



# Terapie infuzyjne w leczeniu zaawansowanej choroby Parkinsona w Polsce

RAPORT Z BADANIA ANKIETOWEGO

*Jakość życia pacjentów z zaawansowaną chorobą Parkinsona  
w trakcie leczenia z użyciem terapii infuzyjnych*

Izabela Obarska, Jarosław Sławek

Warszawa 2024

**Wydawca:**

HealthCare System Navigator Sp. z o.o.

**Partner raportu:**

Ever Pharma Poland sp. z o.o.

**Autorzy raportu:**

Izabela Obarska

Jarosław Sławek

**Skład i oprawa graficzna:**

RA-V, Rafał Pugacz

Niniejszy raport objęty jest prawami autorskimi. Wydawca oraz autorzy nie ponoszą odpowiedzialności za jakiegokolwiek ewentualne decyzje, które zostaną podjęte na podstawie niniejszego opracowania. Treści zawarte w niniejszym raporcie nie mają na celu promowania któregośkolwiek z wymienionych produktów leczniczych. Kopiowanie i powielanie oraz wykorzystywanie w takiej formie części lub całości raportu, w tym wykresów i tabel zawartych w publikacji, na jakimkolwiek polu eksploatacji bez pisemnej zgody wydawcy i autorów jest zabronione. Cytowanie fragmentów lub danych zawartych w raporcie powinno zawierać adnotację o źródle.

**Cytowanie:**

Obarska I., Sławek J., *Terapie infuzyjne w leczeniu zaawansowanej choroby Parkinsona w Polsce – rekomendacje zmian systemowych. Raport z badania ankietowego „Jakość życia pacjentów z zaawansowaną chorobą Parkinsona w trakcie leczenia z użyciem terapii infuzyjnych”*, HealthCare System Navigator, Warszawa 2024.

**ISBN:** 978-83-955345-5-3

Stan prawny na 1 stycznia 2024 r.

Patronat

**Konsultant krajowa w dziedzinie neurologii**



## Komentarze



prof. dr hab. n. med. Agnieszka Słowik

konsultant krajowa w dziedzinie neurologii

kierownik Katedry i Kliniki Neurologii  
Uniwersytet Jagielloński-Colegium Medicum

kierownik Oddziału Klinicznego Neurologii  
Szpital Uniwersytecki w Krakowie

Choroba Parkinsona jest drugą pod względem częstości występowania przewlekłą chorobą neurodegeneracyjną układu nerwowego z typowymi objawami ruchowymi, takimi jak: spowolnienie, drżenie spoczynkowe, sztywność mięśniowa oraz zaburzenia równowagi. W przeciwieństwie do atypowego parkinsonizmu i pozostałych chorób neurodegeneracyjnych, charakteryzuje się dość dobrym rokowaniem dotyczącym przeżycia, dzięki dostępności wielu skutecznych terapii. Ich wybór zależy od wieku chorego, czasu zachorowania, obecności chorób współistniejących oraz etapu choroby. W pierwszym okresie choroby (tzw. „miesiąc miodowy”), leczenie prowadzi do istotnej i stabilnej poprawy ruchowej spowodowanej bardzo dobrą reakcją na leki. Na późniejszym etapie choroby odpowiedź na leczenie nie jest już tak znacząca. W zaawansowanej chorobie Parkinsona dochodzi do nasilenia głównych objawów ruchowych, pojawienia się fluktuacji ruchów mimowolnych oraz dyskinez szczytu dawki i standardowe leczenie farmakologiczne staje się nieskuteczne. W zaawansowanej chorobie Parkinsona z powodzeniem stosowane są terapie infuzyjne: ciągłe podskórne wlewy apomorfiny lub dojelitowe wlewy lewodopy z karbidopą. Terapie te dostępne są dla polskich pacjentów w ramach programu lekowego *Leczenie zaburzeń motorycznych w przebiegu zaawansowanej choroby Parkinsona* realizowanego od 2017 roku. Na przestrzeni 6 lat obowiązywania programu lekowego dostępność do tych metod leczenia stale się poprawia, zarówno pod kątem liczby ośrodków prowadzących program, jak i wysokości kontraktów. Dodatkowo od marca ub. r. zmiany uległy kryteria kwalifikacji do programu, dzięki czemu polscy pacjenci są leczeni zgodnie z rekomendacjami Polskiego Towarzystwa Choroby Parkinsona i Innych Zaburzeń Ruchowych.

Choroba Parkinsona ma niekorzystny wpływ na jakość życia pacjentów. Skuteczne leczenie w istotny sposób pozwala pacjentom na poprawę niskiej jakości życia związanej z chorobą, niemniej jednak sposób prowadzenia terapii także może mieć korzystny wpływ na funkcjonowanie chorych. W przypadku terapii infuzyjnych znaczenie ma zarówno skuteczność stosowanych leków, jak i rodzaj pompy, z którą pacjent żyje na co dzień. Wyniki badania zaprezentowane w raporcie potwierdzają, że nowoczesny wyrób medyczny, w tym przypadku pompa infuzyjna, uwzględniający potrzeby pacjenta, przynosi wartość dodaną do korzyści wynikających ze stosowania samego leku i może stanowić ważny element procesu terapeutycznego wpływający na codzienne funkcjonowanie i jakość życia.



dr hab. n. med. Dariusz Kozirowski

kierownik Kliniki Neurologii

Wydział Nauk o Zdrowiu Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego

Obecnie skuteczność leku udokumentowana najbardziej wiarygodnymi badaniami jest podstawą medycyny klinicznej opartej na faktach. Wprowadzając nowsze produkty lecznicze, kierujemy się już nie tylko ich wyższą skutecznością, ale również mniejszymi działaniami niepożądanymi. W przypadku bardziej zaawansowanych metod dostarczania leków do organizmu szukamy technik mniej inwazyjnych oraz wygodniejszych dla chorych.

Firma Ever Pharma przedstawiła nową pompę, która może być zdecydowanie bardziej akceptowana przez chorych ze względu na rozmiar oraz atrakcyjny wygląd. Co najważniejsze, ze względu na obecność unikalnego, wygodnego i łatwego w obsłudze systemu programowania pompy, możemy łatwiej dostosowywać dawkowanie do codziennych potrzeb pacjenta, uwzględniając jego aktywność i pracę.

Badanie ankietowe jakości życia pacjentów z zaawansowaną chorobą Parkinsona leczonych za pomocą ciągłych wlewów apomorfiny było pierwszą próbą oceny wybranych aspektów tej terapii w ramach programu lekowego B.90. Obecnie w tym programie wykorzystuje się dużą pompę strzykawkową Micrel MP. W badaniu ankietowym pacjenci mieli wypowiedzieć się na temat odczuć związanych z jej użytkowaniem. Druga ankieta odnosiła się do małej grupy, która mogła doświadczyć leczenia w oparciu o nowoczesną pompę D-mine.

W pierwszej z ankiet, przeprowadzonej u 65 pacjentów, ponad 3/4 ankietowanych oceniło rozmiar pompy Micrel MP źle lub zdecydowanie źle. W drugiej części badania, w której zamieniono pompę Micrel MP na pompę D-mine, wzięło udział 6 pacjentów. Uczestników badania wybrano z grupy pacjentów leczonych w 6 wybranych ośrodkach w Polsce realizujących program lekowy B.90. Kwalifikacji dokonywali lekarze prowadzący. Zmiana na pompę D-mine spowodowała poprawę jakości życia u większości ankietowanych. Co najważniejsze, użytkowanie pompy D-mine wpłynęło pozytywnie na ich samodzielność, aktywność fizyczną i towarzyską.

Podsumowując, pompa D mine daje możliwość personalizacji terapii poprzez dostępność ustawienia wielkości dawek, łatwość i intuicyjność obsługi, wagę oraz rozmiar, które gwarantują dyskrecję użytkowania.

Kierując się dobrem pacjentów, możliwością lepszego kontrolowania terapii, należy mieć nadzieję, że nowoczesna pompa D-mine wejdzie do leczenia pacjentów z zaawansowaną chorobą Parkinsona w terapii za pomocą ciągłych wlewów apomorfiny w ramach programu lekowego B.90 podobnie jak ma to miejsce w wielu krajach europejskich.



dr n. med. Anna Roszmann

Zakład Pielęgniarstwa Neurologiczno-Psychiatrycznego  
Gdański Uniwersytet Medyczny

specjalistka pielęgniarstwa neurologicznego, od 2017 r. zajmuje się prowadzeniem i koordynowaniem opieki pielęgniarzkiej nad pacjentami leczonymi terapiami infuzyjnymi w Polsce

Pacjenci z zaawansowaną chorobą Parkinsona to często osoby powyżej 65. roku życia, których opiekunowie są w podobnym wieku. Ich obniżająca się sprawność, zdolności ruchowe czy np. zaburzenia wzroku mogą powodować ograniczenia w zakresie bieżącej opieki czy asysty swoim podopiecznym.

W terapii apomorfina z zastosowaniem pompy Micrel MP kluczową rolę odgrywa właściwa edukacja zarówno pacjentów, jak i ich opiekunów m.in. w zakresie napełniania urządzenia oraz dokładnego dawkowania leku. Pobieranie go do strzykawki z 20 ml ampułki jest wymagające choćby ze względu na fakt występującego w niej podciśnienia. Kolejnym problemem, z którym mogą borykać się opiekunowie, jest wymóg sprawnego operowania strzykawką oraz aplikowania leku w sposób wymagający niezwyklej precyzji oraz zręczności podczas umieszczania napełnionej lekiem strzykawki we właściwym miejscu pompy. Wieloletnie doświadczenie wskazuje, iż powyższe czynności stanowią duże wyzwanie zarówno dla samych pacjentów, jak i ich opiekunów.

Obecna forma organizacji systemu opieki domowej w Polsce uniemożliwia obecność wykwalifikowanej pielęgniarki przy każdorazowym podaniu leku, a więc stała pomoc w obsłudze urządzenia. W związku z tym pacjenci zmuszeni są do obsługi oraz realizacji tych czynności we własnym zakresie, często przy zaangażowaniu innych, nieprzeszkolonych członków swoich rodzin lub osób trzecich.

Pompa Micrel MP jest urządzeniem starszej generacji, które wymaga większego zaangażowania i precyzji podczas przygotowania do podawania leku w porównaniu do pompy D-mine. Budowa, gabaryty oraz charakterystyka działania tej drugiej czynią ją znacznie łatwiejszą w użytkowaniu także dla osób nieposiadających zaawansowanej wiedzy, umiejętności czy doświadczenia w zakresie obsługi. Istotną zaletą pompy D-mine jest sam sposób nabierania leku, odbywający się za pomocą specjalnych rezerwuarów napełniających się samoistnie po założeniu na urządzenie. Brak konieczności używania igieł do nabrania leku wpływa na jej walory użytkowe oraz bezpieczeństwo obsługi. Pompa posiada także nowoczesne funkcje, jak choćby opcję ustawienia kilku rodzajów przepływu w ciągu dnia, umożliwiającą podawanie zróżnicowanych dawek w zaprogramowanym czasie, czy możliwość zapisywania danych w pamięci urządzenia na okres 28 dni. Pompa rejestruje szczegółowe dane dotyczące jej obsługi, dawki leku, czasu podania czy informacje o dodatkowej dawce. Dane te zestawiane są w przejrzysty do odczytania i interpretacji raport generowany do pliku PDF. Takie zestawienie daje lekarzom i pielęgniarkom bardzo duże możliwości właściwego monitorowania i prowadzenia terapii. Wszystkie te cechy czynią pompę D-mine niezwykle przyjaznym w obsłudze i pomocnym urządzeniem.



# Spis treści

1. Wstęp.....	9
2. Złożoność kryteriów klasyfikacyjnych zaawansowanej choroby Parkinsona.....	11
3. Wytyczne postępowania terapeutycznego z użyciem terapii infuzyjnych w zaawansowanej chorobie Parkinsona.....	15
4. Dostępność terapii infuzyjnych w leczeniu zaawansowanej choroby Parkinsona w Polsce.....	19
5. Jakość życia pacjentów z zaawansowaną chorobą Parkinsona w trakcie leczenia z użyciem terapii infuzyjnych – badanie ankietowe.....	27
5.1. Cel i metodologia.....	27
5.2. Analiza ilościowa wyników badania ankietowego.....	30
5.3. Podsumowanie.....	55
6. Kluczowe wnioski.....	59
7. Piśmiennictwo.....	61
Załącznik 1.....	62
Załącznik 2.....	64
Załącznik 3.....	65





# 1.

## Wstęp

Choroba Parkinsona (ang. *Parkinson's disease, PD*) jest drugą pod względem częstości występowania przewlekłą chorobą neurodegeneracyjną układu nerwowego. Występuje u 0,3% populacji ogólnej. Częstość występowania PD zwiększa się wraz z wiekiem – dotyczy 1% populacji powyżej 60. roku życia i aż 3% populacji powyżej 80. roku życia.

Choroba Parkinsona charakteryzuje się dość dobrym rokowaniem dotyczącym przeżycia, co jest ściśle związane z dostępnością wielu skutecznych terapii. Wybór metody leczenia zależy od wieku pacjenta, czasu zachorowania, obecności chorób współistniejących oraz od postępu choroby. Na dalszych jej etapach dochodzi do znacznego nasilenia głównych objawów ruchowych oraz pojawienia się powikłań, a odpowiedź na leczenie nie jest już tak zadowalająca. Kiedy standardowe leczenie farmakologiczne prowadzone w sposób optymalny staje się nieskuteczne, stosuje się głęboką stymulację mózgu lub terapie infuzyjne: apomorfina oraz lewodopę z karbidopą.

Zgodnie z zaleceniami Polskiego Towarzystwa Choroby Parkinsona i Innych Zaburzeń Ruchowych oraz Sekcji Chorób Układu Pozapiramidowego Polskiego Towarzystwa Neurologicznego zastosowanie terapii infuzyjnych wymaga zapewnienia właściwej organizacji procesu kwalifikacji i dalszego prowadzenia leczenia w celu uzyskania pożądanego efektu terapeutycznego. Z uwagi na wysoki poziom skomplikowania samej procedury kwalifikacji związanej z zastosowaniem tych metod, a także koniecznością prowadzenia pacjentów po wdrożeniu każdej z nich, tylko ośrodki z wieloletnim doświadczeniem w leczeniu chorych z PD mogą być brane pod uwagę jako miejsca stosowania terapii infuzyjnych.

Obecnie program lekowy *Leczenie zaburzeń motorycznych w przebiegu zaawansowanej choroby Parkinsona (B. 90)* z użyciem terapii infuzyjnych realizują w Polsce 23 ośrodki. Zgodnie z danymi płatnika publicznego w pierwszym półroczu 2023 r. w ramach programu lekowego B.90 leczonych było 332 pacjentów, w tym 83 z zastosowaniem ciągłych podskórnych wlewów apomorfiny oraz 249 z zastosowaniem dojelitowych wlewów lewodopy z karbidopą.

Badanie ankietowe *Jakość życia pacjentów z zaawansowaną chorobą Parkinsona w trakcie leczenia z użyciem terapii infuzyjnych*, które opisuje niniejszy raport, objęło 65 pacjentów leczonych ciągłymi podskórnymi wlewami apomorfiny w 6 największych ośrodkach w Polsce realizujących program lekowych B.90. Celem badania była ocena wybranych aspektów jakości życia pacjentów z zaawansowaną PD, leczonych za pomocą ciągłych wlewów apomorfiny z wykorzystaniem uniwersalnej pompy strzykawkowej Micrel MP mlh+ (ml/hr), jedynej obecnie dostępnej pompy dla pacjentów leczonych w ramach programu lekowego (zwanej dalej „pompą Micrel MP”), oraz pompy przeznaczonej dla pacjentów z chorobą Parkinsona EVER Pharma D-mine® Pump (zwanej dalej „pompą D-mine”).

Wyniki badania wskazują wyraźnie, że według zdecydowanej większości ankietowanych rodzaj zastosowanej pompy miał wpływ na jakość życia. Zamiana pompy Micrel MP na pompę D-mine wpłynęła pozytywnie na wszystkie badane kwestionariuszem aspekty życia chorych. Ankietowani docenili innowacyjność oraz obsługę pompy D-mine, a także jej wagę i rozmiar, które zapewniają im dyskrecję użytkowania.



# 2.

## Złożoność kryteriów klasyfikacyjnych zaawansowanej choroby Parkinsona

Choroba Parkinsona jest drugą pod względem częstości występowania (po chorobie Alzheimera) przewlekłą chorobą neurodegeneracyjną układu nerwowego z typowymi objawami ruchowymi, takimi jak: spowolnienie, drżenie spoczynkowe, sztywność mięśniowa oraz zaburzenia równowagi. Jest chorobą systemową, obejmuje cały układ nerwowy. Definiuje się ją jako zanik neuronów drogi nigrostriatalnej, który jest odpowiedzialny za wyżej wymienione objawy ruchowe. Obecność ciał Lewy'ego, charakterystycznego neuropatologicznego markera PD, nie jest jednak ograniczona wyłącznie do istoty czarnej (są one także obecne w innych obszarach ośrodkowego i obwodowego układu nerwowego), co świadczy (łącznie z pozaruchowymi objawami występującymi w PD, takimi jak: dysfunkcje autonomiczne, depresja i otępienie) o znacznie szerszej aktywności procesu patologicznego, wykraczającej daleko poza układ pozapiramidowy mózgu.

