więc napotykać trudności z pozyskaniem prywatnego sponsorowania i potrzebują odpowiedniego wsparcia publicznego⁷⁰⁴. Ponadto ze względu na zaangażowanie udział „łączących”⁷⁰⁵ w leczeniu rzadkich chorób nowotworowych zaleca się, aby pracownicy takich ośrodków ogólnych byli w pierwszej kolejności obejmowani programami kształcenia w zakresie rzadkich chorób nowotworowych. Inaczej niż w przypadku nowotworów powszechnych, pracownicy służby zdrowia nie uzyskują praktycznego wzmocnienia otrzymanych informacji, tj. po wzięciu udziału w akcji edukacyjnej poświęconej rzadkiemu nowotworowi prawdopodobnie nieprędko (albo rzadko) będą mieć do czynienia z tym nowotworem, co ma krytyczny wpływ na korzyści płynące z kształcenia. Dotyczy to zwłaszcza lekarzy ogólnych, których wiedza o wyzwaniach w leczeniu rzadkich odmian nowotworów ma zasadnicze znaczenie dla terminowej diagnozy i właściwego skierowania nowych przypadków nowotworów rzadkich⁷⁰⁶.

Aby rozwiązać wyżej wspomniane problemy, JARC zaleca, aby edukację medyczną w dziedzinie rzadkich chorób nowotworowych kształtować w oparciu o tworzenie sieci kontaktów. ESR mogą dostarczać dostosowane treści edukacyjne na temat rzadkich chorób nowotworowych, kształtować

⁷⁰¹ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 6).

⁷⁰² Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 7).

⁷⁰³ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 7).

⁷⁰⁴ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 4).

⁷⁰⁵ Zob. przypis 694 w celu zapoznania się z definicją ośrodków „łączących” w ramach sieci „hub-and-spoke” („węzłowych”).

⁷⁰⁶ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 4).

metody szkolenia na odległość, a także ułatwiać przyznawanie stypendiów w „węzłach” młodym onkologom z ośrodków „łączących”. ESR mogłyby również przyczynić się do zapewnienia możliwości rozwoju zawodowego w dziedzinie rzadkich chorób nowotworowych, zachęcając tym samym pracowników służby zdrowia do poświęcenia się leczeniu tych schorzeń.

Zalecenie: Wykorzystanie potencjału ESR w zakresie kształcenia

Należy pozwolić europejskim sieciom referencyjnym odegrać pewną rolę w poprawie możliwości kształcenia i szkolenia medycznego w dziedzinie rzadkich chorób nowotworowych, zgodnie z zaleceniami ze wspólnego działania w zakresie nowotworów rzadkich. Aby to osiągnąć, trzeba długoterminowo zapewnić finansowanie ESR w celu zagwarantowania ich trwałości i zdolności.

Ponadto udział europejskich grup rzecznicstwa pacjentów ESR (ePAG) ma podstawowe znaczenie dla zapewnienia niezbędnych narzędzi informacyjnych dla pacjentów i ich opiekunów. Organizacje pacjentów angażują się także w tworzenie kursów dla pacjentów i opiekunów. Pacjenci mogą prowadzić własne szkolenia i uczestniczyć w opracowywaniu kursów dla rzeczników pacjentów prowadzonych przez Europejską Akademię Pacjentów (EUPATI), Europejską Szkołę Onkologii (ESO), Europejską Organizację ds. Badań i Leczenia Nowotworów (EORTC), a także w opracowywaniu Ścieżki Rzecznictwa Pacjentów na corocznych kongresach głównych europejskich stowarzyszeń zawodowych, takich jak Europejskie Towarzystwo Onkologii Medycznej (ESMO) i Europejskie Stowarzyszenie Hematologii (EHA)⁷⁰⁷.

Wymogi dotyczące dalszego rozwoju ESR

Tworzenie sieci kontaktów uważa się za najlepszą metodę zarządzania rzadkimi nowotworami⁷⁰⁸. Społeczność zajmująca się rzadkimi odmianami nowotworów jednomyślnie uznaje ESR za szansę na radykalną zmianę w leczeniu rzadkich odmian nowotworów w Europie. W związku z tym JARC wzywa, aby wszystkie strategie polityczne dotyczące rzadkich odmian nowotworów opierały się na tym podejściu⁷⁰⁹.

Z punktu widzenia systemu opieki zdrowotnej oznacza to przede wszystkim dalszą rozbudowę ESR w państwach UE; każde powinno mieć co najmniej jednego „pełnoprawnego” lub „stowarzyszonego” członka w każdej ESR. Ponadto zaleca się, aby państwa członkowskie UE w pełni zintegrowały ESR z krajowymi systemami opieki zdrowotnej⁷¹⁰, w szczególności przez ustanowienie i utrzymanie krajowych sieci dla wszystkich „rodzin” rzadkich nowotworów, współpracę z ESR i zapewnienie dostępu do wiedzy eksperckiej, a także przez promowanie wiedzy o istnieniu i roli ESR⁷¹¹.

Z perspektywy indywidualnych zmagania pacjentów z rakiem – jako że ESR częściowo bazują na przekazywaniu niektórych pacjentów między kilkoma ośrodkami opieki zdrowotnej należącymi do sieci – należy zwrócić szczególną uwagę na rozwiązywanie kwestii niedostatecznego wdrażania

⁷⁰⁷ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 4).

⁷⁰⁸ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 4).

⁷⁰⁹ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 9).

⁷¹⁰ Zalecenia EURORDIS w sprawie włączenia europejskich sieci referencyjnych (ESR) do krajowych systemów opieki zdrowotnej, 2018 r.

⁷¹¹ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 9 i 10).

dyrektywy w sprawie stosowania praw pacjentów w transgranicznej opiece zdrowotnej^{712,713}, a także na skuteczną współpracę krajowych punktów kontaktowych z ESR, by ułatwić przekazywanie chorych na nowotwory rzadkie poza granice UE⁷¹⁴.

Ponieważ ESR są wciąż młodymi sieciami, społeczność osób cierpiących na rzadkie choroby nowotworowe jednomyślnie opowiada się za zapewnieniem im stabilności finansowej za pomocą odpowiedniej, długoterminowej puli środków finansowych zarówno na szczeblu UE, jak i krajowym⁷¹⁵. Ta pula środków finansowych powinna pokrywać koszty bezpośrednio związane z funkcjonowaniem ESR, w tym centrów usługowych zajmujących się zarządzaniem procesami tworzenia sieci kontaktów oraz odpowiednich systemów informatycznych służących do dzielenia się przypadkami i obciążeniem medycznym w postaci telekonsultacji prowadzonych przez ośrodki eksperckie. Parlament Europejski również opowiada się za dalszym zrównoważonym rozwojem i finansowaniem ESR oraz wspierających je sieci pacjentów⁷¹⁶. Ponadto JARC zaleca zbadanie możliwości zaangażowania przemysłu farmaceutycznego w ESR i związane z nimi sieci krajowe przez utworzenie solidnych ram skutecznego zarządzania konfliktami interesów i zachowanie niezależności tych sieci⁷¹⁷.

Choć formalna ocena opłacalności tworzenia sieci w dziedzinie rzadkich rodzajów nowotworów nie wydaje się konieczna, JARC podkreśla, że ESR i powiązane z nimi sieci krajowe powinny regularnie dostarczać dane o swojej działalności, wynikach i kosztach oraz o ich wpływie w obrębie systemu opieki zdrowotnej, wyrażonym jako liczba pacjentów korzystających z ich pomocy w danej populacji⁷¹⁸. Należy to osiągnąć, wdrażając systemy zapewniania jakości na poziomie sieci, podmiotów świadczących opiekę zdrowotną (przy zastosowaniu odrębnych standardów dla „węzłów”/ośrodków referencyjnych i ośrodków „łączących”) oraz poszczególnych pacjentów, by zapewnić ochronę, a także poprawę jakości diagnozy i opieki, poprawę przeżywalności i jakości życia pacjentów, kształcenie pracowników sieci i bezpieczną podstawę badań klinicznych nad rzadkimi rodzajami nowotworów⁷¹⁹.

Zalecenie: ESR w centrum unijnej polityki rzadkich chorób nowotworowych

Dalszy rozwój unijnej polityki rzadkich chorób nowotworowych powinien skupiać się wokół roli europejskich sieci referencyjnych, by wykorzystać potencjał tej nowej infrastruktury współpracy, w tym przez bezpieczne, długoterminowe finansowanie ich funkcjonowania.

iii. Krajowe planowanie w zakresie rzadkich chorób nowotworowych

Planowanie na szczeblu krajowym, w ramach planów zwalczania nowotworów, należy do najważniejszych instrumentów polityki w zakresie nowotworów na poziomie krajowym oraz

⁷¹² Dyrektywa Parlamentu Europejskiego i Rady 2011/24/UE z dnia 9 marca 2011 r. w sprawie stosowania praw pacjentów w transgranicznej opiece zdrowotnej. Dz.U. L 88/45 z 4.4.2011.

⁷¹³ Rezolucja Parlamentu Europejskiego z dnia 12 lutego 2019 r. w sprawie wdrażania dyrektywy w sprawie transgranicznej opieki zdrowotnej, P8_TA(2019)0083, https://www.europarl.europa.eu/doceo/document/TA-8-2019-0083_PL.html (dostęp: maj 2020 r.).

⁷¹⁴ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 10).

⁷¹⁵ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 9 i 10).

⁷¹⁶ Rezolucja Parlamentu Europejskiego z dnia 12 lutego 2019 r. w sprawie wdrażania dyrektywy w sprawie transgranicznej opieki zdrowotnej, P8_TA(2019)0083, https://www.europarl.europa.eu/doceo/document/TA-8-2019-0083_PL.html (dostęp: maj 2020 r.).

⁷¹⁷ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 9).

⁷¹⁸ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 9).

⁷¹⁹ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 3).

koordynacji tej polityki na poziomie europejskim⁷²⁰, z korzyścią dla osób cierpiących na rzadkie choroby nowotworowe. Plany te mogą wspierać holistyczne **podejście do rzadkich nowotworów, od epidemiologii do przewyższenia choroby** oraz od badań klinicznych do dostępu pacjentów do leczenia. Co więcej, ze względu na znaczenie tworzenia krajowych sieci kontaktów równoległe do ESR i w ich ramach szczególne znaczenie ma **powiązanie szczebla krajowego z unijnym przy tworzeniu polityki w zakresie rzadkich rodzajów nowotworów**⁷²¹.

Niestety rzadkie nowotwory są obecnie niewystarczająco uwzględniane, a nawet całkowicie nieobecne w NCCP, co zaobserwowano w badaniu przeprowadzonym w ramach JARC przez Kataloński Instytut Onkologii⁷²². Dlatego JARC wzywa, aby w każdym krajowym planie walki z rakiem znalazła się **sekcja poświęcona rzadkim nowotworom u dorosłych** oraz **sekcja poświęconą nowotworom dziecięcym**, a także aby rozwijać **synergię z krajowymi planami zwalczania chorób rzadkich**⁷²³.

Zalecenie: Ujęcie polityki walki z nowotworami rzadkimi w krajowych planach walki z rakiem

Krajowa polityka państw członkowskich w zakresie walki z rakiem powinna wspierać specjalne i dostosowane do potrzeb podejście do rzadkich nowotworów u dorosłych i nowotworów dziecięcych, przewidywać gromadzenie informacji na temat inicjatyw UE i w pełni łączyć europejskie sieci referencyjne z krajowym systemem opieki zdrowotnej, zwłaszcza przez tworzenie i utrzymywanie krajowych sieci dotyczących wszystkich „rodzin” nowotworów rzadkich.

b. Dostępność leczenia i terapii dla chorych na nowotwory rzadkie

i. Badania i rozwój innowacyjnych terapii

Badania i rozwój innowacyjnych terapii w zakresie rzadkich nowotworów napotykają na liczne **utrudnienia strukturalne**, których rozwiązanie zaproponował JARC⁷²⁴.

Trudność w gromadzeniu dowodów

Wpływa ona na wszystkie etapy procesu badawczego, od podstawowego, poprzez translację, aż do klinicznego, ze względu na:

- niedobór próbek biologicznych od pacjentów (do przechowywania w biobankach);
- **trudność w organizowaniu badań klinicznych** i ograniczoną „precyzję statystyczną”;
- brak wiedzy klinicznej i nieoptymalną jakość opieki, co negatywnie wpływa na uzyskiwane wyniki⁷²⁵.

Dlatego JARC **opowiada się za pełnym wykorzystaniem potencjału tworzenia sieci kontaktów**. ESR, jak również powiązane z nimi sieci i bazy danych klinicznych, może przyczynić się do:

⁷²⁰ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1).

⁷²¹ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 9).

⁷²² Prades J., Weinman A., Le Cam Y. i in., Priorities on rare cancers' policy in National Cancer Control Plans (NCCPs): A review conducted within the framework of EU-JARC Joint-Action. *Journal Cancer Policy*, 2020 r.; 24.

⁷²³ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 9 i 10).

⁷²⁴ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 5).

⁷²⁵ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 5).

- **ułatwienia działania biobanku** w scentralizowanych lub wirtualnych repozytoriach, zwłaszcza dzięki wspólnym praktykom gromadzenia i przechowywania próbek;
- **zwiększenia liczby skierowań pacjentów** na badania kliniczne i **obniżenie kosztów** tych badań dzięki korzyściom skali, dostępowi do danych klinicznych i optymalizacji jakości opieki;
- **zmniejszenie wymogów administracyjnych** we współpracy w badaniach klinicznych i funkcjonowaniu biobanków dzięki przyspieszeniu zawierania porozumień między partnerami⁷²⁶.

Dodatkowe proponowane rozwiązania:

- pokrycie w razie potrzeby obciążenia wynikającego z działania scentralizowanego biobanku;
- **zniesienie ograniczeń prawnych utrudniających zbieranie biopróbek, ze szczególnym uwzględnieniem przepisów o ochronie danych osobowych;**
- **zachęcanie do stosowania innowacyjnych metod projektowania badań klinicznych** (w tym badań nierandomizowanych, wnioskowania bayesowskiego, stosowania zastępczych punktów końcowych⁷²⁷), maksymalizacja szans na maksymalną skuteczność nowych metod leczenia bez niewłaściwego rozszerzania kryteriów kwalifikowalności, a także wykorzystanie **mechanizmów adaptacyjnych** pozwalających dostosowywać trwające badania kliniczne srosownie do nowo uzyskanych danych;
- zawieranie umów z organizacjami badawczymi, zarządzanie organizacją badań klinicznych w celu dalszego obniżenia ich kosztów;
- zaangażowanie organizacji pacjentów w decyzje o priorytetach i projektach badań klinicznych, a także ich wspieranie i ewentualne finansowanie;
- wspieranie szerokiego otwarcia i transgranicznego dostępu do badań klinicznych⁷²⁸;
- refleksję nad możliwościami użycia sztucznej inteligencji (SI) do wykorzystania dużych zbiorów danych, by uzupełnić badania kliniczne, gromadząc dowody⁷²⁹.

Zalecenie: Poprawa funkcjonowania środowiska badań nad rzadkimi nowotworami

Zalecenia ze wspólnego działania w zakresie rzadkich chorób nowotworowych (JARC), mające na celu poprawę funkcjonowania środowiska badań nad takimi chorobami, należy włączyć do europejskiego planu walki z rakiem i nowej strategii farmaceutycznej UE. Obejmowałoby to zachęcanie do opracowywania i stosowania innowacyjnych metod projektowania badań klinicznych oraz poprawę transgranicznego dostępu do tych badań.

⁷²⁶ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 5).

⁷²⁷ Kliniczne punkty końcowe (lub wyniki) są miarą wpływu leczenia na pacjentów i stosuje się je do oceny stosunku korzyści do ryzyka w badaniach klinicznych; można je zmienić na zastępcze punkty końcowe, tj. wskaźniki pośrednie mające na celu przewidywanie, a nie obserwację efektu (np. zmniejszanie się rozmiarów guza zamiast długoterminowej przeżywalności pacjenta), co pozwoli na szybsze uzyskanie wyników; Schuster Bruce C., Brhlikova P., Heath J., McGettigan P., The use of validated and nonvalidated surrogate endpoints in two European Medicines Agency expedited approval pathways: A cross-sectional study of products authorised 2011-2018. PLoS Med, 10 września 2019 r.; 16(9): e1002873.

⁷²⁸ Zob. rozdział 3 podsekcja o transgranicznym dostępie do badań klinicznych.

⁷²⁹ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: Dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 5 i 8).

Brak dostępnych danych epidemiologicznych i klinicznych wysokiej jakości

Jak przy pozostałych nowotworach, prace nad nowotworami rzadkimi zyskują dzięki gromadzeniu danych w rejestrach nowotworów, wykorzystywanych głównie przez RARECAREnet i mających kluczowe znaczenie dla badań. Niestety **dane epidemiologiczne dostępne w rejestrach nowotworów mają nieoptymalną jakość** ze względu na dużą zmienność w pobieraniu próbek, wynikającą z małej liczby pacjentów, nieprecyzyjnych informacji, podawanych wyłącznie w oparciu o topografię, a nie morfologię⁷³⁰, co utrudnia identyfikację danych dotyczących poszczególnych rzadkich jednostek chorobowych⁷³¹, oraz z niewłaściwej rejestracji przypadków, wynikającej z błędnej diagnozy lub błędnej klasyfikacji przez podmioty rejestrujące⁷³². JARC sugeruje rozwiązanie tych kwestii przez opracowanie nowych metod statystycznych, dostosowanych do nowotworów rzadkich, podwójne zgłaszanie danych (na podstawie topografii i morfologii), a także **szczegółowe kontrole jakości i zalecenia dotyczące rejestracji nowotworów rzadkich w rejestrach nowotworów**⁷³³.

Ponadto **często brakuje istotnych klinicznie danych o rzadkich odmianach nowotworów, np. o ich wykrywaniu, ocenie stopnia zaawansowania i leczeniu**, gdyż takie dane rzadko trafiają do rejestrów nowotworów⁷³⁴, a rejestry nowotworów nie są odpowiednio powiązane z rejestrami klinicznymi⁷³⁵. W związku z tym JARC podkreśla potencjał **rejestrów chorób rzadkich ESR**, tj. rejestrów klinicznych utworzonych przez ESR⁷³⁶ zgodnie z zaleceniem Rady UE w sprawie wdrożenia rejestrów i baz danych o chorobach rzadkich, powiązanych z rejestrami chorób nowotworowych⁷³⁷, a także ze szpitalami, krajowymi sieciami ds. rzadkich odmian nowotworów, administracyjnymi i badawczymi bazami danych itp., by wspierać szeroką interoperacyjność danych⁷³⁸.

Ponadto nadal istnieje znaczna niepewność co do **wpływu nowego ogólnego rozporządzenia UE o ochronie danych** na te rejestry. JARC opowiada się zatem za przyznaniem **zwolnień dla rejestrów chorób nowotworowych**, by mogły one funkcjonować bez konieczności uzyskania indywidualnej zgody pacjenta, za opracowaniem **prawa obywateli Unii do wyrażenia „jednorazowej zgody” na wykorzystanie ich danych dotyczących zdrowia** w przyszłych badaniach, przeciwko dodatkowym wymogom dotyczącym „ponownej zgody” na prowadzenie rejestrów klinicznych oraz za wspieraniem **prostych procedur przekazywania danych** przez instytucje i ponad granicami w UE⁷³⁹.

Niedobór odpowiednich funduszy publicznych

⁷³⁰ Zob. informacje w sekcji 4.1.1. dotyczące kodów topograficznych i morfologicznych nowotworów.

⁷³¹ Wykaz nowotworów rzadkich RARECAREnet (uzyskany ze strony internetowej RARECAREnet: http://www.rarecarenet.eu/rarecarenet/images/Resources/RARECAREnet_list_of_rare_cancers_Dec15.xlsx; dostęp: luty 2020 r.). Każdą rzadką jednostkę nowotworową definiuje się przez połączenie kodów topograficznych i morfologicznych ICD-O-3.

⁷³² Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 2).

⁷³³ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 2).

⁷³⁴ Siesling S, Louwman WJ, Kwast A, i in. Uses of cancer registries for public health and clinical research in Europe: Results of the European Network of Cancer Registries survey among 161 population-based cancer registries during 2010-2012. Eur J Cancer, 2015 r.; 51(9): s. 1039-49.

⁷³⁵ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 2).

⁷³⁶ Parlament Europejski i Rada Unii Europejskiej. Dyrektywa Parlamentu Europejskiego i Rady 2011/24/UE z dnia 9 marca 2011 r. w sprawie stosowania praw pacjentów w transgranicznej opiece zdrowotnej. Dz.U. L 88/45 z 4.4.2011.

⁷³⁷ Zalecenie Rady z dnia 8 czerwca 2009 r. w sprawie działań w dziedzinie rzadkich chorób. Dz.U. C 151/7 z 3.7.2009.

⁷³⁸ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 2).

⁷³⁹ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 2).

Badania nad rzadkimi chorobami nowotworowymi korzystają z inicjatyw wspierających badania nad chorobami rzadkimi⁷⁴⁰, takich jak Europejski wspólny program w zakresie chorób rzadkich (EJPRD), zapoczątkowany w 2019 r. i finansowany z unijnego programu „Horyzont 2020”⁷⁴¹, lub inicjatywy Międzynarodowego Konsorcjum na rzecz Badań nad Rzadkimi Chorobami (IRDiRC), ale **w niewystarczającym stopniu z instrumentów finansowania badań nad rakiem**. Dlatego JARC zaleca, aby kwalifikowalne nowotwory rzadkie jednoznacznie ujmowano w publicznych zaproszeniach do składania wniosków dotyczących projektów badawczych oraz aby **na szczelbu unijnym istniały mechanizmy zapewniające, że na walkę z rzadkimi nowotworami przyznawane będą odpowiednie kwoty ze środków finansowych przeznaczonych na walkę z rakiem**⁷⁴².

Takie finansowanie mogłoby w szczególności wspierać akademickie, inspirowane przez naukowców badania kliniczne w dziedzinach o szczególnym znaczeniu dla nowotworów rzadkich, w których prawdopodobieństwo inwestycji prywatnych jest mniejsze, takich jak badania dotyczące repozycjonowania leków, historii naturalnej rzadkich nowotworów⁷⁴³, stosowania leków poza wskazaniami rejestracyjnymi⁷⁴⁴ i stosowania indywidualnego⁷⁴⁵, badania nad optymalizacją zarządzania nowotworami rzadkimi w opiece zdrowotnej oraz multimodalne metody leczenia, w tym chirurgiczne i radiologiczne⁷⁴⁶.

Niska atrakcyjność prywatnych inwestycji w badania naukowe

Ograniczone możliwości wprowadzenia do obrotu ze względu na małą populację pacjentów zniechęcają firmy farmaceutyczne i inne firmy do opracowywania nowych leków na rzadkie choroby nowotworowe⁷⁴⁷. Uznaje się, że w tym zakresie zasadniczą rolę w ciągu ostatnich lat odegrały mechanizmy przewidziane w **rozporządzeniu UE w sprawie sierocych produktów leczniczych**, polegające na scentralizowanej procedurze oznaczania sierocych produktów leczniczych poprzez epidemiologiczne wykazanie rzadkości występowania choroby oraz na zachętach dla firm farmaceutycznych na badania, opracowywanie i wprowadzanie tych produktów do obrotu, pod nadzorem EMA^{748, 749}. Należy zauważyć, że w przypadku nowotworów dziecięcych rozporządzenie to uznano za nieskuteczne⁷⁵⁰ (zob. sekcja 4.2).

⁷⁴⁰ Nota faktograficzna Komisji Europejskiej dotycząca Światowego Dnia Chorób Rzadkich: https://ec.europa.eu/info/research-and-innovation/events/special-features/world-rare-diseases-day_en (dostęp: luty 2020 r.).

⁷⁴¹ Strona internetowa EJP RD: <https://www.ejprarediseases.org/index.php/about/> (dostęp: luty 2020 r.).

⁷⁴² Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 5).

⁷⁴³ Historia naturalna choroby od jej przyczyn do klinicznej manifestacji w przypadku braku leczenia (definicja opracowana przez amerykańskie Centra Kontroli i Zapobiegania Chorobom), <https://www.cdc.gov/csels/dsepd/ss1978/lesson1/section9.html> (dostęp: luty 2020 r.).

⁷⁴⁴ Według EMA stosowanie leków poza wskazaniami rejestracyjnymi to „stosowanie leku bez zatwierzonego wskazania lub w niezatwierdzonej grupie wiekowej, w niezatwierdzonych dawkach lub niezatwierdzoną drogą podania”. Źródło: <https://www.ema.europa.eu/en/about-us/about-website/glossary> (dostęp: kwiecień 2020 r.).

⁷⁴⁵ Według EMA indywidualne stosowanie to „stosowanie niedopuszczonego do obrotu leku bez badań klinicznych u konkretnych pacjentów w ściśle kontrolowanych warunkach”, co pomaga „udostępnić pacjentom leki, których opracowywanie nie zakończono”. Źródło: <https://www.ema.europa.eu/en/about-us/about-website/glossary> (dostęp: kwiecień 2020 r.).

⁷⁴⁶ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 5).

⁷⁴⁷ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 5).

⁷⁴⁸ Nota faktograficzna Komisji Europejskiej dotycząca sierocych produktów leczniczych: <https://ec.europa.eu/health/human-use/orphan-medicines> (dostęp: luty 2020 r.).

⁷⁴⁹ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 5 i 8).

⁷⁵⁰ Vassal G., Kearns P., Blanc P. i in., Orphan Drug Regulation: A missed opportunity for children and adolescents with cancer, Eur J Cancer 2017, 84: s. 149–158.

Niektórzy proponowali jednak możliwe usprawnienia tych ram regulacyjnych: optymalizację oznaczania danego produktu jako sierociego w onkologii na podstawie zachorowalności, a nie na chorobowości⁷⁵¹ lub bezpośrednio na podstawie wykazu nowotworów rzadkich sporządzonego przez RARECAREnet⁷⁵²; poprawę dostępu pacjentów do leków przez skrócenie okresu wyłączności rynkowej w przypadku rentownych leków sierocych oraz określenie poziomu dowodów klinicznych potrzebnych do zatwierdzenia leków sierocych⁷⁵³.

ii. *Zatwierdzanie metod leczenia, ustalanie cen, refundacja i prowadzenie terapii*

Ze względu na małe populacje pacjentów i niewielką wiedzę specjalistyczną wszelkie dane o leczeniu rzadkich chorób nowotworowych cechuje **wyższy stopień niepewności**; JARC wzywa do **uwzględnienia go we wszystkich procedurach regulacyjnych** dotyczących leczenia rzadkich nowotworów⁷⁵⁴.

W zatwierdzaniu i prowadzeniu terapii szczególne znaczenie mają różnorodne środowiska terapeutyczne łączące dostępność potencjalnie obiecujących terapii z generowaniem dalszych, rzeczywistych danych. W związku z tym JARC zaleca:

- zachęcanie do opracowywania mechanizmów przyspieszonego zatwierdzenia (np. **rejestracji etapowej**);
- uregulowanie **stosowania leków poza wskazaniami rejestracyjnymi i indywidualnego stosowania leków**;
- umożliwienie **pacjentom i lekarzom** podejmowania **wspólnych decyzji klinicznych o rozsądnym stopniu ryzyka**, by zapewnić leczenie ściśle wyselekcjonowanych podgrup pacjentów wobec niepewnych danych, np. o korzyściach wykazanych w niepotwierdzonych zastępczych punktach końcowych⁷⁵⁵, przy niewystarczającej liczbie możliwości terapeutycznych⁷⁵⁶.

Z perspektywy narzędzi medycyny opartej na wartościach, regulujących ustalanie cen i refundację, JARC opowiada się za:

- uznaniem **konceptji „wspólnej oceny klinicznej”⁷⁵⁷ za szczególnie istotną**, jako że większa niepewność może być wykorzystana jako domyślny powód odmowy przyznania środków na szczeblu krajowym;
- w przypadku wykorzystywania rzeczywistych danych do rewizji decyzji o zatwierdzeniu lub refundacji – tolerowaniem ewentualnego pogorszenia się wyników między środowiskiem

⁷⁵¹ Zob. wprowadzenie do rozdziału 4; wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1).

⁷⁵² Zob. sekcja 4.1.1; wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 8).

⁷⁵³ Picavet E., Cassiman D., Simoens S., Evaluating and improving orphan drug regulations in Europe: a Delphi policy study, Health Policy, listopad 2012 r., 108(1), s. 1–9.

⁷⁵⁴ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 8).

⁷⁵⁵ Której statystyczna korelacja z klinicznymi punktami końcowymi nie jest poparta dowodami w literaturze; Schuster Bruce C., Brhlikova P., Heath J., McGettigan P., The use of validated and nonvalidated surrogate endpoints in two European Medicines Agency expedited approval pathways: A cross-sectional study of products authorised 2011-2018. PLoS Med, 10 września 2019 r.; 16(9): e1002873.

⁷⁵⁶ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 8).

⁷⁵⁷ Zob. sekcja rozdziału 3 dotycząca mechanizmów ustalania cen i refundacji leków.

badania a środowiskiem klinicznym ze względu na trudności w przenoszeniu innowacyjnych terapii;

- rozważeniem zaangażowania przedsiębiorstw farmaceutycznych w mechanizmy dzielenia ryzyka w refundacji leków, by nie zniechęcać do inwestycji w rozwój leków⁷⁵⁸.

W tym względzie JARC podkreśla, że w decyzjach regulacyjnych lub w doradztwie naukowym dla przedsiębiorstw w zakresie rozwoju leków należy **wykorzystać całą specjalistyczną wiedzę kliniczną środowiska zajmującego się daną chorobą**, a także **pełny potencjał ESR** w zarządzaniu innymi niż klasyczne środowiskami regulacyjnymi, by zapewnić pacjentom leczenie⁷⁵⁹.

4.1.4. Rola organizacji pacjentów w odniesieniu do nowotworów rzadkich

Organizacje pacjentów mają solidną wiedzę o danym nowotworze rzadkim czy grupie takich nowotworów, o badaniach w danej dziedzinie oraz o całej ścieżce pacjenta, od dokładnej diagnozy po dostęp do odpowiedniego leczenia i dalszej opieki, przeżycie, a także pomoc na ostatnim etapie życia. Do specyfiki społeczności pacjentów cierpiących na nowotwory dziecięce – od dawna tworzącej zorganizowaną wielostronną społeczność na szczeblu europejskim – odniesiono się w sekcji 4.2.

Zgodnie z zaleceniem JARC pacjenci cierpiący na nowotwory rzadkie i zraszające ich organizacje należy angażować we wszystkie kluczowe obszary: podnoszenie świadomości i kształcenie, organizację opieki zdrowotnej, najnowocześniejsze leczenie i sprzęt, mechanizmy regulacyjne, ocenę technologii medycznych oraz badania kliniczne i translacyjne. Organizacje pacjentów mogą być łącznikiem między społecznością pacjentów, których reprezentują, a pracownikami służby zdrowia, organami podejmującymi decyzje i przemysłem; mogą one dzięki temu upowszechniać wiedzę o potrzebach i oczekiwaniach pacjentów.

Wiele z organizacji pacjentów cierpiących na nowotwory rzadkie – i choroby rzadkie mogące prowadzić do powstawania nowotworów – aktywnie uczestniczy w badaniach, w tym w unijnych projektach badawczych w ramach programu „Horyzont 2020” i inicjatywy w zakresie leków innowacyjnych (ILI). Mając dogłębną wiedzę o danej chorobie, wnoszą dużą wartość dodaną do tych badań, a także do opracowywania badań klinicznych pod kątem ich optymalizacji. Ponadto są zaangażowane w projekty dotyczące zdrowia publicznego oraz we wspólne działania UE w zakresie nowotworów i nowotworów rzadkich. Odgrywają również aktywną rolę w kształceniu pacjentów i ich rodzin, by pomóc im podejmować świadome decyzje o zdrowiu i leczeniu. Jest to szczególnie istotne w przypadku nowotworów rzadkich u dorosłych; należy szczególnie docenić coraz większą liczbę decyzji klinicznych podejmowanych wspólnie przez pacjentów i lekarzy jako wyraz właściwego podejścia do leczenia⁷⁶⁰. Ponadto organizacje pacjentów odgrywają istotną rolę w propagowaniu pomiaru wyników na podstawie informacji od pacjentów i ich doświadczeń oraz w udzielaniu informacji na ten temat, a także uczestniczą w sporządzaniu wytycznych dotyczących dobrych praktyk.

Ponadto ze względu na ich rozległą wiedzę specjalistyczną organizacje pacjentów cierpiących na nowotwory rzadkie muszą mieć możliwość istotnego udziału w opracowywaniu, sporządzaniu, wdrażaniu i ocenie wszystkich krajowych i europejskich inicjatyw, które ich dotyczą, w tym krajowych planów walki z rakiem i europejskiego planu walki z rakiem. Plany te można tworzyć według szablonów

⁷⁵⁸ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 8).

⁷⁵⁹ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 8).

⁷⁶⁰ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 6).

krajowych planów w zakresie chorób rzadkich w Europie⁷⁶¹ i europejskiego planu walki z nowotworami na rzecz dzieci i młodzieży z chorobą nowotworową opracowanych przez Europejskie Towarzystwo Onkologii Pediatricznej (SIOP Europe)⁷⁶².

Zalecenie: Wspieranie roli organizacji pacjentów w odniesieniu do nowotworów rzadkich

Rola organizacji pacjentów w dziedzinie nowotworów rzadkich ma kluczowe znaczenie dla wspierania pacjentów, ich rodzin i opiekunów, a także dla edukacji, badań i doskonalenia polityki. Ich działania, służące interesowi ogólnemu, powinny być w większym stopniu uznawane i wspierane przez UE i instytucje krajowe.

⁷⁶¹ Prades J., Weinman A., Le Cam Y. i in., Priorities on rare cancers' policy in National Cancer Control Plans (NCCPs): A review conducted within the framework of EU-JARC Joint-Action. *Journal Cancer Policy*, 2020 r.; s. 24.