Przyczyna PD nie jest do końca określona. Zidentyfikowano wiele genetycznych czynników ryzyka, w tym przyczyny monogenetyczne, które występują u około 10% pacjentów. Wśród czynników mających wpływ na rozwój PD wymieniane są również czynniki toksyczne i środowiskowe. Zwiększone ryzyko PD jest związane m.in. z ekspozycją na pestycydy, czerniakiem w wywiadzie, urazowym uszkodzeniem mózgu oraz spożywaniem produktów mlecznych. Zmniejszone ryzyko może natomiast wiązać się z paleniem tytoniu, spożywaniem napojów zawierających kofeinę, wyższymi stężeniami kwasu moczowego w surowicy, aktywnością fizyczną oraz stosowaniem ibuprofenu. Choroba Parkinsona charakteryzuje się długim, nawet kilkunastoletnim okresem przedobjawowym. W początkowym okresie występują mało charakterystyczne objawy, takie jak: zaburzenia węchowe, zaparcia, depresja i zaburzenia snu fazy REM (tzw. zespół RBD, ang. *REM Sleep Behavior Disorder*). Choroba Parkinsona występuje u 0,3% osób populacji ogólnej, a jej częstość występowania zwiększa się wraz z wie-

kiem. Dotyka ona 1% populacji powyżej 60. roku życia i 3% populacji powyżej 80. roku życia; średni wiek zachorowania to 58. rok życia. Nie ma badań epidemiologicznych dotyczących polskiej populacji. Często cytowanym w tym aspekcie źródłem jest badanie PolSenior, oceniające codzienne funkcjonowanie Polaków w różnych okresach starości, w którym objawy PD stwierdzono u 0,56% badanych między 55. a 59. rokiem życia oraz u 2,6% po 65. roku życia.

Rozpoznanie PD opiera się o objawy kliniczne, spowolnienie ruchowe, drżenie spoczynkowe, sztywność mięśniową i niestabilność postawy oraz o zachowaną odpowiedź na leczenie dopaminergiczne. Postawieniu diagnozy służą kryteria diagnostyczne rekomendowane przez International Parkinson and Movement Disorders Society.

W przeciwieństwie do atypowego parkinsonizmu i innych chorób neurodegeneracyjnych, PD charakteryzuje się dość dobrym rokowaniem dotyczącym przeżycia, co jest ściśle związane z dostępnością wielu skutecznych terapii. Średni czas życia z PD wynosi ok. 15,8 lat. U 25% pacjentów okres ten wydłuża się nawet do ok. 20 lat.

Wybór metody leczenia zależy od wieku chorego, czasu zachorowania, obecności chorób współistniejących oraz etapu choroby. Pierwszy okres choroby (ok. 3–5 lat), tzw. „miesiąc miodowy”, wiąże się z istotną i stabilną poprawą ruchową spowodowaną bardzo dobrą reakcją na leki. W zaawansowanej chorobie Parkinsona odpowiedź na leczenie nie jest już tak znacząca – dochodzi do nasilenia głównych objawów ruchowych oraz pojawienia się tzw. komplikacji ruchowych, tj. fluktuacji stanu ruchowego (na skutek skracania się czasu dobrej odpowiedzi na leczenie dopaminergiczne), ruchów mimowolnych (związanych z brakiem działania leku) oraz dyskinez płasawicznych szczytu dawki. Okno terapeutyczne ulega zawężeniu, pogarsza się funkcjo-

nowanie ruchowe chorego. Proces ten postępuje w czasie i związany m.in. z pulsacyjną stymulacją receptorów dopaminowych przez doustne preparaty lewodopy, która ma krótki okres półtrwania (ok. 90 min), a także zanikiem komórek dopaminergicznych, które nie są w stanie przetwarzać i buforować nadmiaru dostarczanej lewodopy. Dodatkowo w zaawansowanej PD pojawiają się lub zyskują na znaczeniu objawy pozaruchowe, w tym zaburzenia autonomiczne (oddawania moczu, hipotonia ortostatyczna), neuropsychiatryczne (depresja, otępienie, zaburzenia psychotyczne) oraz zaburzenia snu.

Kiedy standardowe leczenie farmakologiczne prowadzone w sposób optymalny staje się nieskuteczne, stosuje się głęboką stymulację mózgu (ang. *deep brain stimulation*, DBS) – jądra niskowzgórzowego lub części wewnętrznej gałki bladej, dojelitowe wlewy lewodopy z karbidopą (ang. *levodopa-carbidopa intestinal gel*, LCIG) lub ciągłe podskórne wlewy apomorfiny (ang. *continuous subcutaneous apomorphine infusion*, CSAI).

Pojęcie „zaawansowana choroba Parkinsona” nie jest ściśle zdefiniowane i przez różnych autorów publikacji rozumiane nieco inaczej. Ze względu na bardzo indywidualny profil objawów i przebieg choroby stworzenie powszechnie akceptowanej definicji zaawansowanej choroby Parkinsona jest niezwykle trudne, dlatego część ekspertów proponuje zamianę nazewnictwa i stosowanie zamiast określenia „zaawansowana PD” sformułowania „kompleksowa” lub „złożona PD” (ang. *complex PD*). Na potrzeby niniejszego raportu terminy „zaawansowana PD” oraz „kompleksowa PD” będą stosowane zamiennie.

W ostatnich rekomendacjach Polskiego Towarzystwa Choroby Parkinsona i Innych Zaburzeń Ruchowych dotyczących leczenia zaawansowanej choroby Parkinsona (2022) czytamy:

(...) Pozostaje niejasne, czy końcem etapu wczesnego choroby jest pojawienie się fluktuacji ruchowych i dyskinez czy nasilenie zaburzeń równowagi (stadium III wg Skali Hoehn-Yahra), a może nasilenie objawów pozaruchowych (dysautonomii, zaburzeń neuropsychiatrycznych)? Stosowana do klasyfikacji objawów choroby Skala Hoehn-Yahra powstała przed erą lewodopy i innych stosowanych obecnie leków. Autorzy klasyfikacji nie mogli zatem uwzględnić wpływu leków na przebieg choroby (np. pojawienia się fluktuacji czy dyskinez). Również skala *Unified Parkinson's Disease Rating Scale* (UPDRS), nawet jeśli wyodrębni się z niej tylko część III (ruchową), nie oddaje w jasny sposób stanu niepełnosprawności pacjenta w kontekście podejmowanych decyzji terapeutycznych. A definicje powinny mieć charakter operacyjny, ułatwiający wybór odpowiedniej metody leczenia.

W 2017 roku Titova i wsp. zbrali osiem prac publikowanych między 2005 a 2017 rokiem, w których różne grupy autorów próbowały zdefiniować zaawansowaną PD. Kryteria przyjęte przy tworzeniu

tych definicji przyjmowały za kluczowe następujące elementy: czas trwania choroby (np. > 15, 20, a nawet 25 lat), obecność specyficznych objawów uznanych za markery zaawansowania choroby (np. znaczne nasilenie objawów pozaruchowych czy też kombinacje różnych objawów jak halucynacje, otępienie, psychoza, zaburzenia snu, fluktuacje objawów pozaruchowych, upadki i dysfagia, a także wysokość dawek przyjmowanych leków). Wszystkie te elementy z praktycznego punktu widzenia wydają się być jednak mało przydatne. Na przykład czas trwania choroby doprowadzający do stadium zaawansowania jest bardzo zróżnicowany. Niektórzy pacjenci osiągają poziom nasilenia fluktuacji i uciążliwych dyskinez płasawicznych szczytu dawki już przy niskich dawkach leków dopaminergicznych, po 5–6 latach trwania choroby.

Kryteria zaawansowanej PD powinny stanowić narzędzie wykorzystywane w procesie kwalifikacji chorych do terapii przeznaczonych dla tej grupy pacjentów. Odin i wsp. dokonali analizy ustrukturyzowanego kwestionariusza, będącego próbą zdefiniowania zaawansowanej PD. Rozesłano go do 103 ekspertów z 13 krajów, a następnie na tej podstawie 13 specjalistów w zakresie zaburzeń ruchowych określiło kryteria rozpoznania zaawansowanej PD. Skupiono się w nich (odmiennie niż w przypadku innych opracowań eksperckich) na objawach ruchowych i odpowiedzi na dotychczas stosowane leczenie. Za klinicznie istotny, zwrotny moment w przebiegu choroby uznano obecność fluktuacji ruchowych (uciążliwych stanów off) o znacznym nasileniu, które łącznie trwają 1–2 h dziennie, a chory wymaga podawania lewodopy więcej niż 5 razy dziennie. Jednocześnie fluktuacje i dyskinezy mimo optymalizacji terapii nie ustępują.

Optymalizacja terapii polega na stosowaniu leków w skutecznych dawkach przy jednoczesnym niewystępowaniu istotnych działań niepożądanych. Brak efektywności terapii doustnej może wynikać z osignięcia górnego pułapu tak zwanego okna terapeutycznego i występowania dyskinez szczytu dawki przy każdej próbie zwiększenia dawek. Nieskuteczne może być też częstsze podawanie niższych dawek lewodopy, zamiana części dawki lewodopy na agonistę dopaminowego o przedłużonym uwalnianiu oraz stosowanie leków antydyskinezy, takich jak amantadyna. Miarą nieskuteczności mogą być także istotne działania niepożądane towarzyszące terapii.

Te uproszczone kryteria nie definiują w sposób ilościowy nasilenia objawów w stanie off ani ich wpływu na stan funkcjonalny pacjenta. Według Antoniniego i wsp. elementy kluczowe dla oceny stanu funkcjonalnego pacjenta to: powtarzające się – mimo optymalnego leczenia – upadki, umiarkowane zaburzenia w przemieszczaniu się, konieczność okresowego korzystania z pomocy przy codziennych czynnościach życiowych (ADL, activities of daily living) oraz ograniczenie zdolności wykonywania złożonych czynności ruchowych przez większość czasu.

Autorzy badania przeprowadzonego w Wielkiej Brytanii zapytali 265 chorych w stadium zaawansowanym PD o trzy najbardziej uciążliwe objawy. Najczęściej (28,3%) pacjenci wymieniali nieprzewidywalną odpowiedź na leki, zaburzenia nastroju (28,3%), a w następnej kolejności ślinotok, zaburzenia snu i drżenie. Na pierwszym miejscu znalazły się zatem objawy motoryczne, a na kolejnym depresja jako najczęstszy objaw pozaruchowy. Włączenie objawów pozaruchowych do definicji zaawansowanej PD w kontekście DBS, LCIG i CSAI jest jednak mało przydatne ze względu na znacznie zróżnicowane występowanie tych objawów. Czy tak samo istotna jest obecność zaburzeń psychotycznych lub depresji (w tym zakresie można uzyskać poprawę, odstawiając leki, które je wywołały, lub włączając terapię lekami przeciwpsychotycznymi i przeciwdepresyjnymi) jak ciężkiej dysautonomii czy otępienia? Wiedza na temat skuteczności DBS, LCIG i CSAI w odniesieniu do objawów pozaruchowych jest bardzo ograniczona. To raczej wybór terapii będzie zależał od profilu stwierdzanych u pacjenta objawów pozaruchowych (np. otępienie uniemożliwi zakwalifikowanie chorego do DBS). Dlatego z praktycznego punktu widzenia to objawy motoryczne i odpowiedź

na leczenie doustne w tym zakresie powinny definiować stan zaawansowania PD. Jest to, jak widać, ogólnie zgodne również z odczuciami pacjentów.

Objawy pozaruchowe stanowią jednak istotny element obrazu zaawansowanej PD i mogą niekiedy w większym stopniu niż objawy ruchowe stanowić o obniżeniu jakości życia chorego. Mogą one również fluktuować podobnie jak objawy motoryczne (tzw. pozaruchowe stany off). Opisywano stany dysforii, napadowego lęku, obniżenia nastroju, niepokoju, bólu w klatce piersiowej czy jamie brzusznej, uczucie duszności, bólu, napadowego pocenia się, dysestezji, objawów zespołu niespokojnych nóg w okresach gorszego lub braku działania leków dopaminergicznych. Niektórzy eksperci proponują uzupełnienie spektrum obrazu stanów off właśnie o objawy pozaruchowe.

Wydaje się, że – zwłaszcza w kontekście wskazań do stosowania DBS, LCIG i CSAI – zaawansowaną PD najlepiej definiuje obecność fluktuacji (stany on i off), dyskinez płasawicznych szczytu dawki oraz liczba przyjmowanych dawek lewodopy.



# 3.

## Wytyczne postępowania terapeutycznego z użyciem terapii infuzyjnych w zaawansowanej chorobie Parkinsona

W roku 2018 International Parkinson and Movement Disorders Society przedstawiło rekomendacje dotyczące leczenia objawów motorycznych w chorobie Parkinsona, opracowane w oparciu o dowody naukowe. Obydwie terapie infuzyjne zostały uznane za interwencje skuteczne w leczeniu fluktuacji ruchowych. LCIG została oceniona jako „skuteczna” (ang. *efficacious*) i „przydatna klinicznie” (ang. *clinically useful*). CSAI uzyskała kategorię „prawdopodobnie skuteczna” (ang. *likely efficacious*) i „prawdopodobnie przydatna” (ang. *possibly useful*). W kwestii bezpieczeństwa stwierdzono, że w przypadku obu terapii istnieje „akceptowalne ryzyko przy specjalistycznym monitorowaniu”.

LCIG uzyskała kategorie „prawdopodobnie skuteczna” i „przydatna klinicznie” w leczeniu dyskinez („akceptowalne ryzyko przy specjalistycznym monitorowaniu”). CSAI nie została ujęta wśród interwencji terapeutycznych znajdujących zastosowanie w dyskinezach (przy czym w czasie, kiedy przygotowywano raport, nie zostały jeszcze opublikowane wyniki badania TOLEDO).

Opracowane na potrzeby brytyjskiego National Health Service i opublikowane w 2017 r. wytyczne dotyczące diagnozowania i leczenia choroby Parkinsona u osób dorosłych (*NICE guideline [NG71]: Parkinson's disease in adults*) nie regulują zasad dostępu do LCIG. W dokumencie uwagę zwraca natomiast pozycjonowanie CSAI. Terapia ta została zakwalifikowana jako jedna z najlepszych form terapii (ang. *best medical therapy*) i zdaniem autorów rekomendacji powinna być oferowana pacjentom przed zastosowaniem LCIG i DBS. Pozycjonowanie apomorfiny zostało podtrzymane przez National Institute for Health and Care Excellence (NICE) także po wydaniu w listopadzie 2023 r. rekomendacji dla połączenia foslewodopy i foskarbidopy we wlewach podskórnych (*Foslevodopa-foscarbidopa for treating advanced Parkinson's with motor symptoms*).

Pierwsze rekomendacje Polskiego Towarzystwa Choroby Parkinsona i Innych Zaburzeń Ruchowych (PTChPiZR) dotyczące leczenia kompleksowej PD z zastosowaniem terapii infuzyjnych zostały opublikowane w 2014 r. Wydano je zanim terapie infuzyjne zostały w Polsce objęte refundacją, a określenie zasad kwalifikacji pacjentów do tych metod leczenia stanowiło element zabiegów środowiska neurologów o finansowanie terapii infuzyjnych w Polsce. Terapie infuzyjne postrzegane były wówczas jako technologie wysokokosztowe, co spowodowało, że w rekomendacjach z 2014 r. przyjęto bardzo restrykcyjne kryteria włączenia pacjentów do leczenia.

Zgodnie z nimi do terapii dojelitowymi wlewami lewodopy z karbidopą kwalifikowali się chorzy z prawidłowo rozpoznaną PD, o co najmniej 5-letnim czasie jej trwania, u których wyczerpano możliwości optymalnej terapii farmakologicznej prowadzonej lekami doustnymi ( $\geq 4$  godziny dziennie łącznego czasu stanów *off* i/lub  $\geq 4$  godziny dziennie łącznego czasu stanów *on* z uciążliwymi dyskinezami; udokumentowane zapisami w dzienniczku Hausera), i jednocześnie chorzy, u których nie występowały objawy nasilonego otępienia, a także przeciwwskazania do założenia PEG. Ponadto chory kwalifikowany do dojelitowych wlewów lewodopy z karbidopą musiał mieć zapewnioną codzienną obecność i pomoc ze strony opiekuna.

W przypadku ciągłych wlewów apomorfiny pacjenci z prawidłowo rozpoznaną PD oraz wyczerpanymi możliwościami optymalnej terapii farmakologicznej prowadzonej lekami doustnymi musieli spełnić dodatkowo poniższe kryteria:

- niewystępowanie objawów ciężkiego otępienia,
- niewystępowanie zaburzeń psychiatrycznych,
- niewystępowanie zmian skórnych, będących przeciwwskazaniem do wlewów podskórnych leku.



Podobnie jak w przypadku pacjentów leczonych lewodopą, wymagana była codzienna obecność i pomoc ze strony opiekuna.

W pierwotnie obowiązującej wersji programu lekowego *Leczenie zaburzeń motorycznych w przebiegu zaawansowanej choroby Parkinsona*, w ramach którego w roku 2017 udostępniono polskim pacjentom LCIG, a w roku 2018 CSAI, zamiast warunku pozostawania przez chorego  $\geq 4$  godzin dziennie w stanie *off* i/lub  $\geq 4$  godzin dziennie w stanie *on* z uciążliwymi dyskinezami, pomimo zastosowania optymalnej doustnej farmakoterapii, znalazł się zapis jeszcze bardziej restrykcyjny, mówiący o stanach *off* i/lub *on* z uciążliwymi dyskinezami trwających co najmniej 50% czasu aktywności dobowej pacjenta, co zdaniem ekspertów klinicznych było trudne w interpretacji, biorąc pod uwagę zaburzenia snu (także jego znaczne skrócenie i liczne drzemki w ciągu dnia) oraz wpływ nasilonego stanu *off* czy *on* z dyskinezami na stan funkcjonalny chorego.