⁷⁶² Vassal G., Schrappe M., Pritchard-Jones K. i in., The SIOPE strategic plan: A European cancer plan for children and adolescents, *J Cancer Policy* 2016, 8: s. 17–32.

4.2. Nowotwory dziecięce

KLUCZOWE USTALENIA I ZALECENIA: NOWOTWORY DZIECIĘCE

Wszystkie nowotwory dziecięce są nowotworami rzadkimi, mają one jednak swoją specyfikę związaną z wiekiem pacjenta, a także szczególne cechy biologiczne oraz aspekty kliniczne i organizacyjne, co trzeba uwzględnić w dostosowanych podejściach, strategiach i środkach, wykraczających poza zwykłą ekstrapolację świadczeń dla dorosłych.

Chociaż wszystkie rodzaje nowotworów dziecięcych to nowotwory rzadkie, stanowią jednak w Europie poważne obciążenie. **Nowotwory dziecięce są łącznie najważniejszą przyczyną spowodowanej chorobą śmierci dzieci powyżej pierwszego roku życia w Europie; co roku diagnozuje się ponad 35 tys. przypadków, a ponad 6 tys. małych pacjentów umiera.** Istnieją ponadto znaczne nierówności w dostępie do najlepszej dostępnej opieki i wiedzy eksperckiej w całej Europie, co powoduje **nawet 20% różnice we wskaźnikach przeżyć dzieci w państwach europejskich.**

Do najoczywistszych wymogów polityki należy poświęcenie większej uwagi potrzebie badań nad nowotworami dziecięcymi, w tym nad predyspozycjami genetycznymi do rozwoju nowotworu dziecięcego (kluczowy element szerszego programu badań nad nowotworami dziecięcymi). By rozwiązać problem nierównego poziomu inwestycji w badania nad nowotworami dziecięcymi, należy wprowadzić przejrzysty i ukierunkowany strumień finansowania unijnego na te badania oraz przeznaczyć środki budżetowe na wszystkie odnośne programy UE.

Wykształcenie nowego pokolenia specjalistów w dziedzinie nowotworów dziecięcych jest oczywistym priorytetem dla stałego dostępu do najnowszej wiedzy specjalistycznej. **W całej Europie potrzebny jest kompleksowy program szkoleń z zakresu onkologii pediatricznej, dostępny dla wszystkich państw członkowskich, co wymaga odpowiednich inwestycji.**

Status zawodowy onkologa dziecięcego powinien być uznawany we wszystkich państwach członkowskich. Ponadto należy rozważyć wzajemne uznawanie kwalifikacji w całej UE. Należy przewidzieć, na podstawie istniejących wytycznych europejskich, odpowiednie szkolenia dla specjalistów, którzy regularnie pracują z dziećmi cierpiącymi na nowotwory.

Również formuła programów tworzenia partnerstw wspiera podnoszenie poziomu kształcenia i wiedzy, umożliwia bowiem wymianę pracowników ośrodków leczenia nowotworów dziecięcych z różnych państw w celu dzielenia się specjalistyczną wiedzą. **Należy finansować ze środków unijnych, na zasadach niekonkurencyjnych, tworzenie partnerstw podmiotów świadczących usługi hematologii pediatricznej i onkologicznej opieki zdrowotnej w ramach ERN PaedCan, aby wspierać wzajemne uczenie się i poprawę standardów opieki w całej Europie.**

Z perspektywy regulacyjnej rozporządzenie UE w sprawie sierocych produktów leczniczych jest nieskuteczne w odniesieniu do opracowywania produktów leczniczych stosowanych w onkologii dziecięcej. Należy zmienić przepisy UE w tej dziedzinie, aby zaspokoić potrzeby dzieci i młodzieży chorych na raka i sprawić, by rozwój medycyny dla tej grupy był szybszy, skuteczniejszy i proporcjonalny do wskaźnika innowacji obserwowanego w leczeniu onkologicznym dorosłych pacjentów.

W Europie jest prawie pół miliona dzieci, które przeżyły chorobę nowotworową; większość z nich odczuwa długoterwałe negatywne skutki zdrowotne, wpływające na ich życie codzienne i udział w życiu społecznym. Po pięciu latach od postawienia diagnozy osoby, które przeżyły chorobę, mają wyższe wskaźniki umieralności niż ich rówieśnicy, którzy takiej choroby nie doświadczyli. Długoterminowa obserwacja medyczna dzieci, które przeżyły chorobę nowotworową, jest kluczem do rozwiązania tego problemu. Dlatego we **współfinansowanym przez UE wspólnego działania w zakresie nowotworów rzadkich zalecono wprowadzenie europejskiego niepowtarzalnego identyfikatora pacjenta, aby zapewnić transgraniczne monitorowanie długoterminowych wyników u dzieci, które przeżyły chorobę nowotworową.** Zaleca się również, by w programach unijnych wsparto wprowadzenie **wzoru paszportu ozdrowieńca** w całej UE.

Wszystkie rodzaje nowotworów dziecięcych to nowotwory rzadkie, łącznie jednak nowotwory u dzieci i młodzieży stanowią w Europie poważne obciążenie. **Nowotwory dziecięce są łącznie główną przyczyną spowodowanej chorobą śmierci dzieci powyżej pierwszego roku życia w Europie – co roku diagnozuje się ponad 35 tys. przypadków, a ponad 6 tys. młodych pacjentów umiera**⁷⁶³.

Pomimo postępu w badaniach, który umożliwił osiągnięcie 80% pięcioletniego przeżycia, w przypadku niektórych rodzajów chorób złośliwych wśród dzieci i nastolatków bardzo niewielki postęp^{764,765}.

Istnieją ponadto znaczne nierówności w dostępie do najlepszej dostępnej opieki i wiedzy eksperckiej w całej Europie, co powoduje **nawet 20% różnicy we wskaźnikach przeżyć dzieci w państwach europejskich**^{766,767}.

Większość osób, które wygrały z chorobą (w Europie prawie pół miliona dzieci przeżyło chorobę nowotworową) doświadcza długotrwałych negatywnych skutków zdrowotnych, odbijających się na życiu codziennym i udziale w życiu społecznym^{768,769}.

Szereg spośród tych problemów dotyczy również nowotworów u dorosłych, ale specyfika wiekowa oraz uwarunkowania biologiczne u dzieci i nastolatków wymagają podejścia dostosowanego do tej grupy wiekowej w całym przebiegu opieki nad pacjentem i w działaniach politycznych.

4.2.1. Przegląd rodzin nowotworów dziecięcych

Jak zaznaczono już w powyższych sekcjach, nowotwory rzadkie można zdefiniować jako choroby złośliwe o zachorowalności < 6 / 100 000 / rok⁷⁷⁰. Zgodnie z tą definicją wszystkie choroby złośliwe u dzieci i nastolatków są rzadkie, w tym białaczka i chłoniaki⁷⁷¹.

W projekcie RARECAREnet sklasyfikowano nowotwory w 12 „rodzinach”. Część chorób złośliwych dotykających dzieci i nastolatków ujęto w „rodzinie” nowotworów dziecięcych, ale niektóre nowotwory występujące głównie (lub także) w dzieciństwie, umieszczono w innych „rodzinach”: nowotworów hematologicznych, mięsaków, nowotworów ośrodkowego układu nerwowego, nowotworów głowy. Należy zauważyć, że profil genetyczny tych wspólnych jednostek nowotworowych w bardzo młodych grupach wiekowych może mieć odmienną charakterystykę biologiczną oraz dawać inne zachowania kliniczne i rokowania⁷⁷².

⁷⁶³ Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, 2018 r., Cancer Today. Pozyskano ze strony internetowej Cancer Today: <https://gco.iarc.fr/today/home>

⁷⁶⁴ Vassal G., Schrappe M., Pritchard-Jones K. i in., The SIOPE strategic plan: A European cancer plan for children and adolescents, J Cancer Policy 2016, 8: s. 17–32.

⁷⁶⁵ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1).

⁷⁶⁶ Gatta G., Botta L., Rossi S. i in., Childhood cancer survival in Europe 1999-2007: results of EUROCARE-5—a population-based study, Lancet Oncol., 2014 r., nr 15(1), s. s. 35–47.

⁷⁶⁷ Kowalczyk J.R., Samardakiewicz M., Fitzgerald E. i in., Towards reducing inequalities: European Standards of Care for Children with Cancer, Eur J Cancer, 2014 r., 50(3): s. 481–485.

⁷⁶⁸ Hjorth L., Haupt R., Skinner R. i in., Survivorship after childhood cancer: PanCare: A European Network to promote optimal long-term care, Eur J Cancer, 2015 r.; nr 51(10), s. 1203–1211.

⁷⁶⁹ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1).

⁷⁷⁰ Gatta G., Botta L., Rossi S. i in., Childhood cancer survival in Europe 1999-2007: results of EUROCARE-5—a population-based study, Lancet Oncol., 2014 r., nr 15(1), s. s. 35–47.

⁷⁷¹ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1).

⁷⁷² Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1).

Zakres jednostek nowotworów dziecięcych dobrze odzwierciedla Międzynarodowa Klasyfikacja Nowotworów Dziecięcych (ICCC-3), zawierająca pełen wykaz nowotworów występujących u dzieci⁷⁷³. Wykaz ten opiera się również na trzecim wydaniu Międzynarodowej Klasyfikacji Chorób Onkologicznych (ICD-O-3), opracowanym przez Światową Organizację Zdrowia (WHO)⁷⁷⁴, i określono w nim 12 głównych grup nowotworów dziecięcych⁷⁷⁵. Wśród nich można wyróżnić:

- hematologiczne choroby złośliwe;
- nowotwory mózgu;
- nowotwory lite⁷⁷⁶.

Jak już wspomniano, nowotwory o zachorowalności wynoszącej mniej niż 0,2 przypadków / 100 000 / rok klasyfikuje się jako skrajnie rzadkie (zob. sekcja 4.1.1). W populacji pediatrycznej można wskazać dwie podgrupy: rodzaje nowotworów typowe dla dzieci (tj. hepatoblastoma, pleuropulmonary blastoma, pancreatoblastoma) i typowe dla wieku dorosłego, skrajnie rzadkie u populacji młodej (tj. carcinoma i czerniaki)⁷⁷⁷.

4.2.2. Epidemiologia nowotworów dziecięcych

Tabela 5: Szacunki zachorowalności i umieralności w przypadku nowotworów dziecięcych

	Grupa wiekowa	ZACHOROWALNOŚĆ		UMIERALNOŚĆ	
		Szacowane nowe przypadki w 2018 r.		Szacowana liczba zgonów w 2018 r.	
		Europejski obszar działania WHO	UE-27	Europejski obszar działania WHO	UE-27
Wszystkie rodzaje nowotworów	0–24	38 370	24 075	6 337	3 367
	0–19	25 094	15 350	4 482	2 325
	0–14	17 455	10 256	3 256	1 606

Źródło: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, 2018 r., Cancer Today. Pozyskano ze strony internetowej Cancer Today: <https://qco.iarc.fr/today/home>

Według danych z 2018 r. pozyskanych z sekcji Cancer Today Światowego Obserwatorium Raka Międzynarodowej Agencji Badań nad Rakiem⁷⁷⁸ **co roku odnotowuje się ponad 35 tys. nowych przypadków nowotworów u dzieci i nastolatków w Europie (15 tys. u dzieci w wieku poniżej 15**

⁷⁷³ Steliarova-Foucher E., Stiller C., Lacour B. i in., Międzynarodowa Klasyfikacja Chorób Onkologicznych, wydanie trzecie, Cancer 2005, 103: s. 1457–1467.

⁷⁷⁴ Fritz A., Percy C., Jack A., Kanagaratnam S., Sobin L., Parkin M.D., Międzynarodowa Klasyfikacja Chorób Onkologicznych (ICD-O). Wydanie trzecie, Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2000 r.

⁷⁷⁵ Wykaz nowotworów dziecięcych ICC-3. Zaczepnięto z: Steliarova-Foucher E., Stiller C., Lacour B. i in., Międzynarodowa Klasyfikacja Chorób Onkologicznych, wydanie trzecie, Cancer 2005, 103: s. 1457–1467.

⁷⁷⁶ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1).

⁷⁷⁷ Ferrari A., Brecht IB, Gatta G, i in., Defining and listing very rare cancers of pediatric age: consensus of the Joint Action on Rare Cancers (JARC) in cooperation with the European Cooperative Study Group for Pediatric Rare Tumors (EXPeRT), Eur J Cancer, 2019 r., 110: s. 120–126.

⁷⁷⁸ Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, 2018 r., Cancer Today. Pozyskano ze strony internetowej Cancer Today: <https://qco.iarc.fr/today/home>

lat i 20 tys. u osób w wieku 15-24 lat). Co trzysetna osoba zachoruje na nowotwór przed ukończeniem 20 roku życia.

Umieralność bezwzględna przekracza 6 tys. zgonów na rok, co sprawia, że **nowotwory są pierwszą przyczyną śmierci z powodu chorób u dzieci i młodzieży powyżej pierwszego roku życia w Europie.**

Z analizy rodzajów nowotworów dziecięcych wynika, że najczęściej występuje białaczka, szczególnie u dzieci poniżej 15 roku życia, u których odpowiada ona za ponad 30% nowych przypadków zachorowań w ciągu roku i zgonów. Nowotwory mózgu i układu nerwowego również mają szczególnie wysokie wskaźniki umieralności – odpowiadają za ponad jedną czwartą umieralności z powodu nowotworów dziecięcych (zob. załącznik 11⁷⁷⁹ i 12⁷⁸⁰).

Pod względem wskaźników przeżycia i rokowań można wskazać trzy główne grupy nowotworów dziecięcych:

- **nowotwory z dobrymi rokowaniami** (prawdopodobieństwo przeżycia pięcioletniego ponad 85%) przy obecnym standardowym leczeniu multidyscyplinarnym, z wykorzystaniem leków cytotoksycznych, często w trybie intensywnym (ostra białaczka limfoblastyczna, chłoniaki, retinoblastoma i nowotwory nerek);
- **nowotwory ze złymi rokowaniami** (przeżycie pięcioletnie u nie więcej niż około 50% pacjentów), takie jak ostra białaczka szpikowa, kilka nowotworów ośrodkowego układu nerwowego, neuroblastoma, mięsaki kości i tkanek miękkich (niektóre z tych chorób, takie jak rozlany glejak pnia mózgu, neuroblastoma wysokiego ryzyka i mięsaki przerzutowe, mają bardzo złe rokowania);
- **skrajnie rzadkie nowotwory**, dla których nie ma wystarczających informacji o zachorowalności i przeżyciu⁷⁸¹.

Liczbę ozdowieńców w Europie w 2020 r. szacuje się na 500 tys. i ma ona dalej wzrastać. Większość tej populacji dotyka długotrwałą chorobowość z powodu przebytej choroby i skutków ubocznych leczenia^{782, 783}. Po pięciu latach od postawienia diagnozy osoby, które przeżyły chorobę, mają wyższe wskaźniki umieralności niż ich rówieśnicy, którzy takiej choroby nie przeżyli.

4.2.3. Wyzwania w zakresie nowotworów dziecięcych

a. Przyczyny nowotworów dziecięcych i wczesne wykrywanie

„Dlaczego moje dziecko ma raka?” – na to kluczowe pytanie zadawane przez rodziców zwykle nie ma odpowiedzi. Nowotwory u dorosłych wywołują często substancje rakotwórcze działające przez dłuższy czas, natomiast nowotwory dziecięce rozwijają się na wczesnym etapie życia i w dużo krótszym czasie. W przypadku większości nowotworów dziecięcych nie są znane żadne modyfikowalne czynniki ryzyka

⁷⁷⁹ Szacunki zachorowalności i umieralności w przypadku nowotworów dziecięcych w UE w 2018 r. Pozyskano ze strony internetowej Cancer Today: <https://qco.iarc.fr/today/home>

⁷⁸⁰ Przyczyna śmierci u populacji pediatrycznej w podziale na rodzaje nowotworów. Dzięki uprzejmości Evy Steliarovej-Foucher w: Vassal G., Schrappe M., Pritchard-Jones K. i in., The SIOPE strategic plan: A European cancer plan for children and adolescents, J Cancer Policy, 2016 r., 8: s. 17–32.

⁷⁸¹ Vassal G., Schrappe M., Pritchard-Jones K. i in., The SIOPE strategic plan: A European cancer plan for children and adolescents, J Cancer Policy, 2016 r., 8: s. 17–32.

⁷⁸² Hjorth L., Haupt R., Skinner R. i in., Survivorship after childhood cancer: PanCare: A European Network to promote optimal long-term care, Eur J Cancer, 2015 r.; nr 51(10), s. 1203–1211.

⁷⁸³ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozd. 1).

oprócz wysokiej dawki promieniowania jonizującego i wcześniejszej chemioterapii. To duża różnica w porównaniu ze znaczną częścią chorób złośliwych u dorosłych, którym można potencjalnie zapobiec przez usunięcie modyfikowalnego narażenia⁷⁸⁴.