Obecna wersja rekomendacji dotyczących stosowania terapii infuzyjnych w leczeniu zaawansowanej PD uwzględnia aktualne dane na temat ich skuteczności i bezpieczeństwa (wyniki badań kontrolowanych, metaanaliz, przeglądów systematycznych, a także ustalenia grup ekspertów), jak również opracowane przez ekspertów PTChPiZR profile pacjentów będących najlepszymi kandydatami do wybranej terapii

infuzyjnej, z uwzględnieniem przeciwwskazania do każdej z nich.

Zgodnie z wytycznymi PTChPiZR LCIG i CSAI to terapie znajdujące zastosowanie w kompleksowej PD, w przypadku gdy prowadzone w sposób optymalny leczenie lekami doustnymi lub przy zastosowaniu systemu transdermalnego nie pozwala osiągnąć satysfakcjonujących wyników.

Eksperti podkreślają, że co prawda nie przeprowadzono badań bezpośrednio porównujących te interwencje, jednak analiza wyników badań oceniających poszczególne terapie daje możliwość przyjęcia założenia, że ich skuteczność, wyrażająca się skróceniem czasu trwania stanów *off* i stanów *on* z uciążliwymi dyskinezami, jest porównywalna.

Zdaniem ekspertów PTChPiZR, jeżeli ocena stanu pacjenta i występujących u niego przeciwwskazań wskazuje na możliwość zakwalifikowania do więcej niż jednej terapii, to, podejmując ostateczną decyzję, należy kierować się preferencjami pacjenta.

Zgodnie z aktualnymi wytycznymi PTChPiZR, dzięki zaangażowaniu ekspertów, uległy również zmianie kryteria kwalifikujące do terapii infuzyjnych w programie lekowym B.90 (tabela 1). Złagodzone kryteria kwalifikacji do programu lekowego obowiązują od 1 marca 2023 r.



**Tabela 1.** Porównanie pierwotnych i obecnych kryteriów kwalifikacji do programu lekowego B.90.

**Kryteria kwalifikacji do dojelitowych wlewów lewodopy z karbidopą zawarte w pierwotnym opisie programu lekowego B.90 (na podstawie rekomendacji PTChPiIzR z 2014 r.)**

- 1) rozpoznanie choroby Parkinsona wg powszechnie przyjętych kryteriów (*United Kingdom Parkinson's Disease Brain Bank Criteria*);
- 2) czas trwania choroby powyżej 5 lat;
- 3) zaawansowana postać choroby, tj. stany *off i*/lub *on* z uciążliwymi dyskinezami trwające co najmniej 50% czasu aktywności dobowej pacjenta, udokumentowane zapisami w dzienniczku Hausera;
- 4) potwierdzona skuteczność stosowania lewodopy we wcześniejszym leczeniu;
- 5) wyczerpanie możliwości prowadzenia skutecznej terapii co najmniej dwoma lekami doustnymi o różnych mechanizmach działania lub wystąpienie działań niepożądanych, związanych ze stosowaniem tych leków;
- 6) codzienna obecność i pomoc ze strony opiekuna, który będzie w stanie obsłużyć PEG oraz pompę.

**Kryteria kwalifikacji do podskórnych wlewów apomorfiny zawarte w pierwotnym opisie programu lekowego B.90 (na podstawie rekomendacji PTChPiIzR z 2014 r.)**

- 1) wiek >18. r.ż.;
- 2) rozpoznana idiopatyczna postać choroby Parkinsona według powszechnie przyjętych kryteriów (*United Kingdom Parkinson's Disease Brain Bank Criteria*);
- 3) czas trwania choroby powyżej 5 lat;
- 4) zaawansowana postać choroby, tj. stany *off i*/lub *on* z uciążliwymi dyskinezami trwające co najmniej 50% czasu aktywności dobowej pacjenta, udokumentowane zapisami w dzienniczku Hausera, które utrzymują się mimo stosowania optymalnego leczenia farmakologicznego za pomocą doustnych leków przeciw chorobie Parkinsona;
- 5) brak przeciwwskazań do stosowania apomorfiny, wynikających z:
  - a) istotnych klinicznie zaburzeń psychotycznych stwierdzonych w wywiadzie;
  - b) istotnych klinicznie objawów hipotonii ortostatycznej;
  - c) istotnych klinicznie zaburzeń rytmu serca;
- 6) współpraca pacjenta lub jego opiekuna w trakcie terapii.

**Kryteria kwalifikacji do dojelitowych wlewów lewodopy z karbidopą oraz podskórnych wlewów apomorfiny zawarte w obecnym opisie programu lekowego B.90 (na podstawie rekomendacji PTChPiIzR z 2022 r.)**

- 1) rozpoznanie choroby Parkinsona w oparciu o aktualne *MDS Clinical Diagnostic Criteria for Parkinson's Disease*;
- 2) czas trwania choroby  $\geq 5$  lat;
- 3) wcześniejsze leczenie:
  - a) w przypadku kwalifikacji do leczenia lewodopą z karbidopą: wyczerpanie możliwości optymalnej terapii farmakologicznej prowadzonej co najmniej 3 lekami lub nieskuteczność monoterapii przy udokumentowanej nietolerancji innych leków (w ocenie neurologa posiadającego doświadczenie w leczeniu zaawansowanej choroby Parkinsona),
  - b) w przypadku kwalifikacji do leczenia apomorfina: dotychczasowe stosowanie optymalnego leczenia farmakologicznego za pomocą doustnych leków przeciw chorobie Parkinsona;
- 4) łączny czas trwania stanów *off*  $\geq 2$  godz. przy jednoczesnej obecności uciążliwych dyskinez szczytu dawki  $\geq 1$  godz. w czasie czuwania w ciągu całej doby (występowanie fluktuacji ruchowych i dyskinez oraz czas ich trwania powinny być udokumentowane w dzienniczku Hausera dla 3 kolejnych dni);
- 5) zachowana dobra odpowiedź na lewodopę (różnica wyniku III części skali MDS UPDRS pomiędzy stanem *off* i *on* wynosząca co najmniej 30%; można nie uwzględniać punktów dotyczących drżenia);
- 6) zapewnienie codziennej obecności i pomocy ze strony opiekuna w zakresie obsługi pompy.



# 4.

## Dostępność terapii infuzyjnych w leczeniu zaawansowanej choroby Parkinsona w Polsce

Zgodnie z zaleceniami Polskiego Towarzystwa Choroby Parkinsona i Innych Zaburzeń Ruchowych oraz Sekcji Chorób Układu Pozapiramidowego Polskiego Towarzystwa Neurologicznego zastosowanie terapii infuzyjnych wymaga zapewnienia właściwej organizacji procesu kwalifikacji i dalszego prowadzenia chorych w celu zapewnienia pożądanego efektu terapeutycznego.

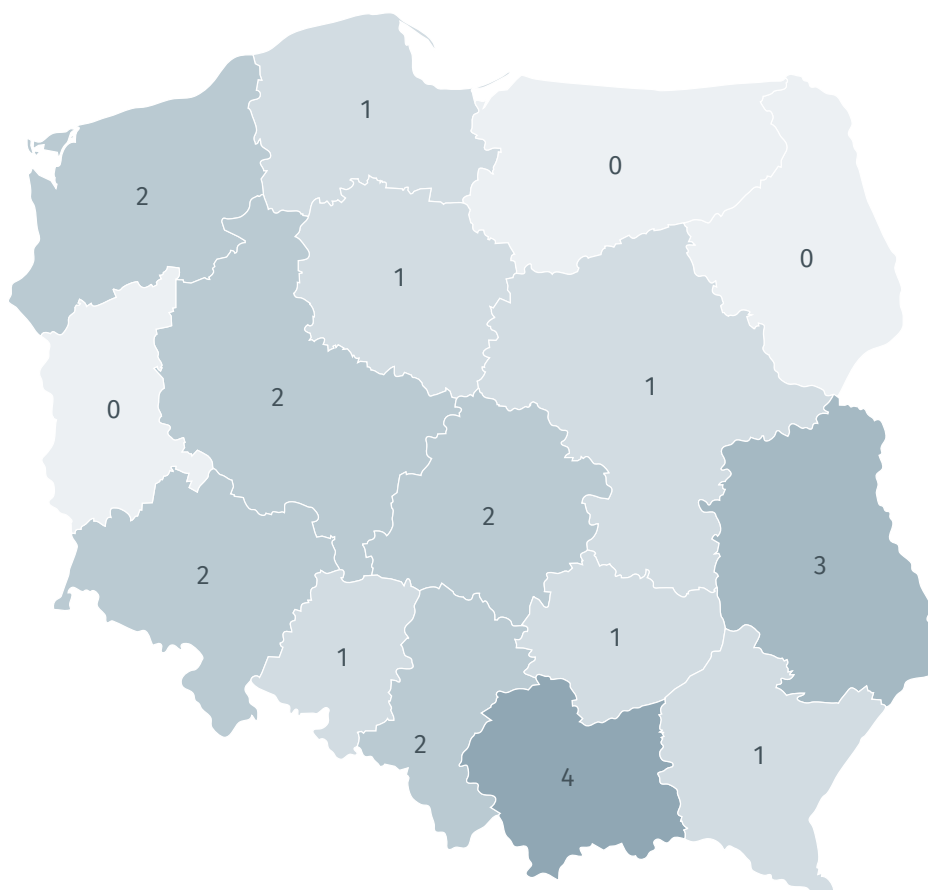
Z uwagi na wysoki poziom skomplikowania samej procedury kwalifikacji do tych metod, a także prowadzenia chorych już po wdrożeniu każdej z nich, tylko ośrodki z wieloletnim doświadczeniem w leczeniu chorych z PD mogą być brane pod uwagę jako miejsca stosowania terapii infuzyjnych. W procesie kwalifikacyjnym kluczową rolę odgrywa neurolog, który przeprowadza ocenę stanu chorego, skuteczności i tolerancji dotychczasowego leczenia, dostarczonych przez chorego dzienniczeków Hausera z analizą okresów *off/on* i dyskinez szczytu dawki. Pozycjonuje chorego w przyjętych skalach oceny ruchowej (zalecana skala UPDRS – *Unified Parkinson's Disease Rating Scale*) w okresie *on* (działania leków) i *off* (kiedy leki nie działają) z próbą odstawienia leku do wejścia w pełny stan *off* i potem ponownie w *on*. Według przyjętych zasad dla procedury DBS za osobę reagującą na lewodopę uznaje się pacjenta, u którego różnica w stanie *on* i *off* wynosi 30% w ruchowej, III części skali UPDRS. Jest to warunek konieczny do postawienia prawidłowego rozpoznania. W następnej kolejności wykonywane są badania neuropsychologiczne i w razie potrzeby – psychiatryczne. Po wykluczeniu

nasilonej depresji, nasilonego otępienia oraz zaburzeń psychotycznych, chory przechodzi kwalifikację do CSAI lub LCIG. Proces kwalifikacji do LCIG rozpoczyna się od konsultacji gastroenterologicznej w celu wykluczenia przeciwwskazań do założenia stomii (PEG). Po jej założeniu i ustaleniu optymalnej dawki lewodopy lub przetestowaniu kolejnych dawek podskórnie podawanej apomorfiny pacjent i jego rodzina przechodzą szkolenie z zakresu: pielęgnacji miejsca stomii lub pielęgnacji miejsca wkłucia podskórnego dla apomorfiny, zakładania wkłucia podskórnego, wymiany pojemników z lekiem oraz obsługi pompy. Prowadzenie chorego po zabiegu powinno być powierzone wyszkolonemu zespołowi neurologicznemu w referencyjnym centrum z dostępem do innych specjalistów: neuropsychologa, psychiatry, rehabilitanta, neurochirurga, pielęgniarki parkinsonowskiej oraz w przypadku leczenia lewodopą z karbidopą (na wypadek problemów ze stomią) gastroenterologa i ewentualnie chirurga.

Program lekowy *Leczenie zaburzeń motorycznych w przebiegu zaawansowanej choroby Parkinsona* realizowany jest w Polsce przez 23 ośrodki (tabela 2, rycina 1). Największa liczba świadczeniodawców występuje w województwie małopolskim (4 ośrodki) oraz lubelskim (3 ośrodki), następnie dolnośląskim, łódzkim, śląskim, wielkopolskim oraz zachodniopomorskim (po 2 ośrodki). W województwach: lubuskim, podlaskim i warmińsko-mazurskim program lekowy B.90 nie jest realizowany.

**Tabela 2.** Liczba świadczeniodawców realizujących program lekowy B.90 w poszczególnych województwach w latach 2017–2023.

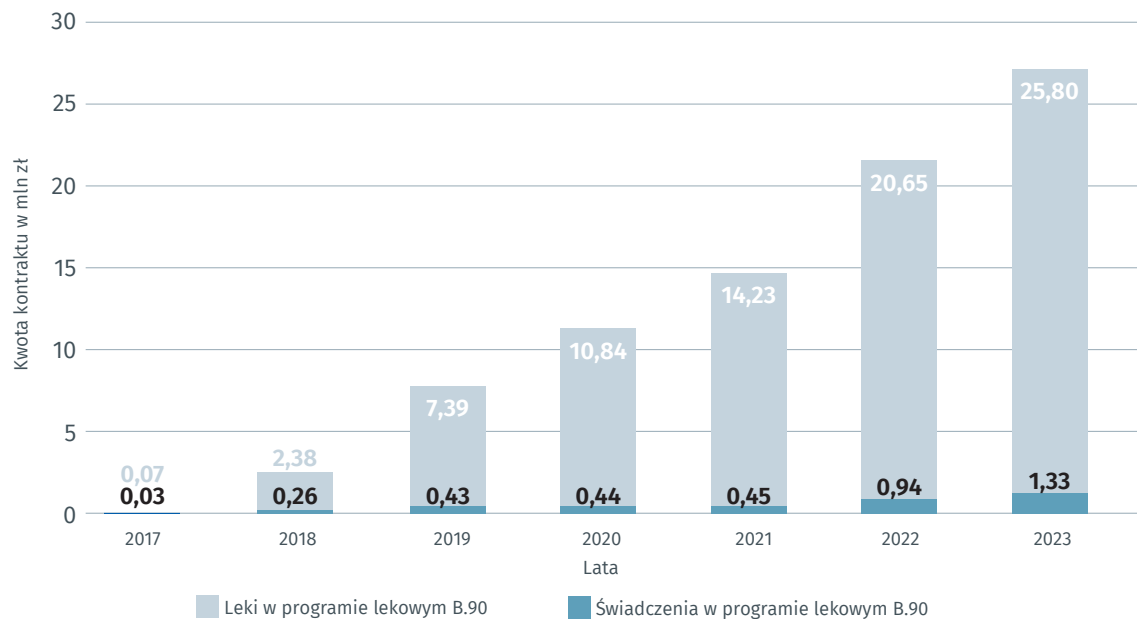
Województwo	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023
dolnośląskie	1	1	1	1	1	2	2
kujawsko-pomorskie	0	0	0	0	1	1	1
lubelskie	1	1	1	1	3	3	3
lubuskie	0	0	0	0	0	0	0
łódzkie	1	1	1	1	2	2	2
małopolskie	1	1	1	1	1	4	4
mazowieckie	1	1	1	1	1	1	1
opolskie	0	0	0	0	0	0	1
podkarpackie	0	0	0	1	1	1	1
podlaskie	0	0	0	0	0	0	0
pomorskie	1	1	1	1	1	1	1
śląskie	1	1	1	1	2	2	2
świętokrzyskie	0	0	0	0	1	1	1
warmińsko-mazurskie	0	0	0	0	0	0	0
wielkopolskie	1	1	1	1	1	1	2
zachodniopomorskie	1	1	1	1	2	2	2
<b>Suma</b>	<b>9</b>	<b>9</b>	<b>9</b>	<b>10</b>	<b>17</b>	<b>21</b>	<b>23</b>

**Rycina 1.** Liczba świadczeniodawców realizujących program lekowy B.90 w poszczególnych województwach w 2023 r.

Wartości kontraktów na realizację programu lekowego B.90 w skali kraju (rycina 2) i w podziale na województwa (tabela 3) systematycznie rosną z uwagi na przyrost leczonych chorych. Analizując dane finansowe z poszczególnych Oddziałów

Wojewódzkich Narodowego Funduszu Zdrowia (OW NFZ) oraz liczbę świadczeniodawców realizujących leczenie, widać wyraźnie, że dostęp do leczenia w programie lekowym B.90 w różnych regionach Polski jest bardzo zróżnicowany.

**Rycina 2.** Wartości umów – leczenie szpitalne – programy lekowe dla programu lekowego B.90 z podziałem na koszt refundacji leków i świadczeń w latach 2017–2023.



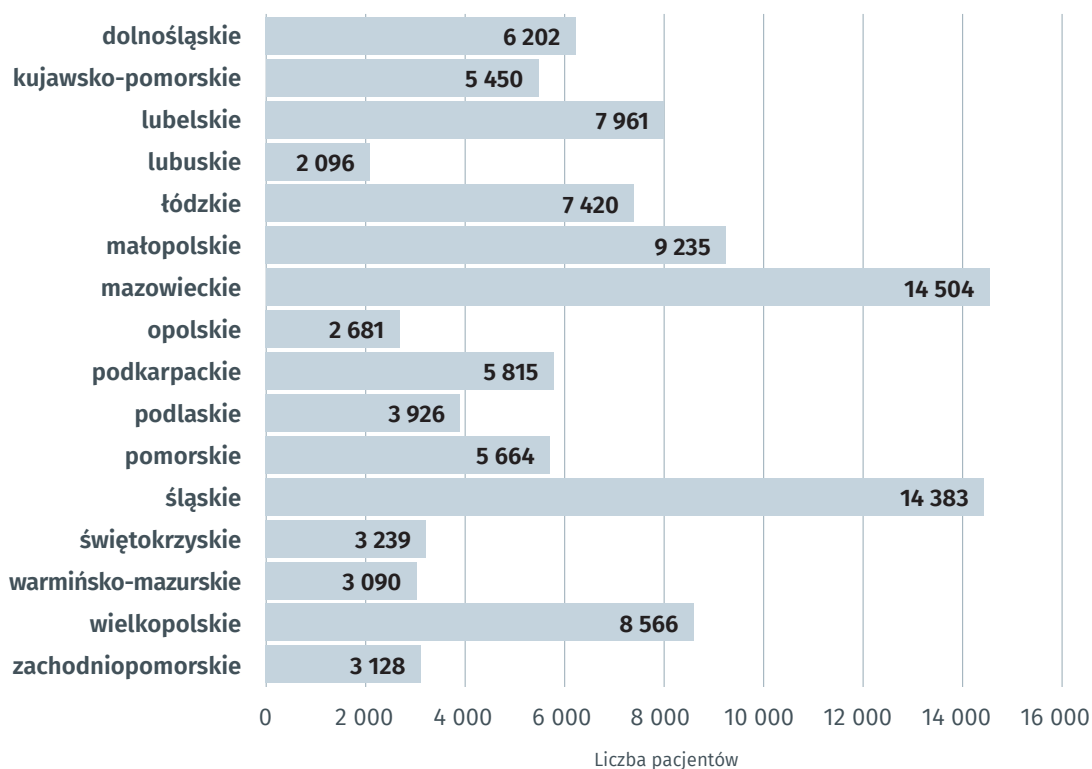
Analizując wartość kontraktu przypadającą na 1 tys. mieszkańców w każdym z województw oraz na jednego pacjenta z chorobą Parkinsona (rycina 5 i 6), w porównaniu do średniej w całym kraju (tabela 4), można pośrednio wnioskować o skali dostępności do leczenia w ramach programu lekowego B.90 w danym województwie. Wskaźnik ten, nie uwzględniający migracji pacjentów pomiędzy OW NFZ, został obliczony dla 2023 r. w oparciu o opublikowaną 20 lipca 2023 r. przez Główny Urząd Statystyczny liczbę ludności zamieszkującą dane województwo (*Powierzchnia i ludność w przekroju terytorialnym w 2023 roku*) oraz w oparciu o liczbę pacjentów z chorobą Parkinsona ustaloną na podstawie danych sprawozdawczych NFZ za rok 2019. Dane na temat liczby chorych z PD, obejmujące pacjentów z rozpoznaniem głównym lub współistniejącym, zostały pozyskane na podstawie sprawozdawczości świadczeniodawców realizujących wszystkie umowy z NFZ, w tym w ramach podstawowej opieki zdrowotnej, ambulatoryjnej opieki

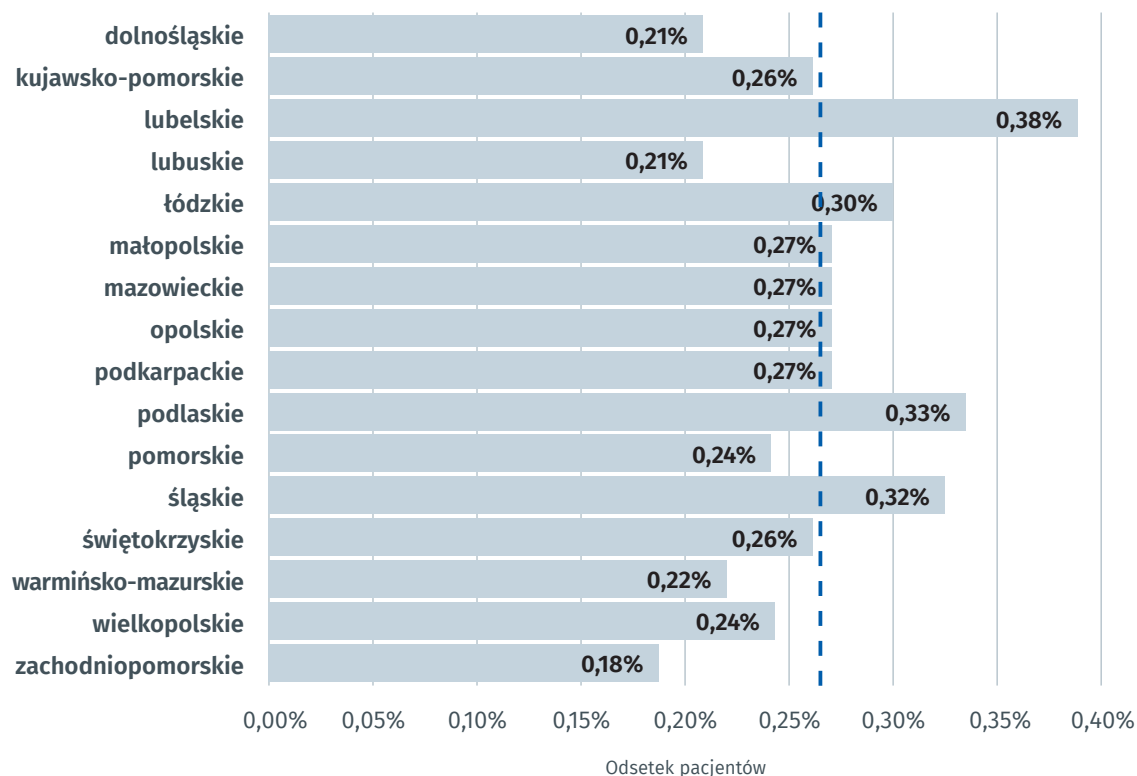
specjalistycznej, lecznictwa szpitalnego, ratownictwa medycznego oraz programów lekowych. Według danych sprawozdawczych NFZ z roku 2019 liczba pacjentów leczonych z powodu choroby Parkinsona w Polsce wyniosła 103,36 tys. (rycina 3). Największa liczba chorych została odnotowana w województwach mazowieckim (14,5 tys.) i śląskim (14,4 tys.). Najmniej pacjentów zostało natomiast wykazanych w województwach lubuskim (2,1 tys.) i opolskim (2,7 tys.). Największy udział procentowy chorych z PD w stosunku do populacji ogólnej (rycina 4) odnotowano z kolei w województwach: lubelskim (0,38%), podlaskim (0,33%) oraz śląskim (0,32%).

Najniższa wartość kontraktu, zarówno w przeliczeniu na 1 tys. mieszkańców, jak i na jednego pacjenta z chorobą Parkinsona, przypada na województwo świętokrzyskie. Najwyższa wartość kontraktu w obu przypadkach dotyczy województwa pomorskiego.

**Tabela 3.** Wartości umów – leczenie szpitalne – programy lekowe dla programu lekowego B.90 z podziałem na województwa w latach 2017–2023.

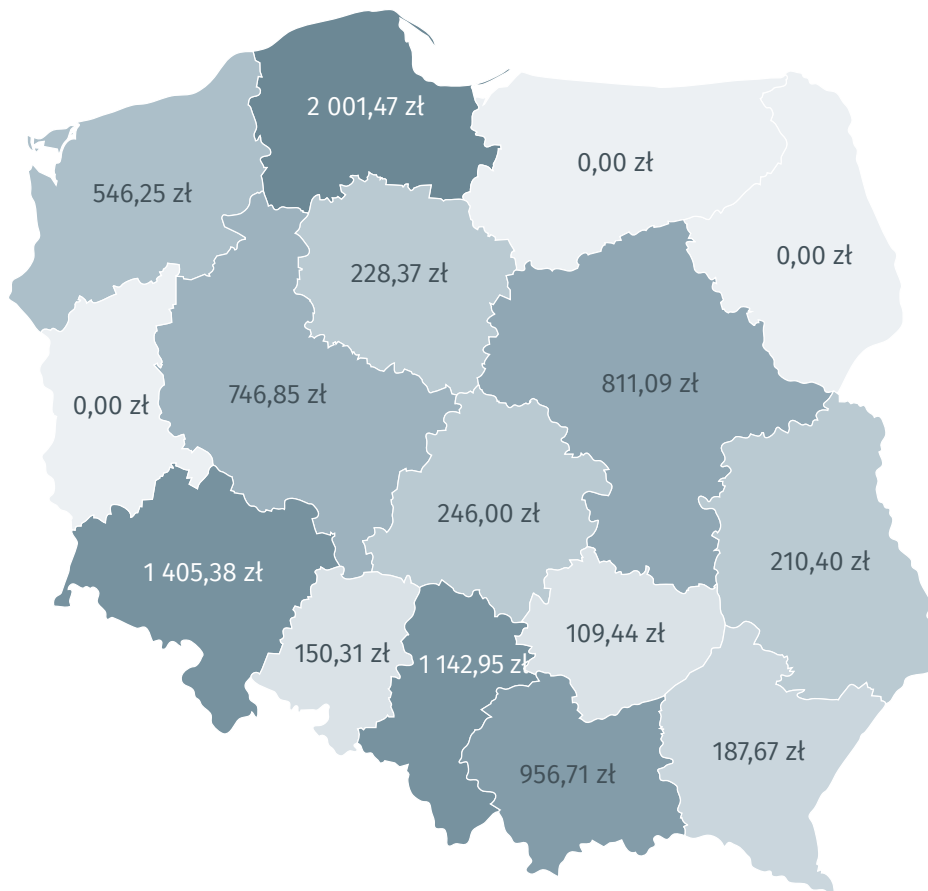
Województwo:	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023
dolnośląskie	0,00 zł	243 715,00 zł	828 884,00 zł	1 536 673,00 zł	1 969 188,00 zł	3 518 627,50 zł	4 058 793,58 zł
kujawsko-pomorskie	0,00 zł	0,00 zł	0,00 zł	0,00 zł	119 806,00 zł	418 578,11 zł	458 310,52 zł
lubelskie	0,00 zł	8 829,75 zł	114 192,45 zł	55 092,34 zł	197 984,75 zł	362 336,06 zł	425 992,55 zł
lubuskie	brak	brak	brak	brak	brak	brak	brak
łódzkie	0,00 zł	140 292,00 zł	260 428,00 zł	174 936,00 zł	226 513,00 zł	466 502,75 zł	585 111,91 zł
małopolskie	12,00 zł	127 227,00 zł	864 691,00 zł	1 041 390,00 zł	1 229 680,00 zł	1 248 328,25 zł	3 280 556,55 zł
mazowieckie	25 522,92 zł	737 061,23 zł	1 620 753,44 zł	2 682 581,22 zł	3 471 307,47 zł	4 384 720,24 zł	4 469 578,91 zł
opolskie	0,00 zł	0,00 zł	0,00 zł	0,00 zł	0,00 zł	0,00 zł	141 657,44 zł
podkarpackie	0,00 zł	0,00 zł	0,00 zł	0,00 zł	40 260,00 zł	184 512,75 zł	390 186,69 zł
podlaskie	brak	brak	brak	brak	brak	brak	brak
pomorskie	73 587,00 zł	1 042 976,00 zł	2 094 842,00 zł	2 777 101,00 zł	3 491 326,00 zł	4 462 245,85 zł	4 720 077,19 zł
śląskie	0,00 zł	152 512,00 zł	986 124,00 zł	1 428 481,00 zł	2 067 537,00 zł	3 625 405,55 zł	4 968 056,78 zł
świętokrzyskie	0,00 zł	0,00 zł	0,00 zł	0,00 zł	0,00 zł	158 904,05 zł	128 941,49 zł
warmińsko-mazurskie	brak	brak	brak	brak	brak	brak	brak
wielkopolskie	0,00 zł	182 578,00 zł	824 063,00 zł	1 247 024,00 zł	1 584 788,00 zł	2 050 077,65 zł	2 609 163,34 zł
zachodniopomorskie	0,00 zł	1 515,00 zł	225 868,00 zł	340 154,00 zł	277 319,00 zł	711 810,80 zł	896 189,52 zł
<b>Suma:</b>	<b>99 121,92 zł</b>	<b>2 636 705,98 zł</b>	<b>7 819 845,89 zł</b>	<b>11 283 432,56 zł</b>	<b>14 675 709,22 zł</b>	<b>21 592 049,56 zł</b>	<b>27 132 616,47 zł</b>

**Rycina 3.** Liczba pacjentów z chorobą Parkinsona leczonych w 2019 r. w podziale na województwa.

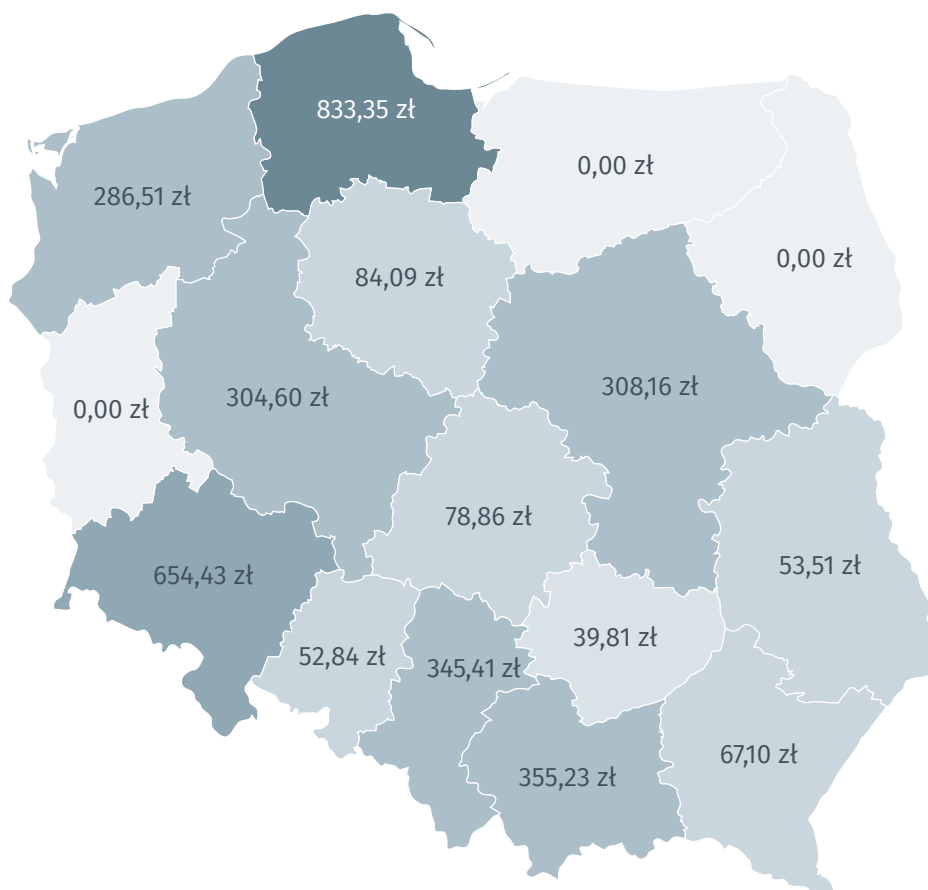
**Rycina 4.** Udział procentowy pacjentów z chorobą Parkinsona leczonych w 2019 r. w populacji danego województwa (linią przerywaną oznaczono średni udział procentowy dla całej Polski).**Tabela 4.** Wartość kontraktu przypadająca na 1 tys. mieszkańców oraz na jednego pacjenta z chorobą Parkinsona w poszczególnych województwach w 2023 r.

Województwo	Wartość kontraktu przypadająca na 1 tys. mieszkańców	Wartość kontraktu przypadająca na 1 pacjenta z PD
dolnośląskie	1 405,38 zł	654,43 zł
kujawsko-pomorskie	228,37 zł	84,09 zł
lubelskie	210,40 zł	53,51 zł
lubuskie	-	-
łódzkie	246,00 zł	78,86 zł
małopolskie	956,71 zł	355,23 zł
mazowieckie	811,09 zł	308,16 zł
opolskie	150,31 zł	52,84 zł
podkarpackie	187,67 zł	67,10 zł
podlaskie	-	-
pomorskie	<b>2 001,47 zł</b>	<b>833,35 zł</b>
śląskie	1 142,95 zł	345,41 zł
świętokrzyskie	<b>109,44 zł</b>	<b>39,81 zł</b>
warmińsko-mazurskie	-	-
wielkopolskie	746,85 zł	304,60 zł
zachodniopomorskie	546,25 zł	286,51 zł
Średnia dla kraju	<b>718,43 zł</b>	<b>262,51 zł</b>

**Rycina 5.** Wartość kontraktu przypadająca na 1 tys. mieszkańców w poszczególnych województwach w 2023 r.



**Rycina 6.** Wartość kontraktu przypadająca na jednego pacjenta z chorobą Parkinsona w poszczególnych województwach w 2023 r.





Według danych płatnika publicznego za rok 2022 w ramach programu lekowego B.90 leczonych było 282 chorych, co – w porównaniu do całkowitej szacowanej populacji osób z chorobą Parkinsona w Polsce (103,36 tys.) – stanowi jedynie 0,27% (tabela 5). Analiza obejmująca pełne okresy roczne stosowania obu terapii infuzyjnych wskazuje na dominujący odsetek pacjentów leczonych lewodopą z karbidopą (71% chorych w 2019 r., 69% w 2020 r. oraz 73% w latach 2021–2022), który wynika wprost z obowiązujących dotychczas bardzo restrykcyjnych kryteriów kwalifikacji, zgodnie z którymi do programu włączani byli wyłącznie pacjenci znajdujący się w bardzo zaawansowanym stadium choro-

by. W I półroczu 2023 r. w programie lekowym B.90 leczonych było 332 chorych, w tym 83 ciągłymi podskórnymi wlewami apomorfiny, co daje zaledwie 9% wzrost liczby pacjentów leczonych apomorfiną w stosunku do roku 2022. Złagodzone kryteria włączenia do programu lekowego B.90, obowiązujące od 1 marca 2023 r., dają nadzieję na wzrost liczby chorych leczonych w programie, w tym pacjentów włączanych do terapii apomorfiną, rekomendowanej przed zastosowaniem lewodopy z karbidopą. To rozwiązanie ma szansę przetożyć się na efektywniejsze wykorzystanie obu opcji terapeutycznych w programie.