Predyspozycje genetyczne to najważniejsza znana, choć niedostatecznie zbadana przyczyna nowotworów dziecięcych. Szacuje się, że **do 10% nowotworów dziecięcych wynika ze znanych predyspozycji genetycznych**. Znanych jest ponad 100 zespołów genetycznych z ryzykiem wystąpienia nowotworu w dzieciństwie. Liczba ta może wzrastać wraz z odkrywaniem coraz rzadszych mutacji genów nowotworowych w trwających analizach w takich dziedzinach jak genomika.

W niektórych badaniach sugeruje się już, że nawet jedna czwarta dzieci i nastolatków z historią nowotworu może mieć predyspozycje genetyczne. Dzięki identyfikacji podstaw genetycznych rzadkich nowotworów dziedzicznych u dzieci wskazano kluczowe ścieżki wspólne dla sporadycznych nowotworów (również u dorosłych). **Sekwencjonowanie całego genomu umożliwi wygenerowanie nowych informacji, które będzie można wykorzystać do poprawy opieki i do wskazania nowych genetycznych cech wyróżniających nowotwory oraz do wyznaczenia celów nowych terapii**⁷⁸⁵.

Niezwykle potrzebne są dalsze badania nad predyspozycjami genetycznymi do nowotworów dziecięcych, w tym systematyczne sekwencjonowanie całych genomów oraz łączenia dużych zbiorów danych i sztucznej inteligencji (SI). Powiązanymi priorytetami są inwestycje w infrastrukturę kliniczną dla kompleksowych programów nadzoru nad chorobami nowotworowymi, jak również doradztwo genetyczne we wczesnym poradnictwie rodzinnym i wsparcie psychologiczne dla tych pacjentów, zaniedbanych pod tym względem. Całościowy publiczny program badań nad nowotworami dziecięcymi może otworzyć takie nowe horyzonty i umożliwić realizację strategii i programów profilaktyki, które do tej pory prawie nie istniały w dziedzinie nowotworów dziecięcych.

Zalecenie: Rozwój badań nad przyczynami nowotworów dziecięcych

Do krytycznej potrzeby większej liczby badań nad predyspozycjami genetycznymi do rozwoju nowotworu dziecięcego (jako kluczowego filaru szerszego programu badawczego nad nowotworami dziecięcymi) należy się odnieść w misji UE na rzecz walki z rakiem, europejskim planie walki z rakiem, programie UE dla zdrowia i innych właściwych inicjatywach.

b. Dostęp do specjalistycznej wiedzy klinicznej do celów diagnostyki i leczenia nowotworów dziecięcych

i. Wyzwania

Ważnym celem jest opracowanie nowych strategii zapobiegania i monitorowania, w tym przez wczesną diagnostykę i badania przesiewowe. Diagnoza nowotworów dziecięcych wiąże się ze szczególnymi wymaganiami, wykraczającymi poza wymagania w dziedzinie nowotworów u dorosłych.

Rzadkość występowania poszczególnych nowotworów dziecięcych może uniemożliwić wczesne rozpoznanie objawów w podstawowej opiece zdrowotnej, prowadząc do opóźnionej diagnozy i gorszych wyników. Problem ten udokumentowano na przykład w przypadku dziecięcych nowotworów mózgu i kości. Dzieci i nastolatki trzeba jak najszybciej diagnozować, aby zapewnić im jak największe szanse na wyleczenie i pełny powrót do zdrowia. Wymaga to od lekarzy ogólnych i rodzinnych dużej wiedzy o możliwości rozwoju nowotworów u dzieci i młodzieży. Objawy i oznaki powiązane z

⁷⁸⁴ Zob. sekcja 1.2 dotycząca profilaktyki pierwotnej nowotworów.

⁷⁸⁵ Vassal G., Schrappe M., Pritchard-Jones K. i in., The SIOPE strategic plan: A European cancer plan for children and adolescents, J Cancer Policy 2016, 8: s. 17–32.

nowotworem muszą być rozpoznawane przez lekarzy ogólnych i pediatrów, by zminimalizować czas upływający od wystąpienia objawów oraz nie opóźniać diagnozy i leczenia.

Analiza specyficznej biologii (profilowanie molekularne) pacjenta i guza w momencie diagnozy oraz w trakcie całego leczenia może usprawnić stratyfikację ryzyka w przypadku dostosowanego leczenia indywidualnego. Usprawnianie wczesnego diagnozowania przez profesjonalne kształcenie i świadomość publiczną jest ważne, a kluczowe znaczenie mają inwestycje w dostępność odpowiedniej diagnostyki.

Istnieją znaczne nierówności w dostępie do leczenia, opieki i badań zgodnych z najlepszymi standardami, szczególnie w Europie Środkowej i Europie Wschodniej, ale również w innych państwach europejskich, jak podkreślono w niedawnych ustaleniach ze wspólnego działania w zakresie nowotworów rzadkich (JARC)^{786,787}.

ii. Znaczenie specjalizacji, tworzenia sieci kontaktów i kształcenia

Specjalizacja: multidyscyplinarne oddziały i ośrodki opieki

Wiadomo, że optymalną opiekę w zakresie nowotworów dziecięcych świadczą specjalistyczne multidyscyplinarne oddziały, zwane również ośrodkami referencyjnymi lub głównymi ośrodkami leczenia, zapewniające pełen zakres możliwości diagnostycznych, terapeutycznych i wspierających w celu optymalizacji przeżycia i zminimalizowania toksyczności⁷⁸⁸.

Wielodyscyplinarność to wyróżnik hematologii i onkologii dziecięcej. Leczenie i opiekę dla dzieci i nastolatków z nowotworami w Europie świadczy około 330 ośrodków hematoonkologii pediatricznej. Znaczna większość z nich to szpitale publiczne. Dla aż 90% nowo zdiagnozowanych pacjentów z nowotworami dziecięcymi w Europie istnieją standardowe protokoły opracowane w perspektywicznych badaniach klinicznych, a aż 40% pacjentów jest leczonych w ramach badań klinicznych, organizowanych za pośrednictwem sieci Europejskiej Grupy ds. Badań Klinicznych ustanowionej przez SIOP Europe. Oprócz specjalistów klinicznych i pielęgniarek potrzebni są inni specjaliści: psychoonkolodzy, terapeuci zajęciowi i edukatorzy⁷⁸⁹. Specjaliści w dziedzinie hematoonkologii dziecięcej świadczą usługi przez cały czas trwania opieki⁷⁹⁰. Kluczowe znaczenie ma, by te specjalistyczne usługi były dostępne dla wszystkich dziecięcych i nastoletnich pacjentów z nowotworami, ponieważ populacja ta nie jest leczona w oparciu o zwykłą ekstrapolację usług dla dorosłych.

Nierówności w dostępie do najlepszego dostępnego leczenia multidyscyplinarnego w całej Europie są obecnie przyczyną nawet 20% różnic w przeżyciu w Europie^{791,792,793}. Niewielka liczba

⁷⁸⁶ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019), Sprawozdanie podsumowujące wyniki badania na temat dostępności standardowego leczenia oraz zalecenia dla państw członkowskich i Europy dotyczące przewyciężenia wąskich gardel (wynik 9.1)

⁷⁸⁷ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019), Sprawozdanie podsumowujące zalecenia mające na celu ułatwienie kierowania dzieci do ośrodków badawczych oferujących innowacyjne leki (wynik 9.2).

⁷⁸⁸ SIOP Europe, European Standards of Care for Children with Cancer, 2009 r.: <https://siope.eu/european-research-and-standards/standards-of-care-in-paediatric-oncology/> (dostęp: marzec 2020 r.).

⁷⁸⁹ SIOP Europe, European Standards of Care for Children with Cancer, 2009 r.: <https://siope.eu/european-research-and-standards/standards-of-care-in-paediatric-oncology/> (dostęp: marzec 2020 r.).

⁷⁹⁰ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 3).

⁷⁹¹ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 1).

⁷⁹² Gatta G., Botta L., Rossi S. i in., Childhood cancer survival in Europe 1999-2007: results of EURO-CARE-5—a population-based study, *Lancet Oncol.*, 2014 r., nr 15(1), s. s. 35–47.

⁷⁹³ Kowalczyk J.R., Samardakiewicz M., Fitzgerald E. i in., Towards reducing inequalities: European Standards of Care for Children with Cancer, *Eur J Cancer*, 2014 r., 50(3): s. 481–485.

pacjentów z wymogami wiekowymi ogranicza krajowe możliwości inwestowania w najlepsze standardy. Skoordynowane europejskie strategie polityczne i programy w zakresie badań i zdrowia dają idealne warunki do wprowadzenia zmian transformacyjnych ze względu na rzadkość i specyfikę poszczególnych rodzajów nowotworów dziecięcych oraz istotne obciążenie nimi we wszystkich państwach. **W szczególności polityka zdrowotna UE musi koncentrować się na zapewnieniu równego dostępu do najlepszej specjalistycznej diagnostyki i multidyscyplinarnego leczenia dzieci i nastolatków chorych na raka, aby poprawić wyniki we wszystkich państwach członkowskich.** Jednocześnie krajowe plany walki z rakiem powinny zawierać odrębną sekcję dotyczącą nowotworów dziecięcych i należy w nich uwzględnić specjalne ustalenia dotyczącej całej ścieżki leczenia pacjenta, zgodnie z zaleceniami zainteresowanych stron⁷⁹⁴.

Tworzenie sieci: rola ERN PaedCan

Europejska sieć referencyjna ds. nowotworów u dzieci i młodzieży (ERN PaedCan) łączy podmioty służby zdrowia z całej Europy, by świadczyć wysokiej jakości, dostępną i opłacalną transgraniczną opiekę zdrowotną dla dzieci i nastolatków chorych na nowotwory w UE, a jej misją jest likwidacja istniejących nierówności w dostępie i przeżyciu.

ERN PaedCan to od dawna jest elementem europejskiej wspólnoty badaczy, lekarzy oraz grup rodziców i pacjentów, współpracujących ponad granicami za pośrednictwem specjalnych sieci wzajemnego członkostwa, oficjalnych partnerstw i wspólnych projektów.

ERN PaedCan wypełnia swoją misję głównie przez łączenie istniejących ośrodków referencyjnych w Europejskich Grupach ds. Badań Klinicznych za pośrednictwem Europejskich Wirtualnych Rad ds. Nowotworów. Mogą one odgrywać ważną rolę, zapewniając omówienie przypadków wszystkich pacjentów z nową diagnozą lub w stanie nawrotu choroby udostępnienie im zalecanych standardowych metod leczenia. Ze względu na obciążenie, jakim jest dla rodzin podróż związana ze zdrowiem, w ERN PaedCan w miarę możliwości priorytetowo traktuje się przepływ informacji, wytycznych dotyczących praktyki klinicznej i wiedzy, a nie pacjentów.

Aby zapewnić dzieciom i nastolatkom korzyści z tworzenia takich sieci, trzeba odpowiednio refundować opiekę transgraniczną i doradztwo wirtualne. Program S2 (wcześniej E112), na podstawie rozporządzenia WE nr 883/2004 w sprawie koordynacji systemów zabezpieczenia społecznego, jest przeznaczony dla obywateli Unii poszukujących opieki zdrowotnej za granicą, ale w jego realizacji pojawiły się pewne niedociągnięcia. Trzeba zmodyfikować obecny program S2, by rekompensować czas wirtualnej opieki świadczonej przez ekspertów w drodze telekonsultacji. Potrzebne są również rozwiązania dające sprawny dostęp do opieki transgranicznej i jej refundacji, gdy pacjenci muszą odbyć podróż w celu leczenia. Powinno to obejmować jeszcze opracowywane innowacyjne terapie (drugą szansę dla małych pacjentów w razie niepowodzenia leczenia i nawrotu choroby) oraz przepisy dotyczące towarzyszących im rodzin.

Innym ważnym aspektem są **programy tworzenia partnerstw. Umożliwiają one wymianę pracowników służby zdrowia z ośrodków ds. nowotworów dziecięcych z różnych państw w celu dzielenia się wiedzą specjalistyczną.** Należy wspierać ze środków unijnych (na zasadach niekonkurencyjnych) tworzenie partnerstw ds. hematologii pediatrycznej i podmioty świadczące usługi onkologiczne w ERN PaedCan, aby stymulować wzajemne uczenie się i poprawę standardów opieki w całej Europie.

⁷⁹⁴ Vassal G., Schrappe M., Pritchard-Jones K. i in., The SIOPE strategic plan: A European cancer plan for children and adolescents, J Cancer Policy, 2016 r., 8: s. 17–32.

Zalecenie: Równy dostęp dzieci i nastolatków z nowotworami do jak najlepszej opieki

Aby zapewnić jak najlepszą opiekę wszystkim dzieciom i nastolatkom cierpiącym na nowotwory w UE, Unia powinna:

- finansować (na zasadach niekonkurencyjnych) ERN PaedCan i już istniejące powiązane struktury, aby zrealizować cele przepisów o transgranicznej opiece zdrowotnej;
- poprawić przepisy o transgranicznej opiece zdrowotnej, by zmniejszyć niepewność dla rodzin i zapewnić rekompensatę za konsultacje transgraniczne w trybie wirtualnej opieki zdrowotnej.

Kształcenie i szkolenie w zakresie onkologii pediatrycznej

Wykształcenie nowego pokolenia specjalistów w dziedzinie nowotworów dziecięcych to oczywisty priorytet z punktu widzenia stałego dostępu do najnowszej wiedzy specjalistycznej. **W całej Europie potrzebny jest kompleksowy program szkoleniowy w zakresie onkologii pediatrycznej, dostępny dla wszystkich państw członkowskich, co wymaga odpowiednich inwestycji.**

Specjaliści w dziedzinie hematoonkologii dziecięcej świadczą usługi przez cały czas trwania opieki. Istnieją co prawda ugruntowane, pełne ścieżki zawodowe w dziedzinie onkologii pediatrycznej, w wielu państwach członkowskich brakuje jednak pełnej ścieżki szkoleniowej. Onkolodzy dziecięcy są na ogół albo pediatrami, albo onkologami. Niektórzy onkolodzy i chirurdzy radiolodzy specjalizują się w leczeniu niektórych lub wszystkich nowotworów dziecięcych, w obu przypadkach bez specjalnych ścieżek szkoleniowych.

Status zawodowy onkologa dziecięcego powinien być uznawany we wszystkich państwach członkowskich i należy rozważyć wzajemne uznawanie kwalifikacji w całej UE. Na podstawie istniejących wytycznych europejskich należy przewidzieć odpowiednie szkolenia dla specjalistów regularnie pracujących z dziećmi cierpiącymi na nowotwory^{795, 796}.

c. Opracowanie podstawowych leków na nowotwory dziecięce i dostęp do nich

i. Dostęp do podstawowych leków

Z badania przeprowadzonego w ramach Wspólnego działania w zakresie nowotworów rzadkich (JARC) wynika, że w Europie dzieci i nastolatki cierpiące na nowotwory nadal doświadczają problemów w dostępie do leków, które społeczność naukowców i pacjentów określa jako podstawowe⁷⁹⁷. Konieczne są pilne działania, by zaradzić niedoborom, udostępnić bezpieczne, dostosowane do wieku preparaty doustne oraz konsekwentnie dostarczać niedrogich leków przeciwbólowych. Kolejna coraz ważniejsza kwestia to przystępność cenowa nowszych i droższych leków oraz potrzeba opracowania odpowiednich strategii refundacji odzwierciedlających specyfikę populacji pediatrycznej.

⁷⁹⁵ Janssens G.O., Timmermann B., Laprie A. i in., Recommendations for the organisation of care in paediatric radiation oncology across Europe: a SIOPE–ESTRO–PROS–CCI–Europe collaborative project in the framework of the JARC, Eur J Cancer 2019, nr 114, s. 4–54.

⁷⁹⁶ SIOPE Europe, European Standards of Care for Children with Cancer, 2009 r.: <https://siope.eu/european-research-and-standards/standards-of-care-in-paediatric-oncology/> (dostęp: marzec 2020 r.).

⁷⁹⁷ Wspólne działanie przeciwko nowotworom rzadkim (2019), Sprawozdanie podsumowujące wyniki badania na temat dostępności standardowego leczenia oraz zalecenia dla państw członkowskich i Europy dotyczące przewyciężenia wąskich gardeł (wynik 9.1)

ii. Opracowanie nowych terapii i dostęp do badań klinicznych

Dziedzina nowotworów dziecięcych stoi przed wyzwaniami właściwymi dla obszaru chorób rzadkich, co sprawia, że innowacje rynkowe są mniejsze niż postępy w badaniach nad bardziej powszechnymi rodzajami nowotworów.

Innowacje napędzane przez rynek

Z perspektywy regulacyjnej rozporządzenie UE w sprawie sierocych produktów leczniczych jest nieskuteczne w odniesieniu do opracowywania produktów leczniczych stosowanych w onkologii dziecięcej⁷⁹⁸. Rozporządzenie (WE) nr 1901/2006 w sprawie produktów leczniczych stosowanych w pediatrii jest potencjalnie bardziej adekwatnym instrumentem, ale również w związku z nim napotyka się wyzwania w zaspokajaniu potrzeb chorych na nowotwory dziecięce⁷⁹⁹. Do tej pory zatwierdzono tylko 9 innowacyjnych, specyficznych leków pediatrycznych, podczas gdy w leczeniu raka u dorosłych od 2007 r. wprowadzono ponad 150 nowych leków; otoczenie regulacyjne nie wspiera zatem odpowiednio inwestycji w opracowywanie specyficznych leków pediatrycznych.

Obowiązek przyjęcia planu badań klinicznych z udziałem populacji pediatrycznej na podstawie rozporządzenia w sprawie produktów leczniczych stosowanych w pediatrii wynika obecnie ze wskazania do stosowania leku u dorosłych, a nie z przesłanek biologicznych, chociaż istnieje wiele dowodów na to, że docelowe wartości leków na nowotwory występujące u dorosłych mogą sbyć istotne również w przypadku pediatrycznych chorób złośliwych⁸⁰⁰. Ustawa o badaniach nad przyspieszeniem leczenia i równości dla dzieci (RACE for Children Act) w Stanach Zjednoczonych będzie wymagała, aby nowe leki onkologiczne były badane w odniesieniu do każdego nowotworu dziecięcego, dla którego cel molekularny leku ma istotne znaczenie⁸⁰¹. Jest to rozwój, który może mieć duże znaczenie dla pobudzania innowacji terapeutycznych w zakresie nowotworów dziecięcych w globalnym otoczeniu regulacyjnym.

Kolejny problem dotyczy tego, że rozwój kilku leków został zatrzymany w odniesieniu do osób dorosłych ze względu na brak skuteczności, ale nie były one brane pod uwagę pod względem rozwoju w przypadku populacji pediatrycznej, mimo że istniało naukowe i medyczne uzasadnienie. Wykorzystanie do innych celów molekuł pierwotnie przeznaczonych do rozwoju u dorosłych może zapewnić możliwości dalszych badań i potencjalne korzyści terapeutyczne w zakresie nowotworów dziecięcych.

W szczególności platforma ACCELERATE gromadzi wszystkie zainteresowane strony, w tym środowiska akademickie, przemysł, rodziców i organy regulacyjne, w celu opracowania rozwiązań umożliwiających szybsze opracowanie nowych, potencjalnie ratujących życie leków dla dzieci chorych na nowotwory. Inicjatywy te obejmują prowadzenie forów strategii pediatrycznych koordynowanych wspólnie przez ACCELERATE i EMA, ostatnio również z udziałem amerykańskiego urzędu ds. żywności i leków (FDA), w celu wymiany informacji i zaawansowanej nauki w warunkach przedkonkurencyjnych, a także stawanie

⁷⁹⁸ Vassal G., Kearns P., Blanc P. i in., Orphan Drug Regulation: A missed opportunity for children and adolescents with cancer, *Eur J Cancer* 2017, 84: s. 149–158.

⁷⁹⁹ Vassal G., Schrappe M., Pritchard-Jones K. i in., The SIOPE strategic plan: A European cancer plan for children and adolescents, *J Cancer Policy* 2016, 8: s. 17–32.

⁸⁰⁰ SIOPE Europe, Unite2Cure, CR UK, Paediatric Cancer Medicines-Urgent need to speed up life-saving innovation Position statement, 2016 r.: <https://siope.eu/news-and-resources/position-papers/> (dostęp: marzec 2020 r.).

⁸⁰¹ Bennet M.F., 115th Congress (2017–2018): RACE for Children Act, 2017 r.: <https://www.congress.gov/bill/115th-congress/senate-bill/456> (dostęp: marzec 2020 r.).

w przeciwieństwie do „dogmatu 18 lat” dotyczącego udziału w badaniach klinicznych⁸⁰². Praca ta jest ściśle powiązana z ERN PaedCan.

Ze względu na powyższe wyzwania dotyczące rozwoju innowacyjnych leków dla dzieci na etapie przed dopuszczeniem na rynek sektor nowotworów dziecięcych jest dotychczas mniej aktywny w debacie dotyczącej ustalania cen. Temat ten ma stać się bardziej aktualny wraz z pojawieniem się nowo dopuszczonych do obrotu leków stosowanych w immunoterapii dla dzieci cierpiących na nowotwory⁸⁰³.

Zalecenie: Przyspieszanie innowacji terapeutycznych w zakresie nowotworów dziecięcych

Należy przeprowadzić przegląd otoczenia regulacyjnego UE w tym zakresie, aby zaspokoić potrzeby dzieci i nastolatków chorych na raka i sprawić, by rozwój medycyny dla tej grupy był szybszy, skuteczniejszy i proporcjonalny do wskaźnika innowacji obserwowanego w leczeniu onkologicznym dorosłych pacjentów.

Innowacje napędzane badaniami akademickimi

Terapie nowotworów dziecięcych można zdefiniować jako obszar stosunkowej niedoskonałości rynku ze względu na ich rzadkość i niewielką liczbę nowych leków opracowanych komercyjnie w ostatnim dziesięcioleciu. Większość standardowych terapii w onkologii dziecięcej została powstała w wyniku europejskich i międzynarodowych transgranicznych badań klinicznych, często w postaci projektów wspieranych z programów finansowania unijnego. Koncepcja sieci krajowych i międzynarodowych ma podstawowe znaczenie dla umożliwienia tych postępów i jest podstawą obecnych najlepszych praktyk w hematologii i onkologii pediatrycznej oraz **umożliwiła znaczną poprawę wskaźnika przeżycia w ciągu ostatnich 50 lat (choć w całej Europie utrzymują się nierówności, które wymagają pilnych działań)**⁸⁰⁴.

Finansowanie publiczne jest niezbędne, by móc wykorzystać te europejskie osiągnięcia dzięki wykorzystaniu innowacyjnych technologii i metod, dalszej integracji opieki i badań oraz wspieraniu stałych, zrównoważonych platform badań klinicznych we współpracy międzynarodowej.

UE ma idealne warunki do pierwszoplanowych działań w wyrównywaniu podziału środków na finansowanie dokumentowanych na całym świecie badań nad nowotworami dziecięcymi⁸⁰⁵.

Zalecenie: UE jako światowy lider w dziedzinie badań nad nowotworami dziecięcymi

Aby rozwiązać problem podziału inwestycji w badania nad nowotworami dziecięcymi, należy przejrzeć i konkretnie finansować te badania ze środków unijnych oraz przeznaczyć na nie środki budżetowe we wszystkich istotnych programach UE.

Innym kluczowy aspekt to dostęp do innowacyjnych terapii we wczesnych badaniach klinicznych, które mogą ratować życie dzieci z nawracającymi lub opornymi nieuleczalnymi nowotworami złośliwymi.

⁸⁰² Vassal G., Rousseau R., Blanc P. i in., Creating a unique, multistakeholder Paediatric Oncology Platform to improve drug development for children and adolescents with cancer, *Eur J Cancer*, 2015 r.; nr 51(2), s. 218–224.

⁸⁰³ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 8).

⁸⁰⁴ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 5).

⁸⁰⁵ Loucaides E.M., Fitchett E.J.A., Sullivan R., Atun R., Global public and philanthropic investment in childhood cancer research: systematic analysis of research funding, 2008–16, *The Lancet Oncology*, 2019, s. e672–84.

Sieć doskonałości ITCC (Innovative Therapies for Children Cancer) jest ośrodkiem wiedzy specjalistycznej o innowacyjnych terapiach realizowanych w ośrodkach wczesnych badań klinicznych, łączącym ośrodki akademickie prowadzące takie badania w całej Europie. Szereg ośrodków ITCC należy do ERN PaedCan, co maksymalizuje synergie między tymi dwoma inicjatywami⁸⁰⁶.

d. Przeżywalność

Przy przeżyciu siedmioletnim rzędu 80% liczba osób, które przeżyły nowotwór dziecięcy (obecnie szacuje się, że w Europie jest ich ponad 300 000), prawdopodobnie będzie nadal rosnąć. Polepszanie jakości życia tych ozdrowieńców jest ważnym celem. Dwie trzecie ozdrowieńców ma późno pojawiające się efekty uboczne wynikające z leczenia, które u połowy z nich są poważne i mają silny wpływ na ich codzienne życie. Przewiduje się, że w 2030 r. w Europie będzie około 750 000 osób, które przeżyły nowotwór dziecięcy⁸⁰⁷.

Kluczem do rozwiązania tego problemu jest długoterminowa katemneza osób, które przebyły chorobę nowotworową w dzieciństwie, ponieważ następstwa zdrowotne i długotrwałe powikłania po leczeniu to w przypadku nowotworów dziecięcych istotny problem. W związku z tym **JARC zaleca wprowadzenie europejskiego niepowtarzalnego identyfikatora pacjenta, aby zapewnić transgraniczne monitorowanie długoterminowych wyników u dzieci, które przebyły chorobę nowotworową**⁸⁰⁸.

Długoterminową jakość modeli opieki nad ozdrowieńcami z nowotworów w całej UE należy wspierać również przez opracowanie wysokiej jakości wytycznych⁸⁰⁹ oraz pełne wykorzystanie transgranicznego charakteru ERN PaedCan. Takie modele powinny umożliwiać skoordynowane przejście od opieki pediatrycznej do opieki nad dorosłymi, odpowiedni nadzór nad późnymi skutkami ubocznymi oraz zapewnienie osobom, które przeżyły raka w dzieciństwie, informacji o przyszłym ryzyku oraz dostępnych warunkach opieki i wytycznych⁸¹⁰.

Zalecenie: Zaspokajanie potrzeb osób, które przeżyły nowotwory dziecięce

Należy propagować model paszportu ozdrowieńca we wszystkich państwach członkowskich i stale rozwijać długoterminowy nadzór i badania w ramach programów UE.

Należy zmodyfikować struktury opieki zdrowotnej, aby lepiej zaspokajały specjalne potrzeby dotyczące opieki po leczeniu nowotworów dziecięcych, w tym aspekty psychospołeczne, aby uzyskać jak najlepszą jakość życia.

Potrzebna jest polityka zaspokajania potrzeb sprawiedliwości społecznej dla osób, które przeżyły nowotwory w dzieciństwie, w tym możliwości kształcenia i kariery zawodowej, dochodów, założenia rodziny i dostępu do usług finansowych, takich jak ubezpieczenia.

⁸⁰⁶ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 5).

⁸⁰⁷ Vassal G., Schrappe M., Pritchard-Jones K. i in., The SIOPE strategic plan: A European cancer plan for children and adolescents, J Cancer Policy, 2016 r., 8: s. 17–32.

⁸⁰⁸ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 2).

⁸⁰⁹ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 3).

⁸¹⁰ Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019). Program działań na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich (rozdz. 10).

4.2.4. Rola organizacji pacjentów w dziedzinie nowotworów dziecięcych

Zaangażowanie pacjentów w przypadku nowotworów dziecięcych ma specyfikę wynikającą ze szczególnie niejednorodnej populacji pacjentów o różnych potrzebach, z centralnego miejsca nie tylko młodych pacjentów, ale także ich rodziców i opiekunów, a także z odmiennych potrzeb nastolatków i dorosłych, którzy przeżyli dziecięce choroby złośliwe.

Ponadto sektor nowotworów dziecięcych od lat cechuje zorganizowana współpraca między przedstawicielami rodziców, pacjentów i ozdrowieńców a specjalistami; poprzedziła ona utworzenie ESR. W ciągu kilkudziesięciu lat w Europie zbudowano sieć przedstawicieli pacjentów i specjalistów ds. hematologii i onkologii pediatricznej.

Podstawowe znaczenie ma apel o udział i zrównoważone finansowanie, pozwalające na odegranie odpowiedniej roli; jednocześnie z perspektywy pacjenta cierpiącego na nowotwór dziecięcy wynikają konkretne priorytety.

Ze względu na potencjalne obciążenie rodzin poważnie chorych dzieci potrzebujących transgranicznej opieki zdrowotnej w ERN PaedCan priorytetowo traktuje się przekazywanie informacji i wiedzy, a nie transport pacjentów. Ponieważ jednak podróż transgraniczna może być potrzebna, by uzyskać wysoce specjalistyczną opiekę, a w przypadku pacjentów z niepowodzeniem w leczeniu lub nawrotem choroby – wziąć udział we wczesnych badaniach klinicznych, konieczna jest odpowiednia refundacja świadczeń, podróży i zakwaterowania dla rodziców i dziecka. **Potrzebna jest debata, która posłuży usprawnieniu obecnych przepisów o refundacji transgranicznej opieki zdrowotnej i ich wdrażania, przewidywalności refundacji, unikaniu zbędnych obciążeń dla rodzin w i tak już trudnym dla nich czasie oraz zapewnieniu dostępu do badań klinicznych, które mogą ratować życie.**

Prawo hospitalizowanego dziecka do „stałej i ciągłej obecności rodzica” zapisano w europejskich normach opieki nad dziećmi z chorobami nowotworowymi opracowanych w ramach wspólnego działania „Europejskie Partnerstwo na rzecz Walki z Rakiem” (EPAAC, Program UE dla zdrowia) Obecność rodzica podczas leczenia dziecka ma kluczowe znaczenie.

Zalecenie: Przestrzeganie praw dzieci cierpiących na nowotwory i ich rodzin

By przestrzegać praw dzieci cierpiących na nowotwory i ich rodzin, trzeba zwiększać świadomość znaczenia zaangażowania rodziców i bezpieczeństwa finansowego rodzin opiekujących się dziećmi i nastolatkami chorymi na nowotwory.

BIBLIOGRAFIA

- Albrecht T., Kiasuwa R., Van den Bulcke M., *European Guide on Quality Improvement in Comprehensive Cancer Control*, Wspólne działanie w zakresie walki z rakiem, 2017 r., https://cancercontrol.eu/archived/uploads/images/Guide/pdf/CanCon_Guide_FINAL_Web.pdf
- Dokument przedstawiający wizję Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem na temat europejskiego planu walki z rakiem: Europejski kodeks walki z rakiem: https://www.iccp-portal.org/sites/default/files/resources/ECL-vision-EU-Beating-Cancer-Plan_final.pdf (dostęp: czerwiec 2020 r.).
- *Badania przesiewowe w kierunku raka w Unii Europejskiej: Sprawozdanie z wdrażania zalecenia Rady w sprawie badań przesiewowych w kierunku raka (wydanie drugie)*, Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, 2017 r., publikacja dostępna pod adresem: https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/major_chronic_diseases/docs/2017_cancerscreening_2ndreportimplementation_en.pdf
- Cherny N., Sullivan R., Torode J. i in., *ESMO European Consortium Study on the availability, out-of-pocket costs and accessibility of antineoplastic medicines in Europe*, *Ann Oncol*, sierpień 2016 r.; nr 27(8), s. 1423–43. Zob.: <https://doi.org/10.1093/annonc/mdw213>
- *Zalecenie Rady z dnia 2 grudnia 2003 r. w sprawie badań przesiewowych w kierunku raka* (2003/878/WE). Dz.U. L 327, 34–38, https://ec.europa.eu/jrc/sites/jrcsh/files/2_December_2003%20cancer%20screening.pdf
- De Koning H.J., Van der Aalst C.M., De Jong P.A. i in., *Reduced Lung-Cancer Mortality with Volume CT Screening in a Randomised Trial*, *N Engl J Med.*, 6 lutego 2020 r., 382(6): s. 503–513, <https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa1911793>
- *Podstawowe wymogi dotyczące wysokiej jakości opieki nad chorymi na raka* opublikowane przez Europejską Organizację ds. Raka: <https://www.europecancer.org/2-content/8-erqcc>
- Dokument przedstawiający stanowisko Europejskiego Towarzystwa Urologicznego w sprawie badań przesiewowych poziomu PSA w kierunku raka prostaty, 2019 r. Zob.: <http://epad.uroweb.org/mission-vision/white-paper/>
- Europejski system informacji o raku (ECIS): <https://ecis.jrc.ec.europa.eu/>
- Europejski kodeks walki z rakiem: <https://cancer-code-europe.iarc.fr/index.php/en/>
- Europejski kodeks walki z rakiem – uzasadnienie naukowe: <https://cancer-code-europe.iarc.fr/index.php/en/scientific-justification>
- Europejska Organizacja ds. Badań i Leczenia Nowotworów, *Treatment Optimisation manifesto (Manifesto optymalizacji leczenia)*, dostępny pod adresem: <https://www.eortc.org/app/uploads/2020/05/Manifesto-29052020.pdf>
- Europejskie Towarzystwo Onkologii Radiacyjnej (ESTRO), projekt *Kwestie ekonomiczne dotyczące zdrowia w onkologii radiacyjnej (HERO)*: <https://www.estro.org/Advocacy/HERO>
- Europejskie Towarzystwo Onkologii Chirurgicznej (ESSO), biała księga, *The value of surgical oncology in the management of cancer patients (Wartość onkologii chirurgicznej w leczeniu chorych na raka)*, dostępna pod adresem: <https://www.essoweb.org/media/documents/value-of-surgical-oncology.pdf>