**Tabela 5.** Liczba rozliczonych jednostek leku (mg), liczba osób oraz średnia liczba jednostek przypadająca na jednego pacjenta w programie lekowym B.90 w latach 2017–2023.

Rok	Lewodopa z karbidopą			Apomorfina		
	Liczba rozliczonych jednostek (mg)	Liczba pacjentów	Średnia liczba jednostek na pacjenta	Liczba rozliczonych jednostek (mg)	Liczba pacjentów	Średnia liczba jednostek na pacjenta
2017	250 000	6	41 667			
2018	15 520 000	46	337 391	50 500	5	10 100,00
2019	45 835 000	77	595 260	485 400	31	15 658,06
2020	62 352 000	106	588 226	1 041 500	47	22 159,57
2021	96 823 250	148	654 211	1 507 500	54	27 916,67
2022	136 816 000	206	664 155	2 066 000	76	27 184,21
2023 I poł.	83 620 000	249	335 823	1 233 900	83	14 866,27



# 5.

## Jakość życia pacjentów z zaawansowaną chorobą Parkinsona w trakcie leczenia z użyciem terapii infuzyjnych – badanie ankietowe

### 5.1. Cel i metodologia

Celem badania ankietowego *Jakość życia pacjentów z zaawansowaną chorobą Parkinsona w trakcie leczenia z użyciem terapii infuzyjnych* była ocena wybranych aspektów jakości życia pacjentów z kompleksową PD, leczonych w ramach programu lekowego *Leczenie zaburzeń motorycznych w przebiegu zaawansowanej choroby Parkinsona* za pomocą ciągłych wlewów apomorfiny z wykorzystaniem uniwersalnej pompy Micrel MP i przeznaczonej dla pacjentów z chorobą Parkinsona pompy D-mine (porównanie obu urządzeń zawiera załącznik 1). Pytania dotyczyły codziennego funkcjonowania ankietowanych w obszarach fizycznym, socjalnym i emocjonalnym. Badanie było realizowane w 2 częściach: pierwsza w okresie od marca do kwietnia 2023 r., druga – od października 2023 r. do lutego 2024 r.

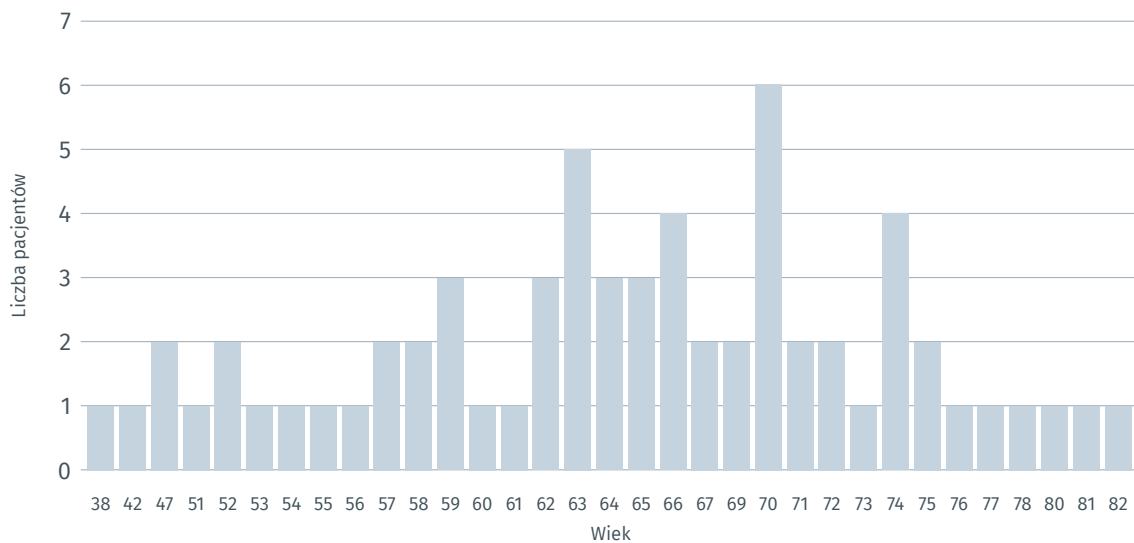
W pierwszej części badania ankietowani ocenili użytkowanie pompy Micrel MP, a także jej wpływ na wybrane aspekty ich życia przy pomocy kwestionariusza składającego się z 6 pytań, udzielając odpowiedzi w 10-stopniowej skali (1 – najniższa, negatywna odpowiedź; 10 – najwyższa, pozytywna odpowiedź), oraz jednego pytania otwartego (załącznik 2). Wzięto w niej udział 65 pacjentów (31 kobiet i 34 mężczyzn) w wieku od 38 do 82 lat (rycina 7). Procentowy podział pacjentów z uwzględnieniem płci oraz kategorii wiekowych < 65. roku życia i ≥ 65. roku życia, przedstawiony na rycinie 8, wskazuje na równomierną dystrybucję pomiędzy grupami.

Ankietowani zostali włączeni do terapii apomorfina przy użyciu pompy Micrel MP w okresie od września 2018 r. do stycznia roku 2023. Minimalny czas terapii wynosił 3, maksymalny zaś 64 miesiące. Średnio pacjenci leczeni byli przy użyciu pompy Micrel MP 24 miesiące. Mediana czasu leczenia wyniosła 22,5 miesiąca. Największa liczba chorych stosowała terapię apomorfina poniżej 12 miesięcy (rycina 9).

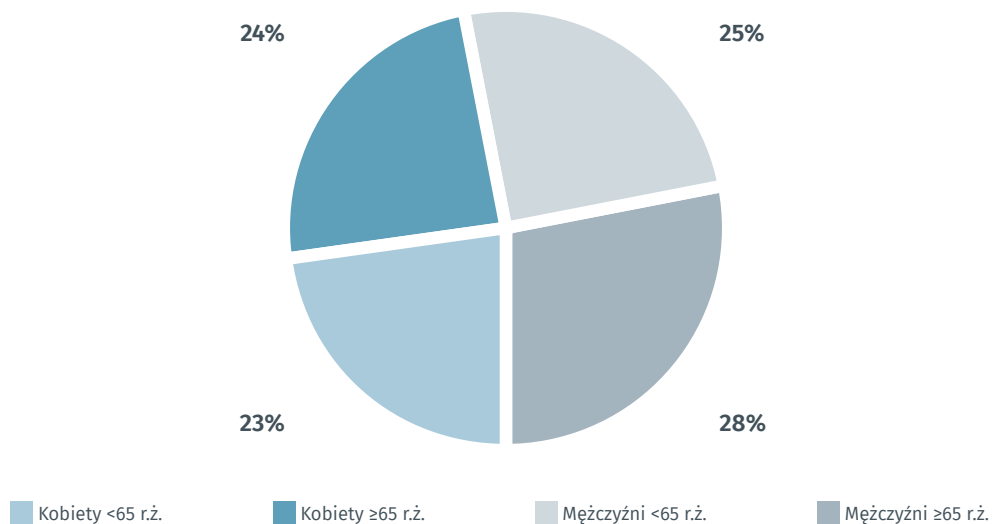
Pacjenci, którzy brali udział w badaniu, zostali zakwalifikowani do niego przez swoich lekarzy prowadzących i wyrazili na to świadomą zgodę. Leczeni byli w jednym z 6 ośrodków realizujących program lekowy B.90, a rozkład badanej próby pomiędzy ośrodkami był następujący (rycina 10):

1. Szpital św. Wojciecha, al. Jana Pawła II 50, Gdańsk – 23 pacjentów, lekarze prowadzący: lek. med. Joanna Majka, lek. med. Magdalena Kwaśniak-Butowska,
2. Śląski Uniwersytet Medyczny w Katowicach, Katedra Neurologii, ul. Medyków 14, Katowice – 8 pacjentów, lekarze prowadzący: lek. med. Justyna Gawryluk, lek. med. Tomasz Chmiela,
3. Uniwersytecki Szpital Kliniczny w Poznaniu, Oddział Kliniczny Neurologii z Pododdziałem Udarowym, ul. Przybyszewskiego 49, Poznań – 7 pacjentów, lekarze prowadzący: dr n. med. Karolina Popławska-Domaszewicz, dr n. med. Jolanta Florczak-Wyspiańska,
4. Pomorski Uniwersytet Medyczny w Szczecinie, Klinika Neurologii, ul. Unii Lubelskiej 1, Szczecin – 6 pacjentów, lekarz prowadzący dr hab. n. med. Monika Gołąb-Janowska,
5. Szpital Bródnowski, Klinika Neurologii Wydziału Nauk o Zdrowiu Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego, ul. Kondratowicza 8, Warszawa – 15 pacjentów, lekarz prowadzący dr hab. n. med. Dariusz Koziorowski,
6. Uniwersytecki Szpital Kliniczny we Wrocławiu, Oddział Kliniczny Neurologii, ul. Borowska 213, Wrocław – 6 pacjentów, lekarze prowadzący: lek. med. Katarzyna Markowska, dr n. med. Paulina Papier.

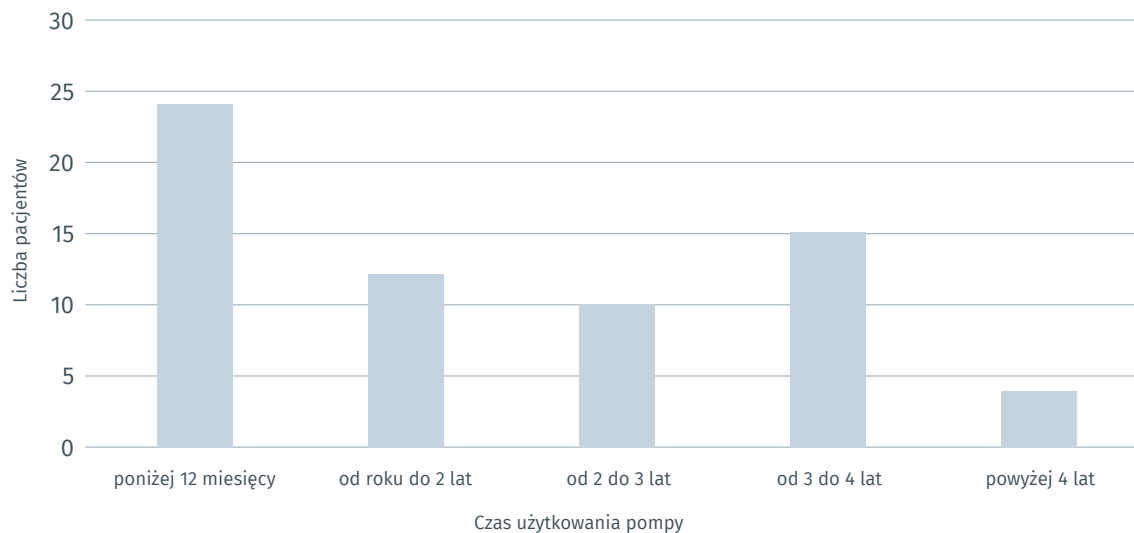
**Rycina 7.** Liczba pacjentów biorących udział w badaniu w podziale na wiek.



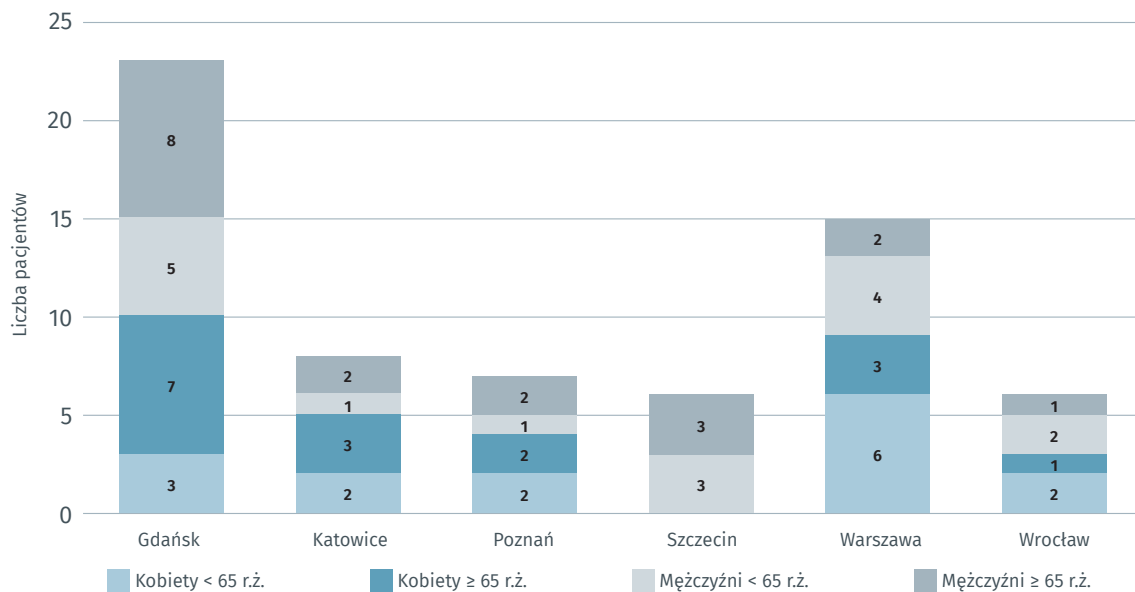
**Rycina 8.** Pacjenci biorący udział w badaniu w podziale na kategorie wiekowe <65 i ≥65 roku życia oraz na płeć.



**Rycina 9.** Liczba pacjentów biorących udział w badaniu w podziale na czas użytkowania pompy.



**Rycina 10.** Liczba pacjentów biorących udział w badaniu w podziale na ośrodki realizujące, płeć oraz kategorie wiekowe.



W celu lepszego zobrazowania wyników pierwszej części badania, z uwagi na stosunkowo małą liczbę odpowiedzi dla poszczególnych przedziałów w pierwotnej 10-stopniowej skali punktowej (1–10), końcowe wyniki przedstawiono w postaci wtórnej 5-stopniowej skali (I–V), dla której przyjęto następujące wartości:

- I – zdecydowanie źle (odpowiedzi 1 i 2 w 10-stopniowej skali),
- II – źle (odpowiedzi 3 i 4 w 10-stopniowej skali),
- III – neutralnie (odpowiedzi 5 i 6 w 10-stopniowej skali),
- IV – dobrze (odpowiedzi 7 i 8 w 10-stopniowej skali),
- V – zdecydowanie dobrze (odpowiedzi 9 i 10 w 10-stopniowej skali).

W uzupełnieniu przedstawiono także wyniki dla pierwotnej 10-stopniowej skali.

W drugiej części badania wzięło udział 6 pacjentów włączonych do terapii apomorfiną w okresie od maja 2019 r. do grudnia 2021 r. (3 kobiety i 3 mężczyzn w wieku od 47 do 67 lat; 3 pacjentów < 65. roku życia i 3 pacjentów ≥ 65. roku życia), u których zamieniono pompę Micrel MP na pompę D-mine. Ankietowani ocenili w tej części użytkowanie pompy D-mine, a także jej wpływ na wybrane aspekty jakości ich życia przy pomocy kwestionariusza składającego się z 7 pytań, udzielając odpowiedzi w 10-stopniowej skali oceny (1 – najniższa, negatywna odpowiedź; 10 – najwyższa, pozytywna odpowiedź), oraz jednego pytania otwartego (załącznik 3). Wyniki drugiej części badania przedstawiono wyłącznie w postaci wtórnej 5-stopniowej skali.

## 5.2. Analiza ilościowa wyników badania ankietowego

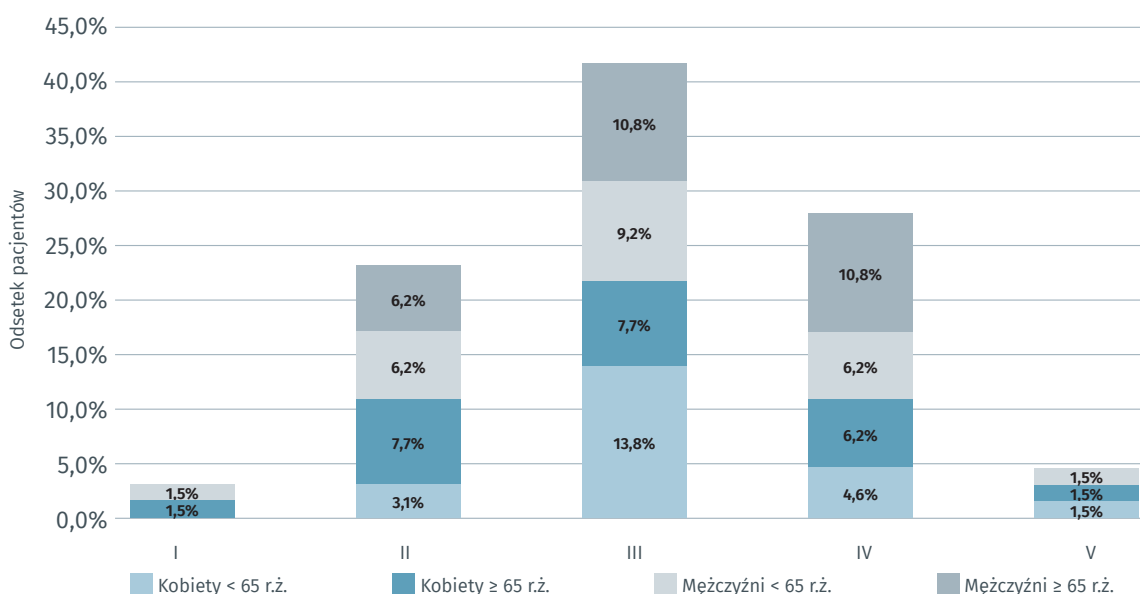
### 5.2.1. Analiza ilościowa wyników części pierwszej badania ankietowego

#### Pytanie 1. Jak oceniasz swój aktualny komfort życia związany z użytkowaniem pompy?

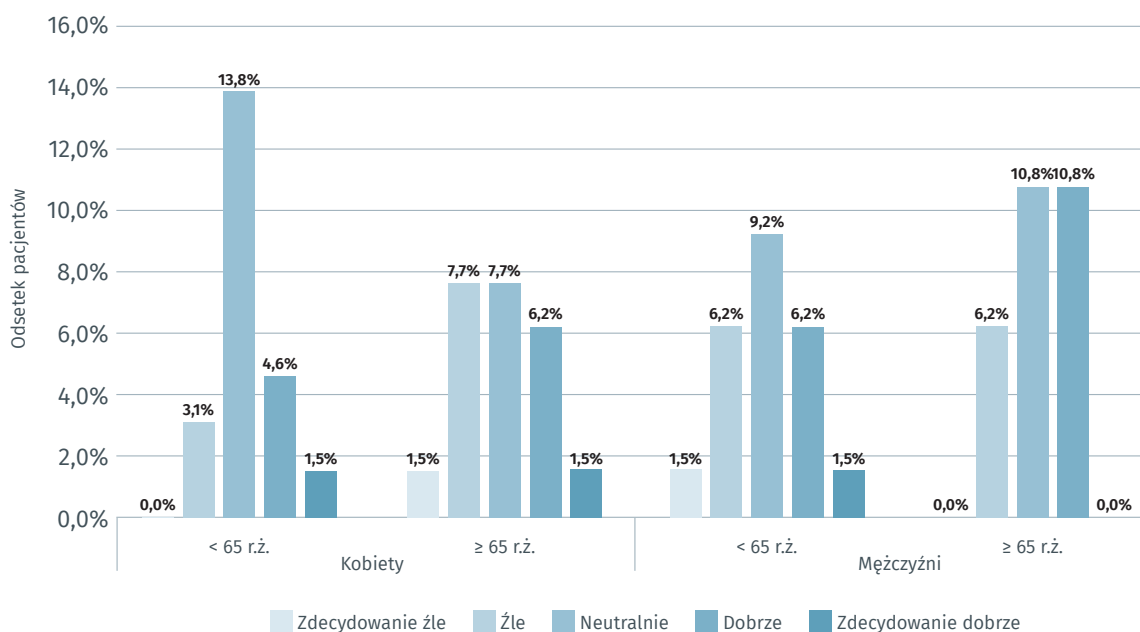
W całej badanej populacji pacjentów ponad 41% oceniło swój aktualny komfort życia neutralnie. Odsetek odpowiedzi oceniających komfort życia negatywnie (zdecydowanie źle i źle) wyniósł 26% i był nieznacznie niższy od oceniających ten parametr pozytywnie (32%, dobrze i zdecydowanie dobrze). Z analizy ankiet wynika, że kobiety nieco niżej oceniły swój komfort życia związany z użytkowaniem pompy Micrel MP. 29% kobiet i 35% mężczyzn oceniło swój aktualny komfort życia dobrze i zdecydowanie dobrze. W przypadku kobiet  $\geq 65$ . roku życia odsetek

oceniających swój komfort życia źle (łącznie 9,3%) jest wyraźnie wyższy w porównaniu z niższą kategorią wiekową (3,1%), czego nie obserwuje się u mężczyzn. Z kolei u mężczyzn  $\geq 65$ . roku życia nie odnotowano odpowiedzi oceniających swój komfort życia zdecydowanie dobrze, choć należy mieć na uwadze, że w pozostałych grupach odsetek takich odpowiedzi wynosił jedynie 1,5% (ryciny 11a i 11b). Wyniki w pierwotnej 10-stopniowej skali przedstawia rycina 12 i tabela 6.

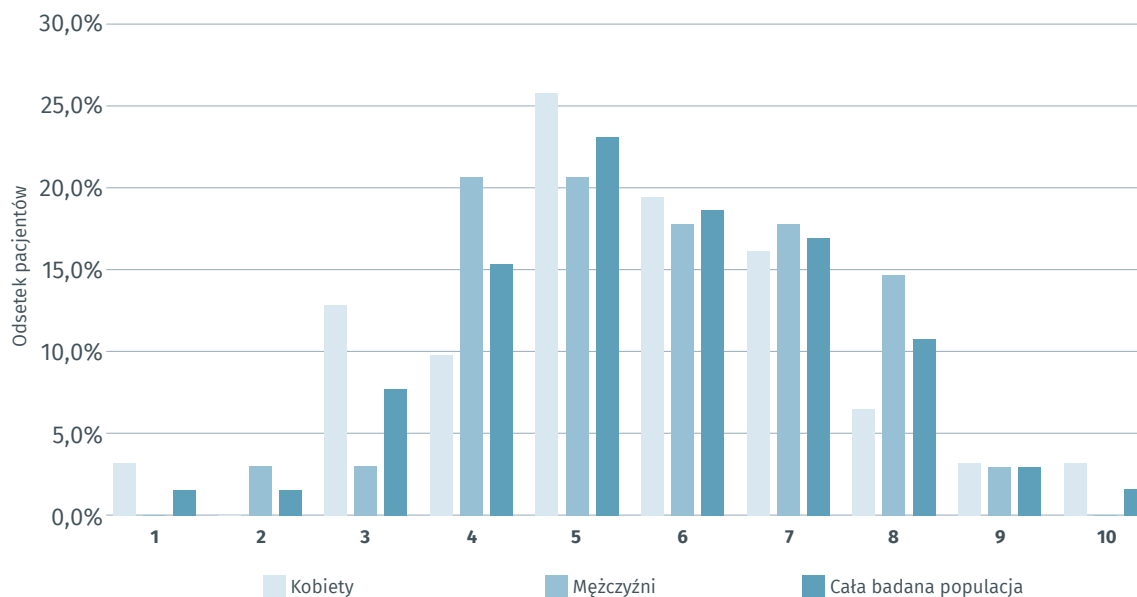
**Rycina 11a.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz swój aktualny komfort życia związany z użytkowaniem pompy?* w 5-stopniowej skali w podziale na płeć i kategorie wiekowe.



**Rycina 11b.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz swój aktualny komfort życia związany z użytkowaniem pompy?* w 5-stopniowej skali w podziale na płeć i kategorie wiekowe.



**Rycina 12.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz swój aktualny komfort życia związany z użytkowaniem pompy?* w 10-stopniowej skali dla całej badanej populacji oraz według płci.



**Tabela 6.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz swój aktualny komfort życia związany z użytkowaniem pompy?* w 10-stopniowej skali dla całej badanej populacji oraz według płci.

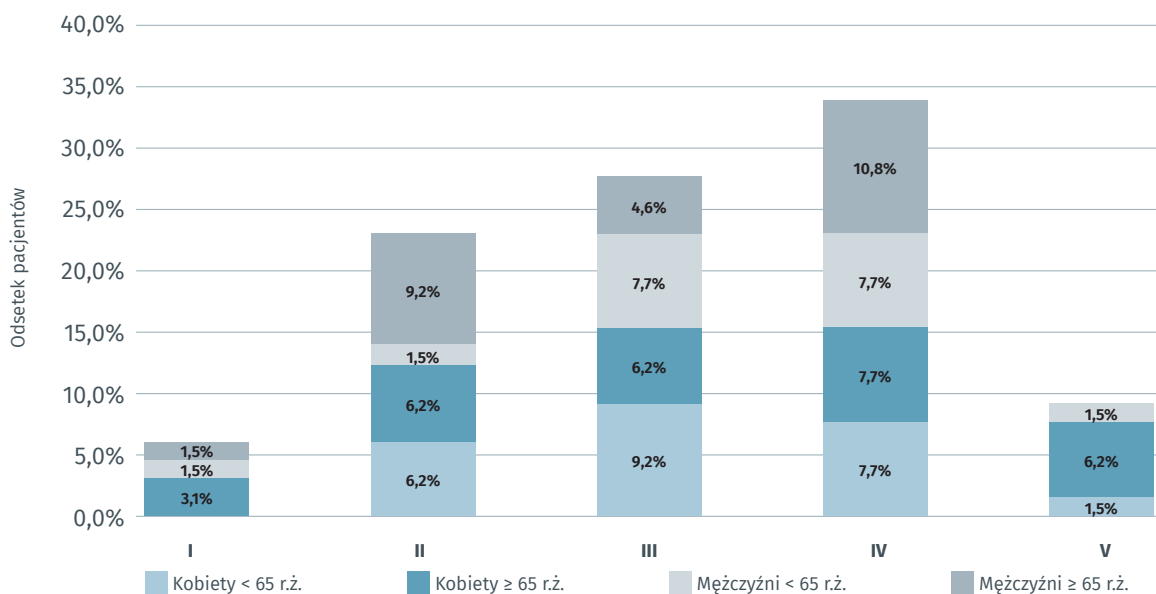
Ocena	Kobiety		Mężczyźni		Cała badana populacja	
	n	%	n	%	n	%
1	1	3,23%	0	0,00%	1	1,54%
2	0	0,00%	1	2,94%	1	1,54%
3	4	12,90%	1	2,94%	5	7,69%
4	3	9,68%	7	20,59%	10	15,38%
5	8	25,81%	7	20,59%	15	23,08%
6	6	19,35%	6	17,65%	12	18,46%
7	5	16,13%	6	17,65%	11	16,92%
8	2	6,45%	5	14,71%	7	10,77%
9	1	3,23%	1	2,94%	2	3,08%
10	1	3,23%	0	0,00%	1	1,54%
<b>Ogółem</b>	<b>31</b>	<b>100,00%</b>	<b>34</b>	<b>100,00%</b>	<b>65</b>	<b>100,00%</b>

## Pytanie 2. Jak oceniasz swoją aktualną samodzielność związaną z użytkowaniem pompy (samodzielne ubieranie się, poruszanie się itp.)?

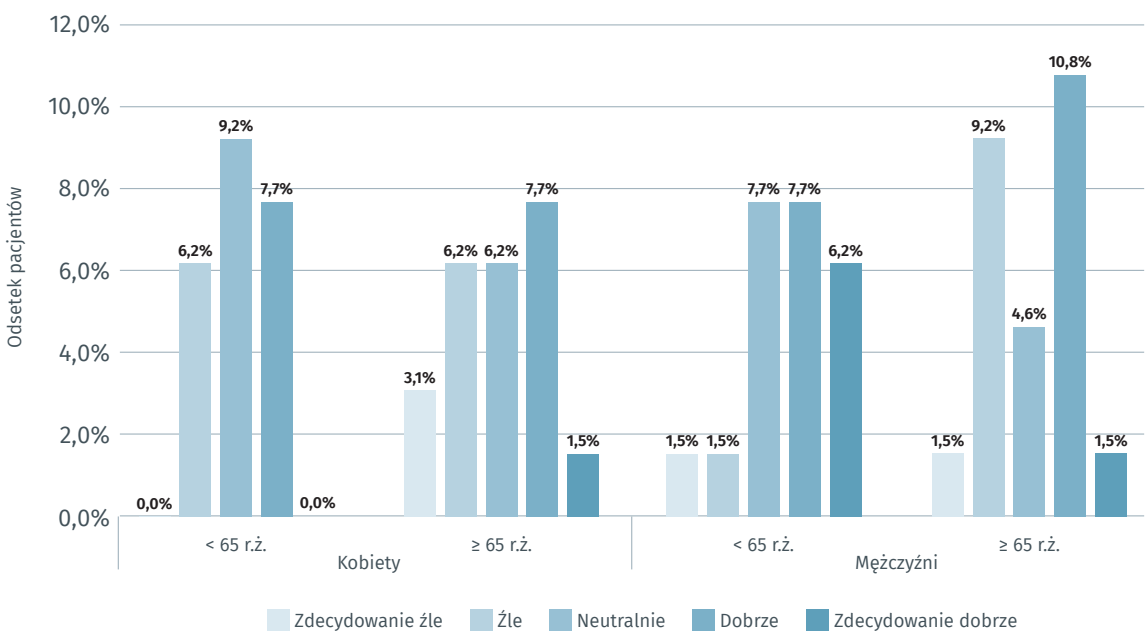
28% ankietowanych oceniło swoją aktualną samodzielność związaną z użytkowaniem pompy Micrel MP neutralnie, 29% oceniło ją źle, a dobrze 43%. Mężczyźni wyżej ocenili swoją aktualną samodzielność – 50% mężczyzn i 35% kobiet oceniło ten parametr dobrze i zdecydowanie dobrze. W przypadku kate-

gorii wiekowych, zarówno u kobiet, jak i u mężczyzn, odsetek oceniających samodzielność źle był wyższy u pacjentów  $\geq 65$ . roku życia (ryciny 13a i 13b). Wyniki w pierwotnej 10-stopniowej skali przedstawia rycina 14 i tabela 7.

**Rycina 13a.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz swoją aktualną samodzielność związaną z użytkowaniem pompy (samodzielne ubieranie się, poruszanie się itp.)?* w 5-stopniowej skali w podziale na płeć i kategorię wiekową.

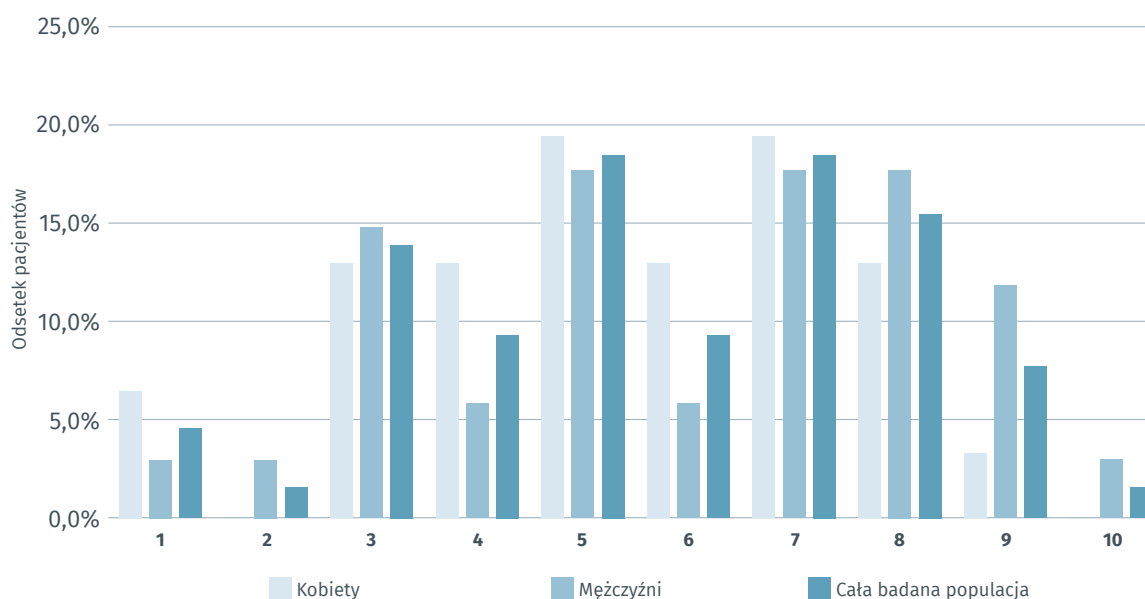


**Rycina 13b.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz swoją aktualną samodzielność związaną z użytkowaniem pompy (samodzielne ubieranie się, poruszanie się itp.)?* w 5-stopniowej skali w podziale na płeć i kategorię wiekową.





**Rycina 14.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz swoją aktualną samodzielność związaną z użytkowaniem pompy (samodzielne ubieranie się, poruszanie się itp.)?* w 10-stopniowej skali dla całej badanej populacji oraz według płci.



**Tabela 7.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz swoją aktualną samodzielność związaną z użytkowaniem pompy (samodzielne ubieranie się, poruszanie się itp.)?* w 10-stopniowej skali dla całej badanej populacji oraz według płci.

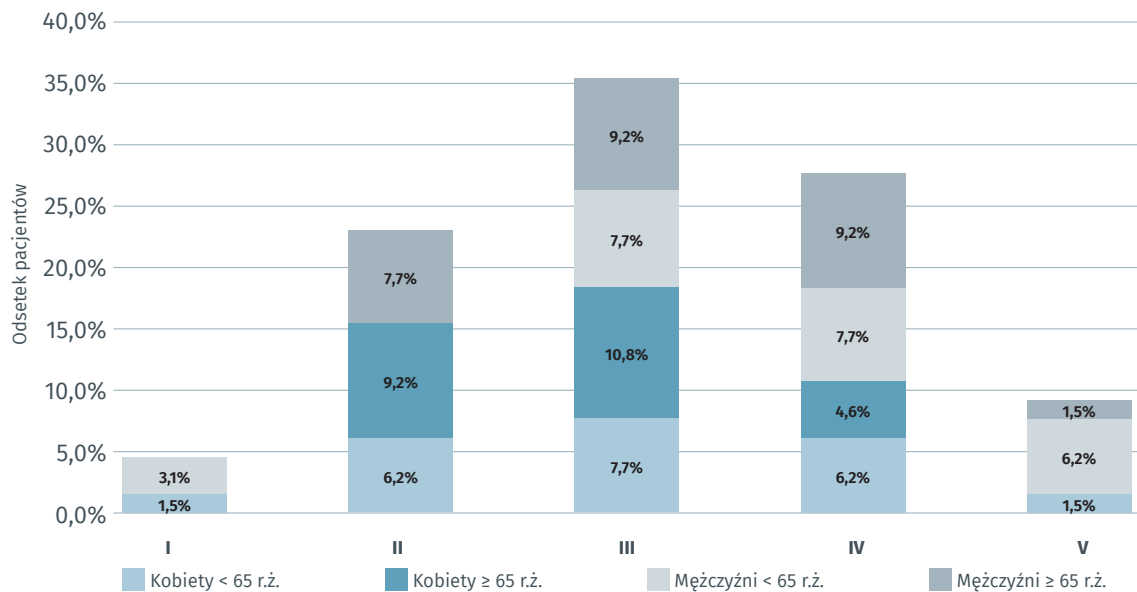
Ocena	Kobiety		Mężczyźni		Cała badana populacja	
	n	%	n	%	n	%
1	2	6,45%	1	2,94%	3	4,62%
2	0	0,00%	1	2,94%	1	1,54%
3	4	12,90%	5	14,71%	9	13,85%
4	4	12,90%	2	5,88%	6	9,23%
5	6	19,35%	6	17,65%	12	18,46%
6	4	12,90%	2	5,88%	6	9,23%
7	6	19,35%	6	17,65%	12	18,46%
8	4	12,90%	6	17,65%	10	15,38%
9	1	3,23%	4	11,76%	5	7,69%
10	0	0,00%	1	2,94%	1	1,54%
<b>Ogółem</b>	<b>31</b>	<b>100,00%</b>	<b>34</b>	<b>100,00%</b>	<b>65</b>	<b>100,00%</b>

### Pytanie 3. Jak oceniasz swoją aktywność fizyczną podczas użytkowania pompy (spacery, ćwiczenia fizyczne, taniec itp.)?