- Gatta G., Botta L., Rossi S. i in., *Childhood cancer survival in Europe 1999-2007: results of EUROCARE-5—a population-based study*, *Lancet Oncol*, 2014 r., nr 15(1), s. 35–47: [https://doi.org/10.1016/S1470-2045\(13\)70548-5](https://doi.org/10.1016/S1470-2045(13)70548-5)
- Gatta G., Capocaccia R., Botta L. i in., *Burden and centralised treatment in Europe of rare tumours: results of RARECAREnet—a population-based study*, *Lancet Oncol*, sierpień 2017 r.; 18(8): s. 1022–1039, [https://doi.org/10.1016/S1470-2045\(17\)30445-X](https://doi.org/10.1016/S1470-2045(17)30445-X)
- *Guide to cancer early diagnosis (Przewodnik po wczesnej diagnostyce nowotworów)*. Genewa: Światowa Organizacja Zdrowia; 2017 r.: https://www.who.int/cancer/publications/cancer_early_diagnosis/en/
- Hanahan D., Weinberg R.A., *Hallmarks of cancer: the next generation*. *Cell*, 4 marca 2011 r.; 144(5): s. 646–74, <https://doi.org/10.1016/j.cell.2011.02.013>
- Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem (IARC), Światowe Obserwatorium Raka: <https://gco.iarc.fr/>
- Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem (IARC), *Monografie dotyczące identyfikacji zagrożeń rakotwórczych dla ludzi. Wykaz sklasyfikowanych czynników*, t. 1–125: <https://monographs.iarc.fr/agents-classified-by-the-iarc/>
- Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem (2018), *Les cancers attribuables au mode de vie et à l'environnement en France métropolitaine*. Lyon: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem. Dostępne na stronie internetowej: http://gco.iarc.fr/resources/paf-france_fr.php
- Wspólne działanie w zakresie nowotworów rzadkich (2019), *Agenda na rzecz walki z nowotworami rzadkimi 2030: Dziesięć zaleceń na podstawie wspólnego działania UE w zakresie nowotworów rzadkich*: https://jointactionrarecancers.eu/attachments/article/265/Rare_Cancer_Agenda_2030.pdf
- Lawler M., Naredi P., Cufer T. i in., *Lancet Oncology European Groundshot Commission, Moonshot or groundshot: addressing Europe's cancer challenge through a patient-focused, data-enabled lens*. *Lancet Oncol.*, 2019 r.; 20: s. 1482–1485, [https://doi.org/10.1016/S1470-2045\(19\)30648-5](https://doi.org/10.1016/S1470-2045(19)30648-5)
- Philip T., Karjalainen S., De Lorenzo F. i in., *What could be a cancer mission objective if we join our forces in the fight against cancer?* *Tumori*, grudzień 2019 r.; 105(6): s. 447–455; <https://doi.org/10.1177/0300891619886351>
- Schüz J., Espina C., Wild C.P., *Primary prevention: a need for concerted action*, *Mol Oncol.*, marzec 2019 r.; 13(3): s. 567–578, <https://doi.org/10.1002/1878-0261.12432>
- Selby P., Liu L., Downing A. i in., *How can clinical research improve European health outcomes in cancer?* *Journal of Cancer Policy* 2019; 20: 100182, s. 1–6., <https://doi.org/10.1016/j.jcipo.2019.100182>
- Steliarova-Foucher E., Stiller C., Lacour B. i in., *International Classification of Childhood Cancer (Międzynarodowa klasyfikacja nowotworów dziecięcych)*, wydanie trzecie. *Cancer* 2005; 103: s. 1457–1467, <https://doi.org/10.1002/cncr.20910>
- Sprawozdanie Economist Intelligence Unit (EIU) / Europejskiego Towarzystwa Onkologii Medycznej (ESMO), *Cancer medicines shortages in Europe: Policy recommendations to prevent and manage shortages (Niedobory leków na raka w Europie: zalecenia polityczne mające na celu zapobieganie niedoborom i zarządzanie nimi)*, <https://www.eiu.com/graphics/marketing/pdf/ESMO-Cancer-medicines-shortages.pdf>

- Vassal G., Schrappe M., Pritchard-Jones K. i in., *The SIOPE strategic plan: A European cancer plan for children and adolescents (Plan strategiczny SIOPE: Europejski plan walki z rakiem wśród dzieci i młodzieży)*. *Journal of Cancer Policy* 2016; 8: s. 17–32, <https://doi.org/10.1016/j.jcpo.2016.03.007>
- Wild C.P., Weiderpass E., Stewart B.W., red. (2020). *World Cancer Report: Cancer Research for Cancer Prevention (Światowy raport na temat nowotworów: badania nad rakiem na potrzeby profilaktyki nowotworowej)*. Lyon, Francja: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, <http://publications.iarc.fr/586>.
- *World Cancer Report 2014 (Światowy raport na temat nowotworów z 2014 r.)*. Genewa, Szwajcaria: Światowa Organizacja Zdrowia, Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, WHO Press, 2015 r., WHO Press, 2015 r., https://www.who.int/cancer/publications/WRC_2014/en/.

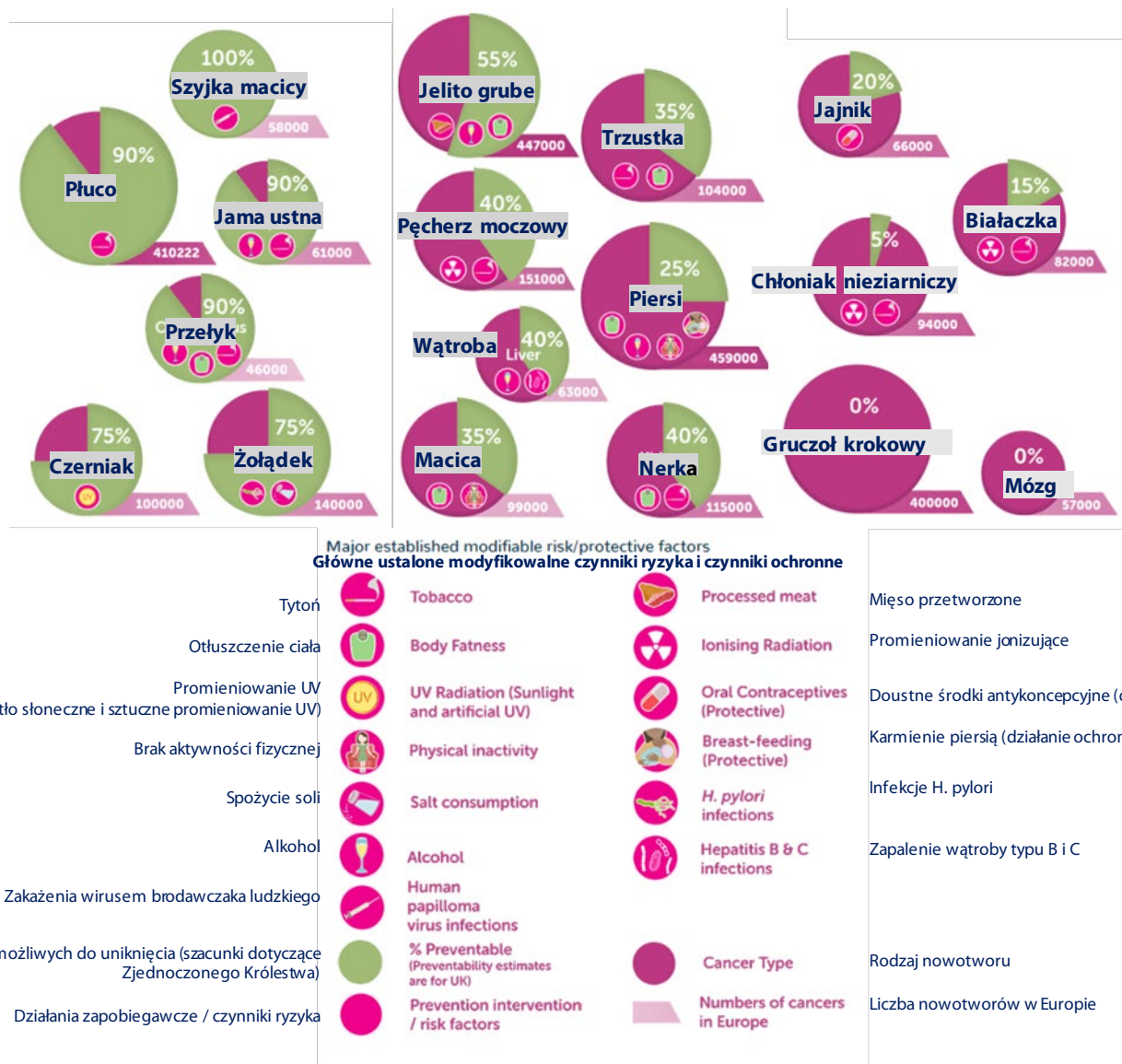
ZAŁĄCZNIK 1: EPIDEMIOLOGIA NOWOTWORÓW NAJCZĘŚCIEJ WYSTĘPUJĄCYCH W UE W 2018 R.

Tabela 6: Zachorowalność i umieralność na 15 nowotworów najczęściej występujących w UE w 2018 r.

Narząd / rodzaj nowotworu	ZACHOROWALNOŚĆ Szacowane nowe przypadki w UE-27 w 2018 r.	UMIERALNOŚĆ Szacowana liczba zgonów w UE-27 w 2018 r.
Piersi	349 481	86 906
Jelito grube	330 553	152 276
Gruzoł krokowy	319 441	68 397
Płuca	312 281	258 452
Pęcherz moczowy	152 232	46 822
Czerniak skóry	102 653	17 225
Trzustka	88 631	85 330
Nerka	85 531	34 600
Chłoniak nieziarniczny	81 452	33 908
Żołądek	73 841	54 007
Trzon macicy	68 243	16 366
Białaczka	63 589	42 549
Wątroba	57 956	52 650
Tarczycyca	53 497	4 500
Mózg, ośrodkowy układ nerwowy	43 183	33 906
Wszystkie nowotwory	2 835 930	1 246 462

Źródło: Światowe Obserwatorium Raka IARC <https://gco.iarc.fr/> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

ZAŁĄCZNIK 2: UDZIAŁ NOWOTWORÓW, KTÓRYM MOŻNA ZAPOBIEC (RODZAJE NOWOTWORÓW NAJCZĘŚCIEJ WYSTĘPUJĄCE W EUROPIE)



Źródło: Na podstawie strony internetowej Cancer Prevention Europe <https://cancerprevention europe.iarc.fr/preventable-cancers/> (dostęp: marzec 2020 r.).

Uwaga: NHL: Chłoniak nieziarniczy.

Dane o szacowanej zachorowalności w 2012 r. pobrano ze strony Światowego Obserwatorium Raka Międzynarodowej Agencji Badań nad Rakiem: <https://gco.iarc.fr>.

Dane dotyczące wycinka, który można przypisać czynnikowi ryzyka, pobrano z Brown KF, Rungay H, Dunlop C i in. The fraction of cancer attributable to modifiable risk factors in England, Wales, Scotland, Northern Ireland, and the United Kingdom in 2015. Br J Cancer., kwiecień 2018 r.; 118(8):s. 1130–1141.

ZAŁĄCZNIK 3: EUROPEJSKI KODEKS WALKI Z RAKIEM (WYDANIE 4)

EUROPEJSKI KODEKS WALKI Z RAKIEM

12 sposobów na zmniejszenie ryzyka zachorowania na raka

- 1 Nie pal. Nie używaj tytoniu w żadnej postaci.
- 2 Stwórz w domu środowisko wolne od dymu tytoniowego. Wspieraj politykę miejsca pracy wolnego od tytoniu.
- 3 Utrzymuj prawidłową masę ciała.
- 4 Bądź aktywny fizycznie w codziennym życiu. Ogranicz czas spędzany na siedząco.
- 5 Przestrzegaj zaleceń prawidłowego sposobu żywienia:
 - jedz dużo produktów pełnoziarnistych, roślin strączkowych, warzyw i owoców;
 - ogranicz spożycie wysokokalorycznych produktów spożywczych (o wysokiej zawartości cukru lub tłuszczu) i unikaj napojów słodzonych;
 - unikaj przetworzonego mięsa; ogranicz spożycie mięsa czerwonego i żywności z dużą ilością soli.
- 6 Jeśli pijesz alkohol dowolnego rodzaju, ogranicz jego spożycie. Abstynencja pomaga zapobiegać nowotworom.
- 7 Unikaj nadmiernej ekspozycji na promienie słoneczne (dotyczy to szczególnie dzieci). Chroń się przed słońcem, używaj produktów przeznaczonych do ochrony przeciwsłonecznej. Nie korzystaj z solarium.
- 8 Chroń się przed działaniem substancji rakotwórczych w miejscu pracy. Postępuj zgodnie z zaleceniami dotyczącymi bezpieczeństwa i higieny pracy.
- 9 Dowiedz się, czy w domu jesteś narażony na naturalne promieniowanie spowodowane wysokim stężeniem radonu. Podejmij działania na rzecz zmniejszenia jego poziomu.
- 10 Kobiety powinny pamiętać o tym, że:
 - karmienie piersią zmniejsza u matki ryzyko zachorowania na nowotwory. Jeśli możesz, karm swoje dziecko piersią;
 - hormonalna terapia zastępcza zwiększa ryzyko rozwoju niektórych nowotworów. Ogranicz jej stosowanie.
- 11 Zadbaj o to, aby twoje dzieci poddano szczepieniom ochronnym przeciwko:
 - wirusowemu zapaleniu wątroby typu B (dotyczy noworodków);
 - wirusowi brodawczaka ludzkiego – HPV (dotyczy dziewcząt).
- 12 Bierz udział w zorganizowanych programach badań przesiewowych w celu wczesnego wykrywania:
 - raka jelita grubego (zalecenie dotyczy zarówno mężczyzn, jak i kobiet);
 - raka piersi (u kobiet);
 - raka szyjki macicy (u kobiet).

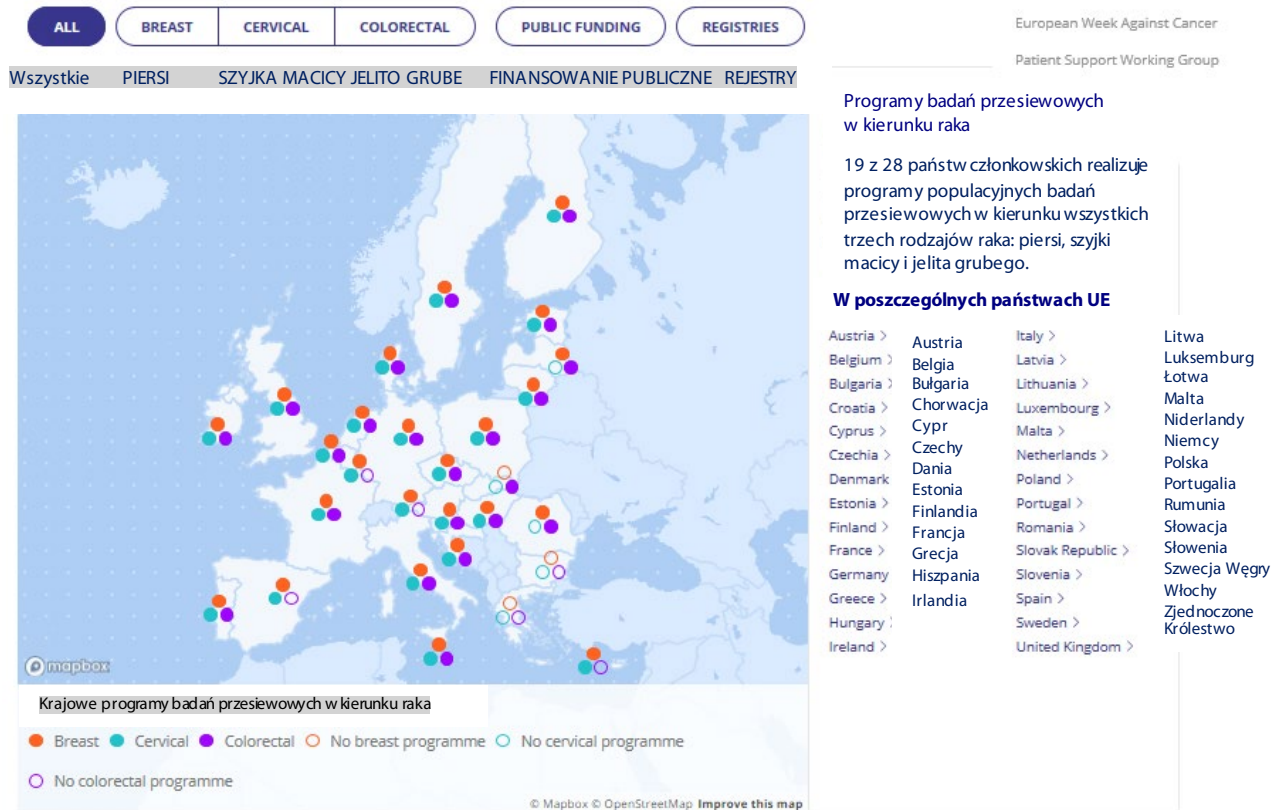
Europejski kodeks walki z rakiem koncentruje się na działaniach, jakie mogą podjąć obywatele, aby zapobiegać nowotworom. Skuteczne zapobieganie chorobom nowotworowym wymaga, aby te indywidualne działania były wspierane przez politykę i działania rządu.

Więcej informacji na temat Europejskiego kodeksu walki z rakiem znajduje się na stronie:
<http://cancer-code-europe.iarc.fr>

Niniejszy projekt jest współfinansowany przez Unię Europejską i koordynowany przez Międzynarodową Agencję Badań nad Rakiem.

Źródło: Na podstawie strony internetowej Europejskiego Kodeksu Walki z Rakiem: <https://cancer-code-europe.iarc.fr/index.php/en/> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

ZAŁĄCZNIK 4: WDRAŻANIE ZALECANYCH PROGRAMÓW BADAŃ PRZESIEWOWYCH (1/2)



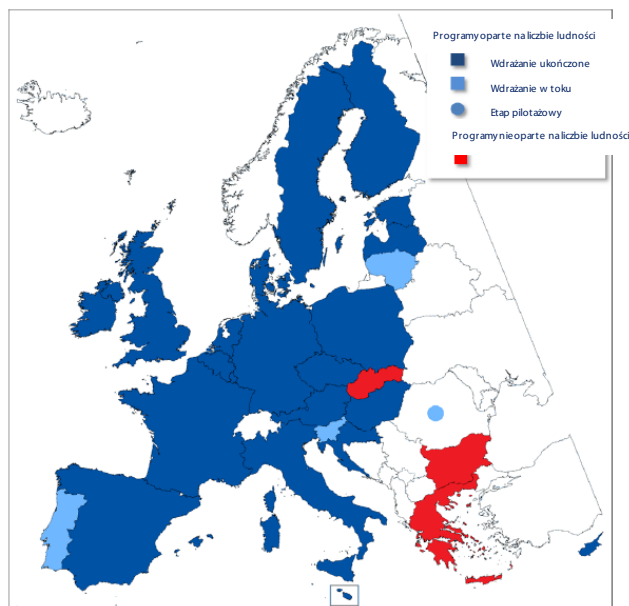
Piersi Szyjka macicy Jelito grube Brak programu badań piersi Brak programu badań szyjki macicy

Brak programu badań jelita grubego

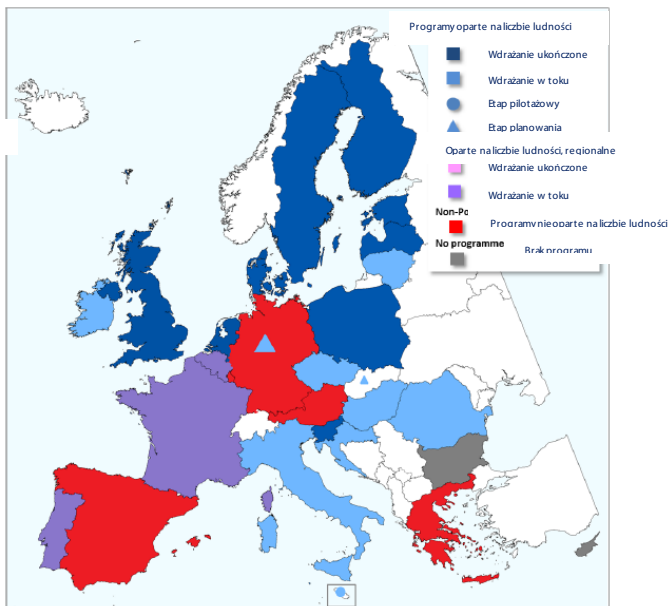
Źródło: Interaktywna mapa Stowarzyszenia Europejskich Lig Walki z Rakiem przedstawiająca krajowe działania na rzecz wdrażania programów badań przesiewowych w kierunku nowotworów, w ramach polityki dotyczącej zaleceń zawartych w Europejskim kodeksie walki z rakiem w celu zmniejszenia ryzyka zachorowania na raka; pobrana ze strony internetowej: <https://www.europeancancerleagues.org/cancer-prevention-ecac-map/#12> (dostęp: marzec 2020 r.).

ZAŁĄCZNIK 5: WDRAŻANIE ZALECANYCH PROGRAMÓW BADAŃ PRZESIEWOWYCH (2/2)

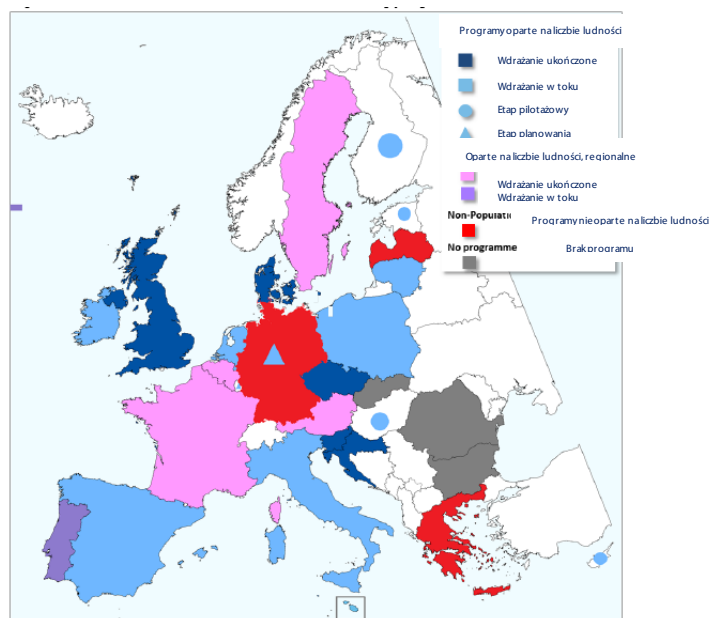
Badania przesiewowe w kierunku raka piersi



Badania przesiewowe w kierunku raka szyjki macicy



Badania przesiewowe w kierunku raka jelita grubego



Źródło: Cancer screening in the European Union: Sprawozdanie z wdrażania zalecenia Rady w sprawie badań przesiewowych w kierunku raka (wydanie drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, 2017 r. Dostępne na stronie internetowej: https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/major_chronic_diseases/docs/2017_cancerscreening_2ndreportimplementation_en.pdf

ZAŁĄCZNIK 6: ORGANIZACJA ZALECANYCH PROGRAMÓW BADAŃ PRZESIEWOWYCH W KIERUNKU RAKA

Tabela 7: Przyjęte populacje docelowe i odstęp między badaniami przesiewowymi w zalecanych programach badań przesiewowych w kierunku raka w państwach członkowskich UE i w Zjednoczonym Królestwie w 2017 r.

	W kierunku raka piersi		W kierunku raka szyjki macicy		W kierunku raka jelita grubego	
	Populacja docelowa (kobiety 50–69)	Odstęp między badaniami (2 lub 3 lata)	Populacja docelowa (kobiety 30–59 ⁸¹¹)	Odstęp między badaniami (3–5 lat)	Populacja docelowa (kobiety i mężczyźni 50–4)	Odstęp między badaniami (2 lata) ⁸¹²
Większa populacja / krótszy odstęp	9	0	20	2	2	2
Zalecana populacja / Zalecany odstęp	15	25	1	20	7	20
Mniejsza populacja / dłuższy odstęp	1	0	1	0	14	0

Źródło: Cancer screening in the European Union: sprawozdanie z wdrażania zalecenia Rady w sprawie badań przesiewowych w kierunku raka (wydanie drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, 2017 r.

Uwaga: Prezentowane liczby odpowiadają liczbie państw członkowskich UE i Zjednoczonemu Królestwu, które zgłosiły informacje o przestrzeganiu programu badań przesiewowych w kierunku raka.

⁸¹¹ W przypadku badań przesiewowych w kierunku raka szyjki macicy w zaleceniach Rady z 2003 r. ani w późniejszych wytycznych europejskich nie określono docelowego przedziału wiekowego; ta grupa wiekowa (kobiety w wieku od 30 do 59 lat) jest jednak wspólna dla wszystkich populacyjnych programów badań przesiewowych w kierunku raka szyjki macicy wdrażanych w państwach członkowskich UE w 2017 r., z wyjątkiem obecnego programu pilotażowego na Malcie.

⁸¹² Zalecane odstępy między badaniami przesiewowymi dla programów wykorzystujących gFOBT (test gwajakowy pod kątem krwi utajonej w kale) lub FIT (badanie immunologiczne kału) jako badania przesiewowe; z wyjątkiem Polski, gdzie oferowana jest tylko kolonoskopia.

ZAŁĄCZNIK 7: REALIZACJA ZALECANYCH PROGRAMÓW BADAŃ PRZESIEWOWYCH W KIERUNKU RAKA W UE (1/2)

Tabela 8: Zakres badań przesiewowych i wskaźniki udziału (frekwencja) w zalecanych programach badań przesiewowych w kierunku raka w państwach członkowskich UE i w Zjednoczonym Królestwie w 2013 r.

	W kierunku raka piersi ⁸¹³			W kierunku raka szyjki macicy ⁸¹⁴			W kierunku raka jelita grubego		
Austria	36,9%	INDI	INDI	NPBSP	NPBSP	NPBSP	ND	ND	ND
Belgia ^{815, 816}	33,0%	99,7%	31,5%	3,9%	33,8%	11,6%	22,7%	81,4%	27,9%
Bułgaria	NPBSP	NPBSP	NPBSP	NSP	NSP	NSP	NSP	NSP	NSP
Chorwacja	45,1%	104,8%	43,1%	10,8%	105,1%	10,3%	15,3%	100,5%	15,3%
Cypr ⁸¹⁷	16,5%	39,6%	37,7%	NSP	NSP	NSP	ND	ND	ND
Republika Czeska	59,1%	INDI	INDI	ND	ND	ND	24,8%	NBPSP	NBPSP
Dania	72,0%	82,3%	83,5%	45,4%	67,1%	67,7%	ND	ND	ND
Estonia	45,9%	69,2%	66,3%	44,4%	77,1%	57,5%	P	P	P
Finlandia ⁸¹⁸	76,1%	91,6%	83,0%	64,4%	97,9%	65,8%	6,9%	10,5%	66,6%
Francja ⁸¹⁹	52,3%	102,7%	51,0%	12,2%	56,0%	21,9%	26,5%	99,1%	24,4%
Niemcy	52,7%	90,8%	56,3%	P	P	P	P	P	P
Grecja	NPBSP	NPBSP	NPBSP	NPBSP	NPBSP	NPBSP	NPBSP	NPBSP	NPBSP
Węgry ⁸²⁰	38,4%	78,5%	59,0%	4,6%	15,2%	30,1%	0,5%	1,5%	36,7%
Irlandia ⁸²¹	76,2%	110,5%	68,7%	ND	ND	ND	4,4%	10,9%	43,1%
Włochy ⁸²²	39,1%	70,6%	55,4%	27,2%	65,1%	41,8%	23,8%	52,4%	45,7%
Łotwa	33,6%	98,4%	53,8%	34,0%	92,7%	36,7%	11,1%	NPBSP	NPBSP
Litwa	44,9%	INDI	INDI	36,4%	75,5%	48,2%	53,1%	AISNI	AISNI
Luksemburg	60,4%	107,5%	56,6%	NPBSP	NPBSP	NPBSP	P	P	P

⁸¹³ Badania przesiewowe w kierunku raka piersi w Estonii, na Węgrzech i w Irlandii: tylko w przedziale wiekowym 50–64 lata.

⁸¹⁴ Badania przesiewowe w kierunku raka szyjki macicy w Chorwacji, Polsce, Portugalii i Rumunii: dane zgłaszane bez podziału według grup wiekowych, a więc nie w grupie wiekowej 30–59 lat, lecz w całym wykorzystywanym docelowym przedziale wiekowym (tj. 25–59 lat w przypadku Polski oraz 25–64 lata w przypadku Chorwacji, Portugalii i Rumunii).

⁸¹⁵ Badania przesiewowe w kierunku raka szyjki macicy w Belgii: tylko w regionie Flandrii.

⁸¹⁶ Badania przesiewowe w kierunku raka jelita grubego w Belgii: tylko w przedziale wiekowym 56–74 w regionie Flandrii.

⁸¹⁷ Badania przesiewowe w kierunku raka piersi na Cyprze: dane o liczbie osób zaproszonych na badania podano tylko dla regionu Nikozji.

⁸¹⁸ Badania przesiewowe w kierunku raka jelita grubego w Finlandii: tylko w przedziale wiekowym 60–69.

⁸¹⁹ Badania przesiewowe w kierunku raka szyjki macicy we Francji: dane przedstawiono tylko dla 13 okręgów, stanowiących łącznie 13% krajowej populacji docelowej.

⁸²⁰ Badania przesiewowe w kierunku raka jelita grubego na Węgrzech: tylko w przedziale wiekowym 50–70 lat.

⁸²¹ Badania przesiewowe w kierunku raka jelita grubego w Irlandii: tylko w przedziale wiekowym 60–69 lat.

⁸²² Badania przesiewowe w kierunku raka jelita grubego we Włoszech: tylko w przedziale wiekowym 50–69 lat.

	W kierunku raka piersi ⁸¹³			W kierunku raka szyjki macicy ⁸¹⁴			W kierunku raka jelita grubego		
Malta ⁸²³	36,4%	78,8%	58,1%	ND	ND	ND	10,2%	28,5%	35,7%
Niderlandy ⁸²⁴	77,5%	96,7%	80,1%	63,8%	96,7%	66,0%	15,0%	20,2%	74,0%
Polska ⁸²⁵	44,0%	101,8%	63,1%	17,8%	97,7%	18,2%	2,1%	12,5%	16,7%
Portugalia ^{826, 827}	33,8%	55,4%	60,0%	11,7%	18,6%	NC	1,0%	1,6%	62,8%
Rumunia ⁸²⁸	0,2%	0,2%	82,0%	9,2%	65,0%	14,2%	NSP	NSP	NSP
Słowacja	NPBSP	NPBSP	NPBSP	P	P	P	NSP	NSP	NSP
Słowenia ⁸²⁹	19,1%	20,9%	82,5%	ND	ND	ND	40,3%	80,0%	50,5%
Hiszpania ⁸³⁰	59,7%	84,7%	70,4%	NPBSP	NPBSP	NPBSP	7,2%	14,2%	52,2%
Szwecja ^{831, 832}	76,5%	93,3%	73,2%	70,6%	79,9%	53,7%	5,1%	8,5%	60,2%
Zjednoczone Królestwo ^{833, 834, 835}	83,6%	111,0%	71,7%	62,1%	102,1%	59,4%	32,8%	58,7%	55,4%

Źródło: Cancer screening in the European Union: sprawozdanie z wdrażania zalecenia Rady w sprawie badań przesiewowych w kierunku raka (wydanie drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem., 2017 r.

Uwaga: E.C.R.: wskaźnik zasięgu badań; I.C.R.: wskaźnik zasięgu zaproszeń; P.R.: frekwencja.

AISNI: nie wdrożono aktywnego systemu zaproszeń (wezwanie-ponowne wezwanie); INDI: zaproszenia nieudokumentowane lub niewysyłane w roku indeksowym; NC: nie obliczono; ND: brak danych; NPBSP: programy badań przesiewowych inne niż populacyjne; NSP: brak programu badań przesiewowych; P: faza planowania programu badań przesiewowych, brak danych.

Wskaźnik zasięgu zaproszeń powyżej 100% odzwierciedla zmienność między latami w odstępie czasowym między kolejnymi badaniami. Jeżeli wynosi on 3 lata, to w roku indeksowym ponad jedna trzecia populacji docelowej może być zaproszona na badania przesiewowe, wskaźnik zasięgu zaproszeń przekroczy zatem 100% „rocznej populacji docelowej” jako wartości odniesienia (iloraz populacji docelowej przez odstęp między kolejnymi badaniami przesiewowymi).

⁸²³ Badania przesiewowe w kierunku raka jelita grubego na Malcie: tylko w przedziale wiekowym 60–64 lata.

⁸²⁴ Badania przesiewowe w kierunku raka jelita grubego w Niderlandach: tylko w przedziale wiekowym 55–75 lat.

⁸²⁵ Badania przesiewowe w kierunku raka jelita grubego w Polsce: tylko w przedziale wiekowym 55–64 lata.

⁸²⁶ Badania przesiewowe w kierunku raka szyjki macicy w Portugalii: nie podano danych dla regionu Azorów.

⁸²⁷ Badania przesiewowe w kierunku raka jelita grubego w Portugalii: tylko w przedziale wiekowym 50–70 lat.

⁸²⁸ Badania przesiewowe w kierunku raka piersi w Rumunii: program pilotażowy prowadzony tylko w regionie Klużu.

⁸²⁹ Badania przesiewowe w kierunku raka jelita grubego w Słowenii: tylko w przedziale wiekowym 50–69 lat.

⁸³⁰ Badania przesiewowe w kierunku raka jelita grubego w Hiszpanii: tylko w przedziale wiekowym 50–69 lat.

⁸³¹ Badania przesiewowe w kierunku raka piersi w Szwecji: frekwencja obliczona wyłącznie na podstawie danych z regionu Sztokholmu Gotlandii.

⁸³² Badania przesiewowe w kierunku raka jelita grubego w Szwecji: tylko w przedziale wiekowym 60–69 lat i tylko w regionie Sztokholmu Gotlandii.