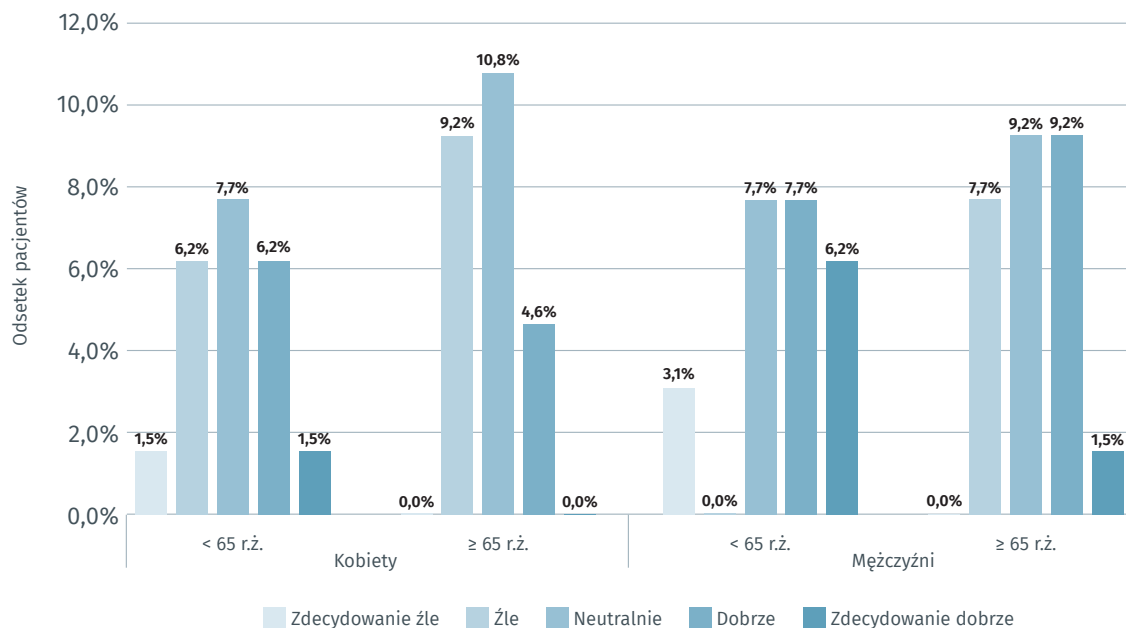
Ponad 35% ankietowanych, w tym 39% kobiet i 32% mężczyzn, oceniło swoją aktywność fizyczną podczas użytkowania pompy Micrel MP neutralnie. 37% ankietowanych oceniło ten parametr dobrze i zdecydowanie dobrze. W grupie tej dominują mężczyźni (47% mężczyzn vs 26% kobiet). Zaledwie 5%

badanych oceniło swoją aktywność fizyczną zdecydowanie źle. Najwyżej swoją aktywność fizyczną podczas użytkowania pompy Micrel MP oceniają mężczyźni < 65. roku życia (ryciny 15a i 15b). Wyniki w pierwotnej 10-stopniowej skali przedstawia rycina 16 i tabela 8.

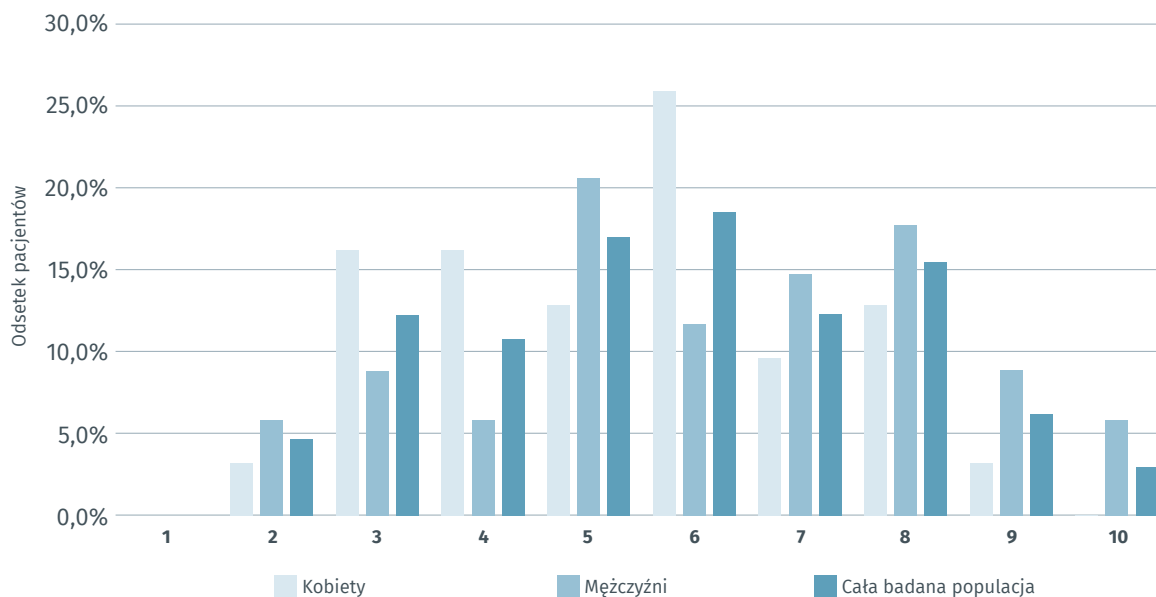
**Rycina 15a.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz swoją aktywność fizyczną podczas użytkowania pompy (spacery, ćwiczenia fizyczne, taniec itp.)?* w 5-stopniowej skali w podziale na płeć i kategorie wiekowe.



**Rycina 15b.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz swoją aktywność fizyczną podczas użytkowania pompy (spacery, ćwiczenia fizyczne, taniec itp.)?* w 5-stopniowej skali w podziale na płeć i kategorie wiekowe.



**Rycina 16.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz swoją aktywność fizyczną podczas użytkowania pompy (spacery, ćwiczenia fizyczne, taniec itp.)?* w 10-stopniowej skali dla całej badanej populacji oraz według płci.



**Tabela 8.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz swoją aktywność fizyczną podczas użytkowania pompy (spacery, ćwiczenia fizyczne, taniec itp.)?* w 10-stopniowej skali dla całej badanej populacji oraz według płci.

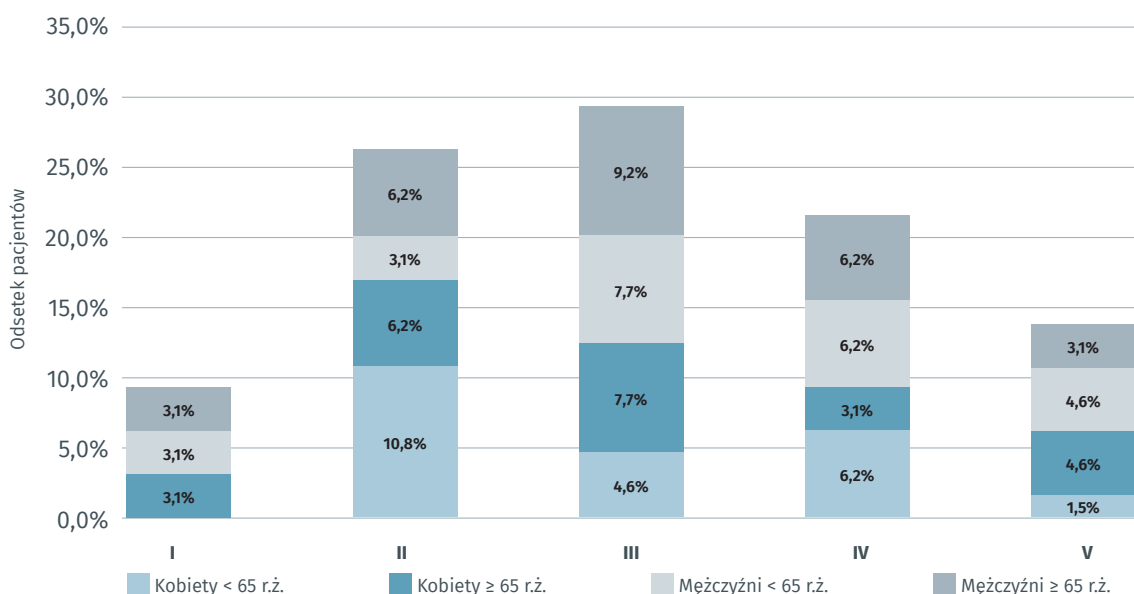
Ocena	Kobiety		Mężczyźni		Cała badana populacja	
	n	%	n	%	n	%
1	0	0,00%	0	0,00%	0	0,00%
2	1	3,23%	2	5,88%	3	4,62%
3	5	16,13%	3	8,82%	8	12,31%
4	5	16,13%	2	5,88%	7	10,77%
5	4	12,90%	7	20,59%	11	16,92%
6	8	25,81%	4	11,76%	12	18,46%
7	3	9,68%	5	14,71%	8	12,31%
8	4	12,90%	6	17,65%	10	15,38%
9	1	3,23%	3	8,82%	4	6,15%
10	0	0,00%	2	5,88%	2	3,08%
<b>Ogółem</b>	<b>31</b>	<b>100,00%</b>	<b>34</b>	<b>100,00%</b>	<b>65</b>	<b>100,00%</b>

#### Pytanie 4. Jak oceniasz swoją aktywność towarzyską podczas użytkowania pompy (spotkania towarzyskie, rodzinne, wyjścia do kina itp.)?

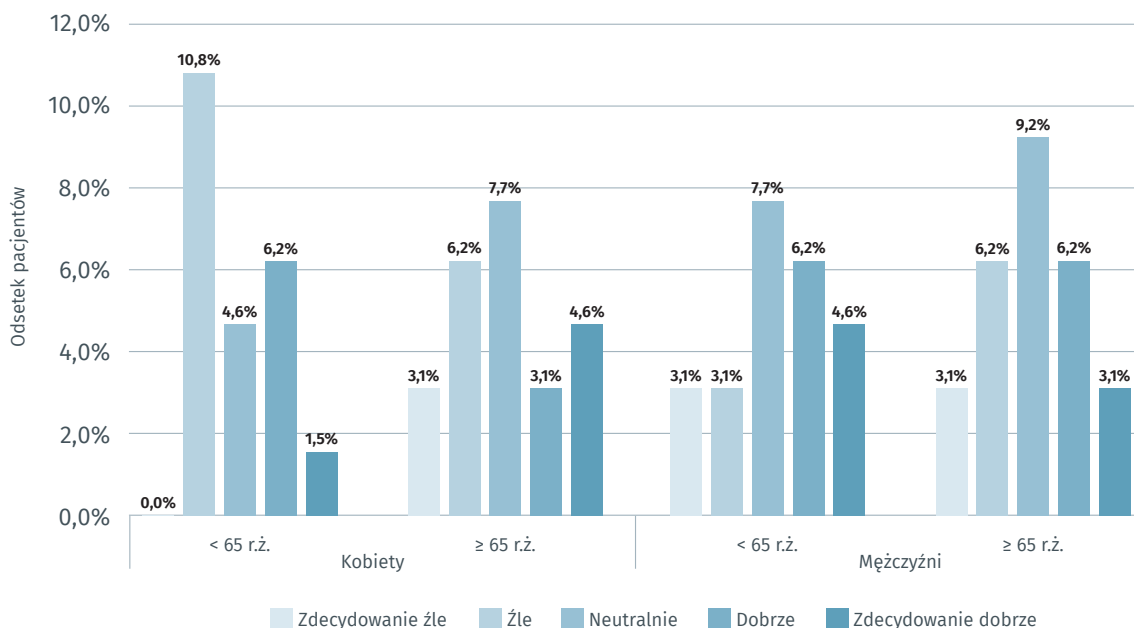
Odsetek pacjentów oceniających swoją aktywność towarzyską podczas użytkowania pompy Micrel MP neutralnie wynosi 29%. 35% ankietowanych oceniło swoją aktywność towarzyską dobrze i zdecydowanie dobrze. Taki sam odsetek ankietowanych ocenił swoją aktywność towarzyską źle i zdecydowanie źle. W grupie tej dominowały kobiety (42% kobiet vs

29% mężczyzn). Odsetek ocen dobrych jest zbliżony w obu kategoriach wiekowych dla obu płci, natomiast ocen złych u mężczyzn  $\geq 65$ . roku życia jest o ok. 50% więcej w porównaniu do niższej kategorii wiekowej (ryciny 17a i 17b). Wyniki w pierwotnej 10-stopniowej skali przedstawia rycina 18 i tabela 9.

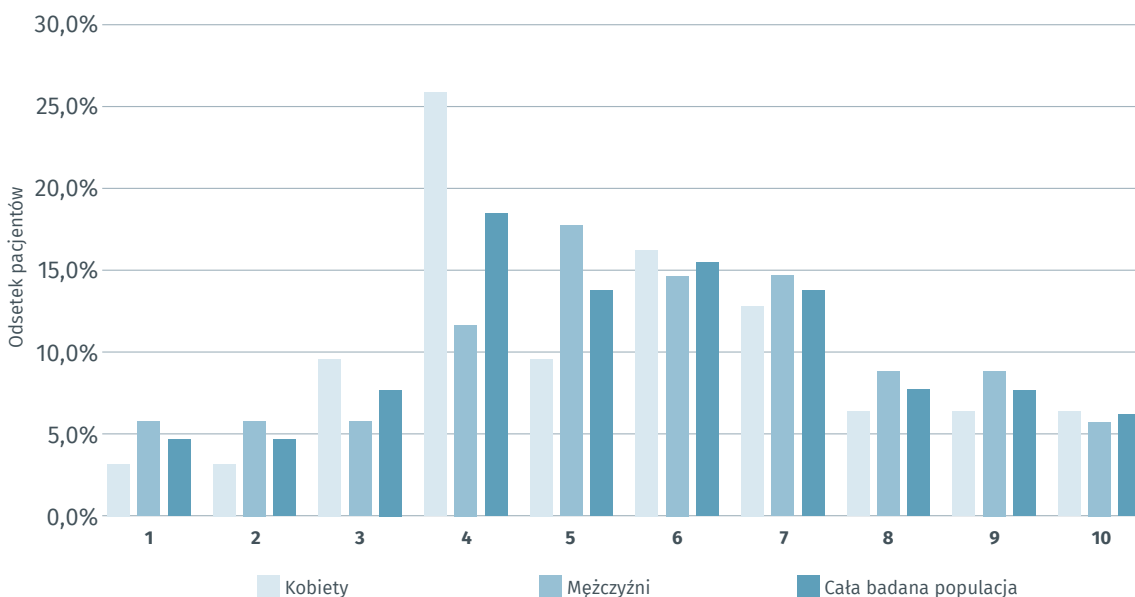
**Rycina 17a.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz swoją aktywność towarzyską podczas użytkowania pompy (spotkania towarzyskie, rodzinne, wyjścia do kina itp.)?* w 5-stopniowej skali w podziale na płeć i kategorie wiekowe.



**Rycina 17b.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz swoją aktywność towarzyską podczas użytkowania pompy (spotkania towarzyskie, rodzinne, wyjścia do kina itp.)?* w 5-stopniowej skali w podziale na płeć i kategorie wiekowe.



**Rycina 18.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz swoją aktywność towarzyską podczas użytkowania pompy (spotkania towarzyskie, rodzinne, wyjścia do kina itp.)?* w 10-stopniowej skali dla całej badanej populacji oraz według płci.



**Tabela 9.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz swoją aktywność towarzyską podczas użytkowania pompy (spotkania towarzyskie, rodzinne, wyjścia do kina itp.)?* w 10-stopniowej skali dla całej badanej populacji oraz według płci.