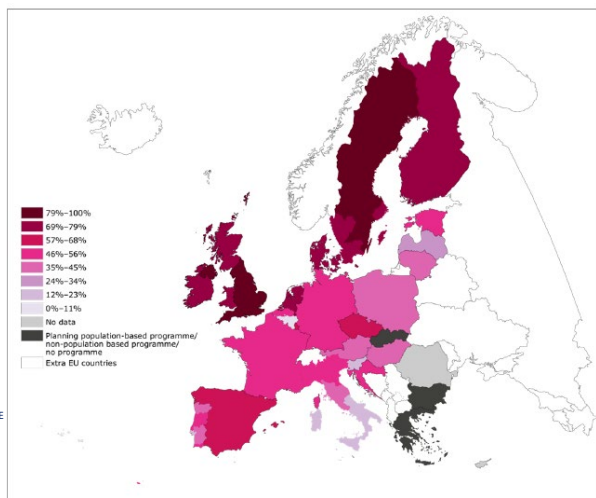
⁸³³ Badania przesiewowe w kierunku raka piersi w Zjednoczonym Królestwie: dane dostarczone dla wieku docelowego 50–70 lat; frekwencja obliczona z wyłączeniem Szkocji.

⁸³⁴ Badania przesiewowe w kierunku raka szyjki macicy w Zjednoczonym Królestwie: brak danych o badaniach w Szkocji; frekwencja obliczona z uwzględnieniem tylko Anglii i Irlandii Północnej.

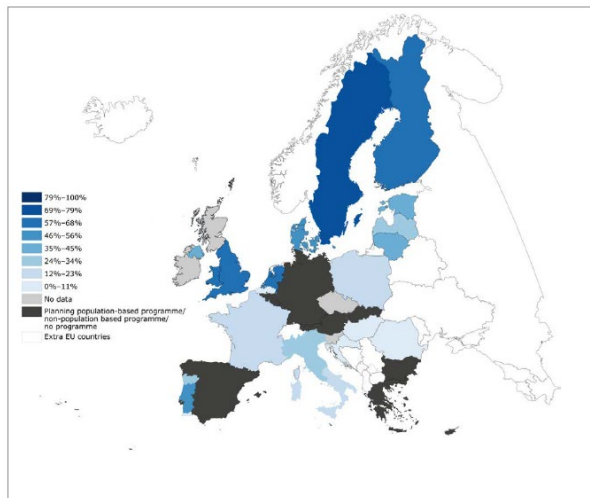
⁸³⁵ Badania przesiewowe w kierunku raka jelita grubego w Zjednoczonym Królestwie: tylko w przedziale wiekowym 60–74 lata, z wyjątkiem Szkocji (50–74).

ZAŁĄCZNIK 8: REALIZACJA ZALECANYCH PROGRAMÓW BADAŃ PRZESIEWOWYCH W KIERUNKU RAKA W UE (2/2)

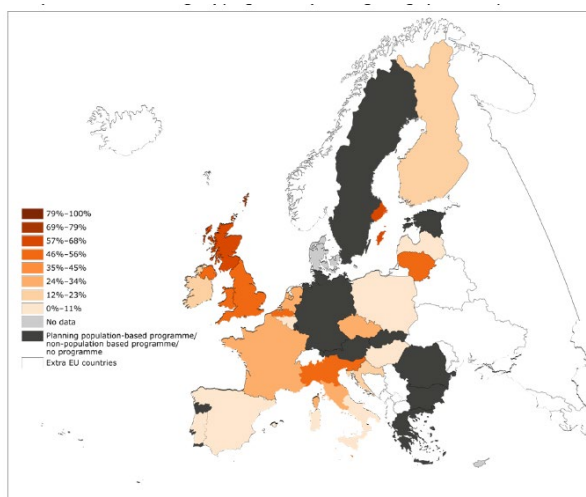
Badania przesiewowe w kierunku raka piersi



Badania przesiewowe w kierunku raka szyjki macicy



Badania przesiewowe w kierunku raka jelita grubego



Źródło: Cancer screening in the European Union: Sprawozdanie z wdrażania zalecenia Rady w sprawie badań przesiewowych w kierunku raka (wydanie drugie). Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem, 2017 r.

Uwaga: Wskaźniki zasięgu badań w zalecanych programach badań przesiewowych w kierunku raka w populacjach docelowych w poszczególnych państwach członkowskich UE (z wyjątkiem badań przesiewowych w kierunku raka szyjki macicy, gdzie podano wskaźnik zasięgu badań wśród wszystkich kobiet).

ZAŁĄCZNIK 9: EPIDEMIOLOGIA NOWOTWORÓW W PAŃSTWACH CZŁONKOWSKICH UE

Tabela 9: Szacunkowa zachorowalność na nowotwory, umieralność i przeżywalność w państwach członkowskich UE

	PRZEŻYWALNOŚĆ Znormalizowany wiekowo względny wskaźnik 5-letnich przeżyć w latach 2000– 2007 (%)	ZACHOROWALNOŚĆ Względna zmiana znormalizowanego wiekowo współczynnika zachorowalności w 2018 r. w stosunku do średniej UE-28 (%)	UMIERALNOŚĆ Względna zmiana znormalizowanego wiekowo współczynnika umieralności w 2018 r. w stosunku do średniej UE-28 (%)
Austria	60,10	-17,47	-8,74
Belgia	60,44	12,13	-3,10
Bułgaria	38,72	-21,34	-3,63
Chorwacja	46,23	-2,36	24,77
Cypr	ND	-12,97	4,99
Republika Czeska	50,66	2,37	-0,98
Dania	50,92	16,26	14,67
Estonia	45,99	-0,53	9,49
Finlandia	61,36	-6,17	-18,84
Francja	58,62	10,79	0,42
Niemcy	59,09	1,28	-1,74
Grecja	ND	-3,94	2,27
Węgry	ND	20,32	30,14
Irlandia	53,95	19,03	2,91
Włochy	56,77	-2,97	-9,23
Łotwa	41,69	3,87	12,90
Litwa	46,06	-5,54	9,34
Luksemburg	ND	4,45	-10,29
Malta	52,93	-9,63	-14,64
Niderlandy	54,57	8,10	6,92
Polska	40,59	-11,93	18,08
Portugalia	56,39	-13,60	-6,73

	PRZEŻYWALNOŚĆ Znormalizowany wiekowo względny wskaźnik 5-letnich przeżyć w latach 2000– 2007 (%)	ZACHOROWALNOŚĆ Względna zmiana znormalizowanego wiekowo współczynnika zachorowalności w 2018 r. w stosunku do średniej UE-28 (%)	UMIERALNOŚĆ Względna zmiana znormalizowanego wiekowo współczynnika umieralności w 2018 r. w stosunku do średniej UE-28 (%)
Rumunia	ND	-24,76	1,13
Słowacja	44,75	3,41	30,30
Słowenia	47,79	5,24	11,88
Hiszpania	52,82	-9,44	-14,26
Szwecja	64,75	-0,93	-11,08
Średnia europejska	53,23	0,00	0,00

Źródło: Europejski system informacji o raku (ECIS): <https://ecis.jrc.ec.europa.eu/index.php> (dostęp: czerwiec 2020 r.).

Uwaga: BD: brak danych.

ZAŁĄCZNIK 10: EPIDEMIOLOGIA RODZIN NOWOTWORÓW RZADKICH

Tabela 10: Szacunkowa zachorowalność, chorobowość i przeżywalność w poszczególnych rodzinach nowotworów rzadkich w UE

	ZACHOROWALNOŚĆ		CHOROBY	PRZEŻYWALNOŚĆ
	Ogólny współczynnik zachorowalności na 100 000 osób w latach 2000-2007	Szacowane nowe przypadki w UE w 2013 r.	Szacowane przypadki w UE w 2008 r.	Szacowana przeżywalność w skali 5 lat w latach 2000-2007
Wszystkie nowotwory rzadkie	114,99	636 753	5 085 137	48,5%
Nowotwory głowy i szyi	18,82	84 989	598 903	52,1%
Nowotwory przewodu pokarmowego	21,94	112 351	226 227	15,3%
Nowotwory klatki piersiowej	6,80	37 277	80 002	13,4%
Nowotwory żeńskich narządów płciowych	22,73	113 796	1 263 296	57,7%
Nowotwory męskich narządów płciowych i układu moczowo-płciowego	7,09	38 138	611 401	73,6%
Guzy neuroendokrynne	3,51	19 587	159 889	53,5%
Nowotwory układu endokrynologicznego	5,35	28 322	371 695	88,1%
Mięsaki	5,86	31 916	340 916	59,5%
Nowotwory ośrodkowego układu nerwowego ⁸³⁶	7,56	36 343	216 580	21,3%
Nowotwory skóry i czerniaki pozaskórne	1,22	7 086	78 812	70,2%
Nowotwory dziecięce ⁸³⁷	0,34	1 822	36 987	78,6%
Hematologiczne choroby złośliwe	27,73	156 099	1 205 475	50,5%

Źródło: Gatta G, Capocaccia R, Botta L, i in. Burden and centralised treatment in Europe of rare tumours: results of RARECAREnet-a population-based study *Lancet Oncol.*, sierpień 2017 r.; 18(8): s. 1022-1039. Internetowe narzędzie analityczne dostępne na stronie internetowej RARECAREnet. <http://www.rarecaren.net/analysis.php> (dostęp: luty 2020 r.).

⁸³⁶ Ośrodkowy układ nerwowy.

⁸³⁷ Ta rodzina nie obejmuje całego obciążenia nowotworami dziecięcymi; obejmuje pewną liczbę nowotworów komórek blastycznych, o których wiadomo, że występują w populacji pediatrycznej, w której występują jednak również rzadkie jednostki nowotworowe ujęte w innych klasach (zob. załącznik 2³¹) czy też jednostki nowotworowe sklasyfikowane jako powszechne w całej populacji, ale rzadko dotykające dzieci. Międzynarodowa Klasyfikacja Nowotworów Dziecięcych (ICCC3) jest najczęściej przywoływana w dziedzinie nowotworów dziecięcych (zob. punkt 4.2).

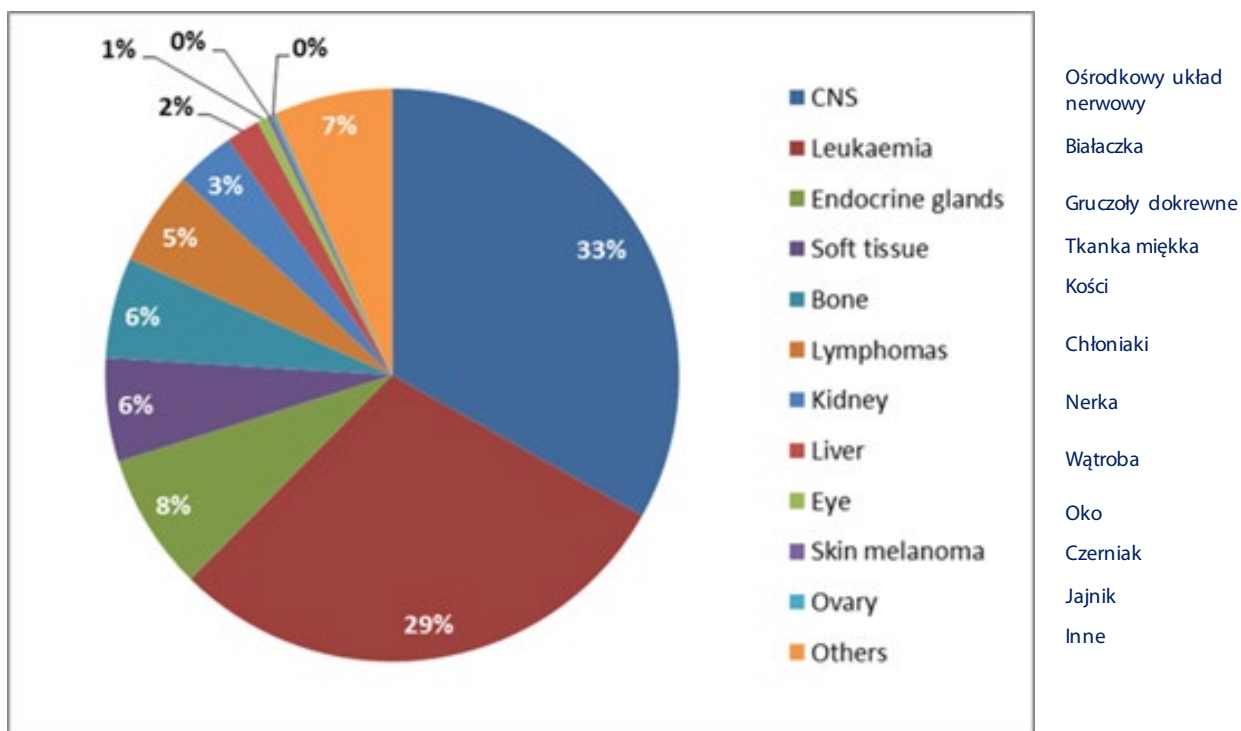
ZAŁĄCZNIK 11: EPIDEMIOLOGIA NOWOTWORÓW DZIECIĘCYCH

Tabela 11: Szacunkowa zachorowalność i umieralność na nowotwory dziecięce w Europie w 2018 r.

		Europejski obszar działania WHO	UE-27	Europejski obszar działania WHO	UE-27
Wszystkie rodzaje nowotworów	0–24	38 370	24 075	6 337	3 367
	0–19	25 094	15 350	4 482	2 325
	0–14	17 455	10 256	3 256	1 606
Według rodzaju nowotworu	0–24				
Białaczka	0–24	7 242	4 175	1 653	843
Mózg, układ nerwowy	0–24	4 252	2 561	1 598	909
Ziarnica złośliwa	0–24	3 719	2 369	406	235
Jądro	0–24	3 505	2 637	148	65
Tarczyca	0–24	3 135	2 113	135	62
Czerniak	0–24	2 422	1 899	117	54
Chłoniak nieziarniczny	0–24	2 415	1 504	108	69
Inne nowotwory	0–24	11 680	6 817	2 172	1 130
Według rodzaju nowotworu	0–19				
Białaczka	0–19	6 509	3 713	1 318	645
Mózg, układ nerwowy	0–19	3 411	2 029	1 284	727
Ziarnica złośliwa	0–19	2 193	1 404	242	135
Chłoniak nieziarniczny	0–19	1 679	1 026	92	36
Tarczyca	0–19	1 276	848	92	43
Jądro	0–19	1 276	947	53	20
Nerka	0–19	1 117	619	23	12
Inne nowotwory	0–19	7 633	4 764	1 378	707
Według rodzaju nowotworu	0–14				
Białaczka	0–14	5 670	3 183	1 038	578
Mózg, układ nerwowy	0–14	2 720	1 591	1 010	459
Chłoniak nieziarniczny	0–14	1 196	716	138	68
Nerka	0–14	1 060	589	85	38
Ziarnica złośliwa	0–14	1 004	634	69	24
Tarczyca	0–14	341	213	13	2
Wątroba	0–14	293	152	8	1
Inne nowotwory	0–14	5 171	3 178	895	436

Źródło: Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem. 2018 r., Cancer Today. Pozyskano ze strony internetowej Cancer Today: <https://gco.iarc.fr/today/home>.

ZAŁĄCZNIK 12: PRZYCZYNY ZGONU W POPULACJI PEDIATRYCZNEJ WG RODZAJU NOWOTWORU



Źródło: Dzięki uprzejmości: Evely Steliarovej-Foucher w: Vassal G., Schrappe M, Pritchard-Jones K i in. The SIOPE strategic plan: A European cancer plan for children and adolescents, J Cancer Policy 2016;8: s. 17–32.

Uwaga: Odsetek wszystkich zgonów z powodu nowotworów u dzieci (w wieku 0–14 lat) we wszystkich 50 obszarach objętych populacyjnymi rejestrami nowotworów, z których przekazano Europejskiemu Obserwatorium Onkologii dane za lata 2000–2007 (N=6256). Przyczyny zgonów zaklasyfikowano zgodnie z dziesiątym wydaniem Międzynarodowej Klasyfikacji Chorób (ICD-10; WHO, 1992).

W niniejszym badaniu przedstawiono aktualną sytuację w Europie w dziedzinie walki z rakiem. Skupiono się zwłaszcza na czterech głównych obszarach: przyczynach nowotworów; badaniach przesiewowych w kierunku raka i wczesnej diagnozie; dostępie do leczenia raka, opieki i badań w tym zakresie; nowotworach rzadkich i dziecięcych. W każdym z tych obszarów przedstawiono najważniejsze wnioski i zalecenia.

Niniejszy dokument przedłożył Departament Tematyczny ds. Polityki Gospodarczej, Naukowej i Jakości Życia na zamówienie Komisji Ochrony Środowiska Naturalnego, Zdrowia Publicznego i Bezpieczeństwa Żywności (ENVI).

PE 642.388
IP/A/ENVI/2020-15

Wersja drukowana
Wersja PDF

ISBN 978-92-846-7531-9 | doi:10.2861/8225 | QA-03-20-132-PL-C
ISBN 978-92-846-7532-6 | doi:10.2861/339410 | QA-03-20-132-PL-N