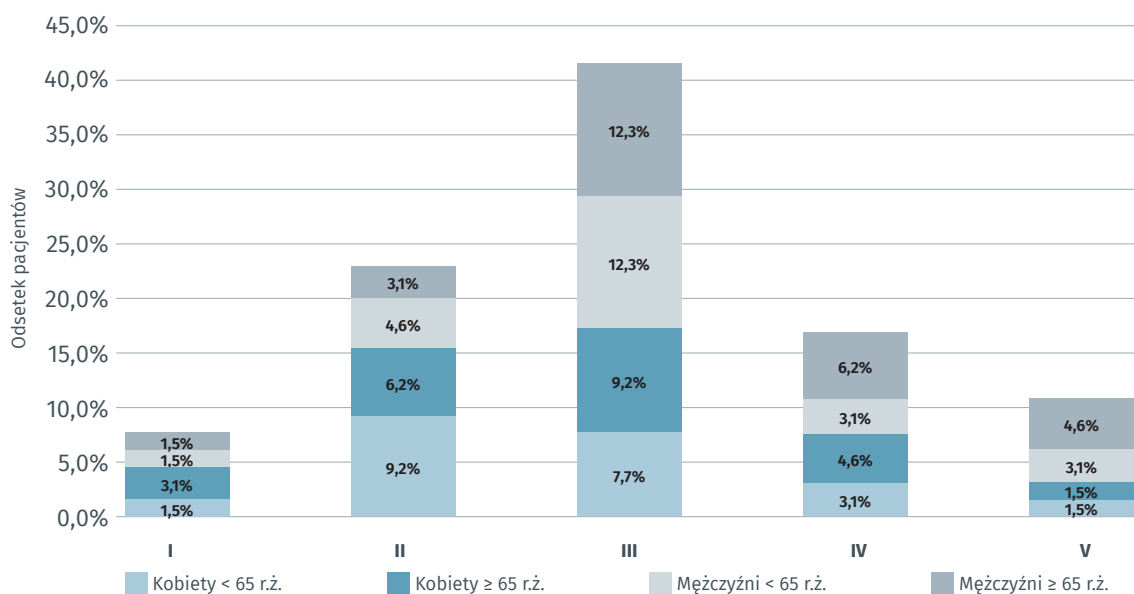
Ocena	Kobiety		Mężczyźni		Cała badana populacja	
	n	%	n	%	n	%
1	1	3,23%	2	5,88%	3	4,62%
2	1	3,23%	2	5,88%	3	4,62%
3	3	9,68%	2	5,88%	5	7,69%
4	8	25,81%	4	11,76%	12	18,46%
5	3	9,68%	6	17,65%	9	13,85%
6	5	16,13%	5	14,71%	10	15,38%
7	4	12,90%	5	14,71%	9	13,85%
8	2	6,45%	3	8,82%	5	7,69%
9	2	6,45%	3	8,82%	5	7,69%
10	2	6,45%	2	5,88%	4	6,15%
<b>Ogółem</b>	<b>31</b>	<b>100,00%</b>	<b>34</b>	<b>100,00%</b>	<b>65</b>	<b>100,00%</b>

## Pytanie 5. Jak pompa wpływa na Twoją samoocenę?

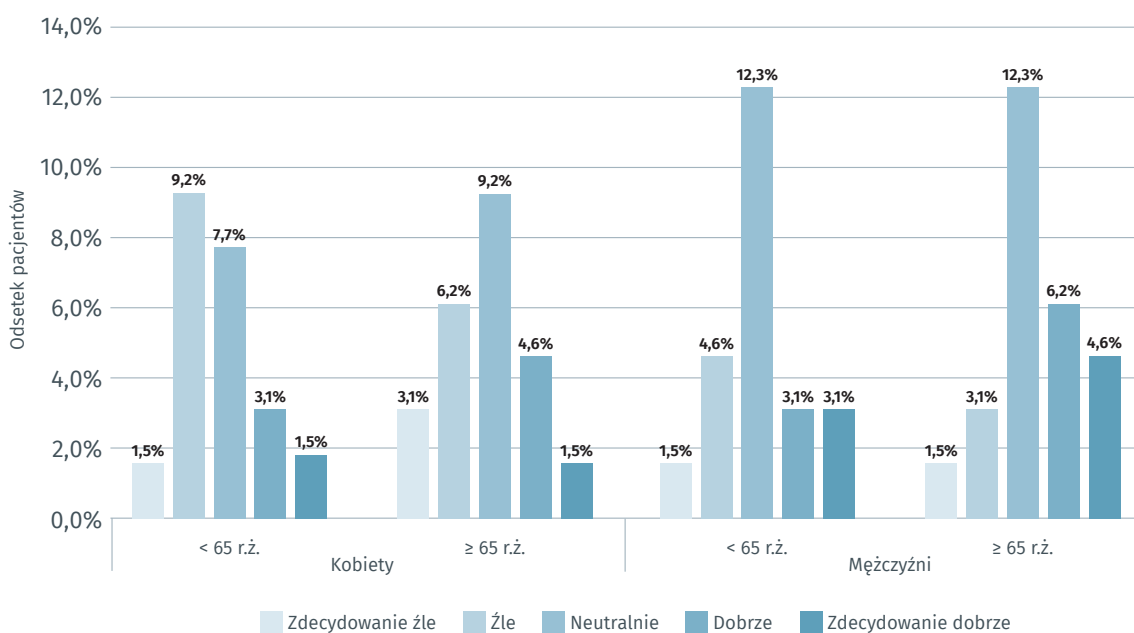
Blisko 42% ankietowanych, w tym 35% kobiet i 47% mężczyzn, nie wskazało istotnego wpływu pompy Micrel MP na swoją samoocenę. Negatywny wpływ (odpowiedzi w przedziałach źle i zdecydowanie źle) wskazała blisko 1/3 ankietowanych (42% kobiet i 21% mężczyzn). Niespełna 11% ankietowanych, w tym 15% mężczyzn, wpływ pompy na swoją samo-

ocenę oceniło zdecydowanie dobrze. W obu kategoriach wiekowych odsetek złej samooceny jest wyższy u kobiet, a w przypadku ocen dobrych różnica na korzyść mężczyzn ujawniła się u pacjentów  $\geq 65$ . roku życia (ryciny 19a i 19b). Wyniki w pierwotnej 10-stopniowej skali przedstawia rycina 20 i tabela 10.

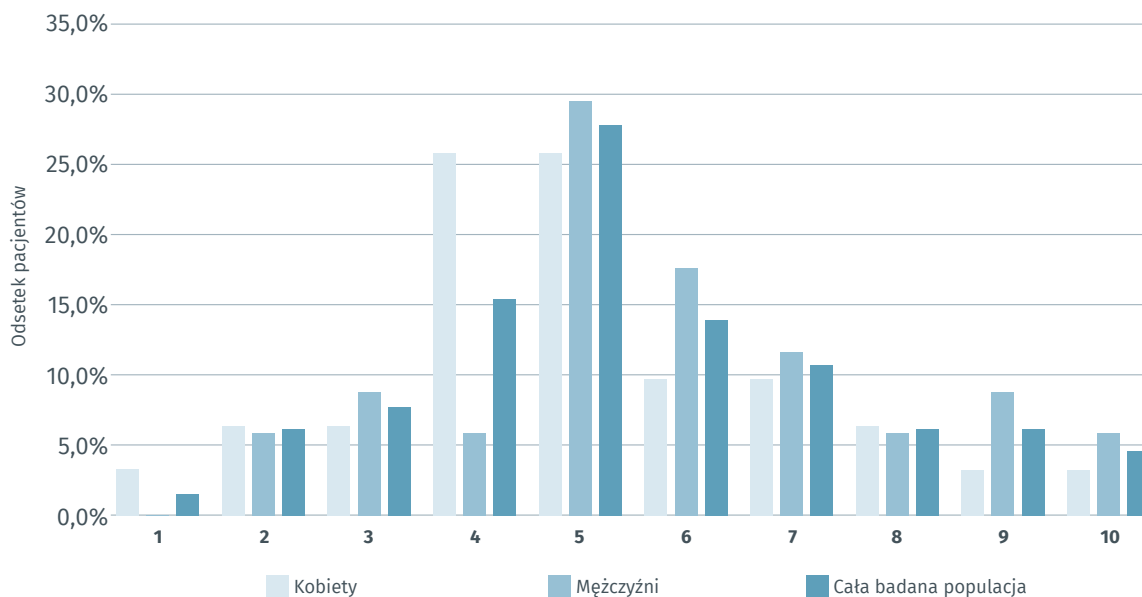
**Rycina 19a.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak pompa wpływa na Twoją samoocenę?* w 5-stopniowej skali w podziale na płeć i kategorie wiekowe.



**Rycina 19b.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak pompa wpływa na Twoją samoocenę?* w 5-stopniowej skali w podziale na płeć i kategorie wiekowe.



**Rycina 20.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak pompa wpływa na Twoją samoocenę?* w 10-stopniowej stopniowej dla całej badanej populacji oraz według płci.



**Tabela 10.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak pompa wpływa na Twoją samoocenę?* w 10-stopniowej skali dla całej badanej populacji oraz według płci.

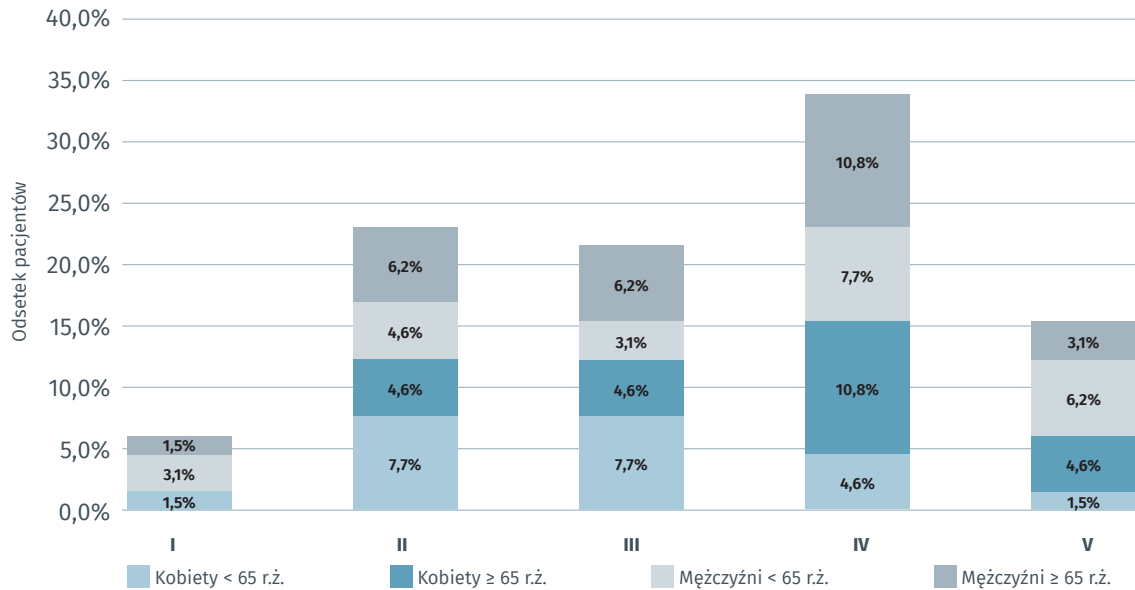
Ocena	Kobiety		Mężczyźni		Cała badana populacja	
	n	%	n	%	n	%
1	1	3,23%	0	0,00%	1	1,54%
2	2	6,45%	2	5,88%	4	6,15%
3	2	6,45%	3	8,82%	5	7,69%
4	8	25,81%	2	5,88%	10	15,38%
5	8	25,81%	10	29,41%	18	27,69%
6	3	9,68%	6	17,65%	9	13,85%
7	3	9,68%	4	11,76%	7	10,77%
8	2	6,45%	2	5,88%	4	6,15%
9	1	3,23%	3	8,82%	4	6,15%
10	1	3,23%	2	5,88%	3	4,62%
<b>Ogółem</b>	<b>31</b>	<b>100,00%</b>	<b>34</b>	<b>100,00%</b>	<b>65</b>	<b>100,00%</b>

## Pytanie 6. Jak oceniasz używanie pompy w zakresie: a. obsługi pompy?

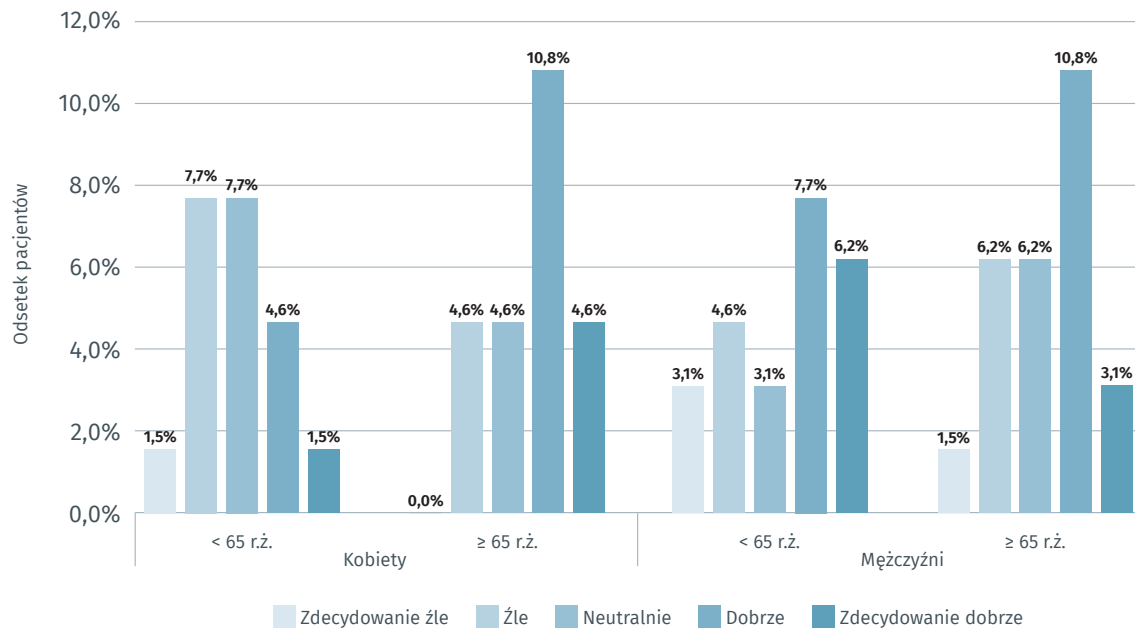
Blisko połowa ankietowanych oceniła obsługę pompy Micrel MP dobrze i zdecydowanie dobrze. Ponad 29% badanych znalazło się na przeciwległym biegunie, oceniając obsługę pompy Micrel MP źle i zdecydowanie źle. Wśród badanych najniższ

niający ten aspekt użytkowania pompy dominują kobiety < 65. roku życia (ryciny 21a i 21b). Wyniki w pierwotnej 10-stopniowej skali przedstawia rycina 22 i tabela 11.

**Rycina 21a.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie obsługi pompy?* w 5-stopniowej skali w podziale na płeć i kategorie wiekowe.

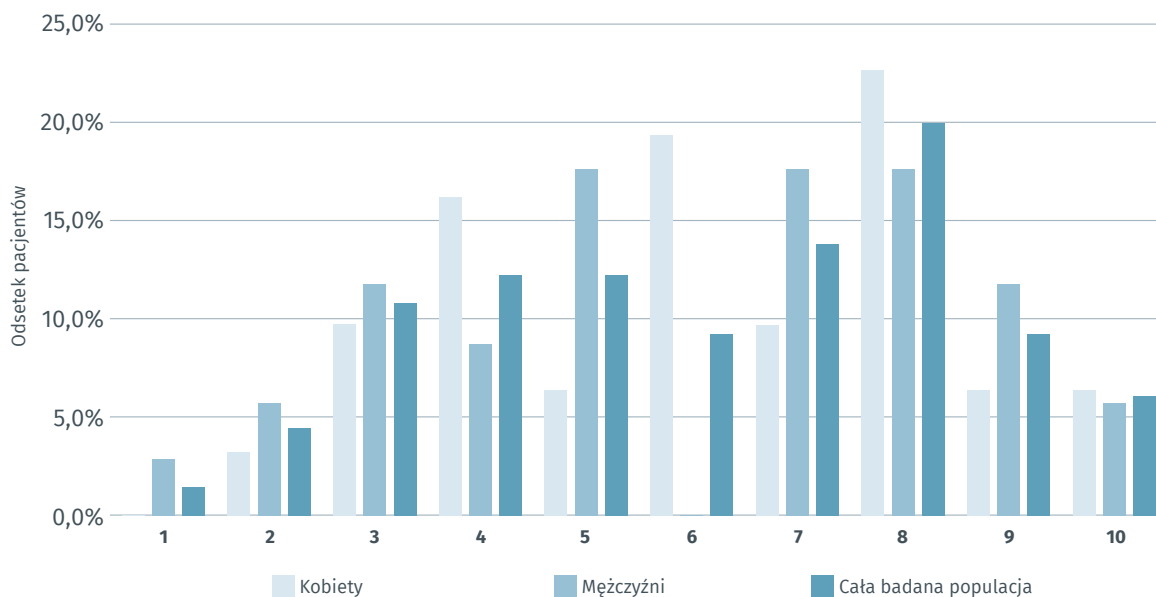


**Rycina 21b.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie obsługi pompy?* w 5-stopniowej skali w podziale na płeć i kategorie wiekowe.





**Rycina 22.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie obsługi pompy?* w 10-stopniowej skali dla całej badanej populacji oraz według płci.



**Tabela 11.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie obsługi pompy?* w 10-stopniowej skali dla całej badanej populacji oraz według płci.

Ocena	Kobiety		Mężczyźni		Cała badana populacja	
	n	%	n	%	n	%
1	0	0,00%	1	2,94%	1	1,54%
2	1	3,23%	2	5,88%	3	4,62%
3	3	9,68%	4	11,76%	7	10,77%
4	5	16,13%	3	8,82%	8	12,31%
5	2	6,45%	6	17,65%	8	12,31%
6	6	19,35%	0	0,00%	6	9,23%
7	3	9,68%	6	17,65%	9	13,85%
8	7	22,58%	6	17,65%	13	20,00%
9	2	6,45%	4	11,76%	6	9,23%
10	2	6,45%	2	5,88%	4	6,15%
<b>Ogółem</b>	<b>31</b>	<b>100,00%</b>	<b>34</b>	<b>100,00%</b>	<b>65</b>	<b>100,00%</b>

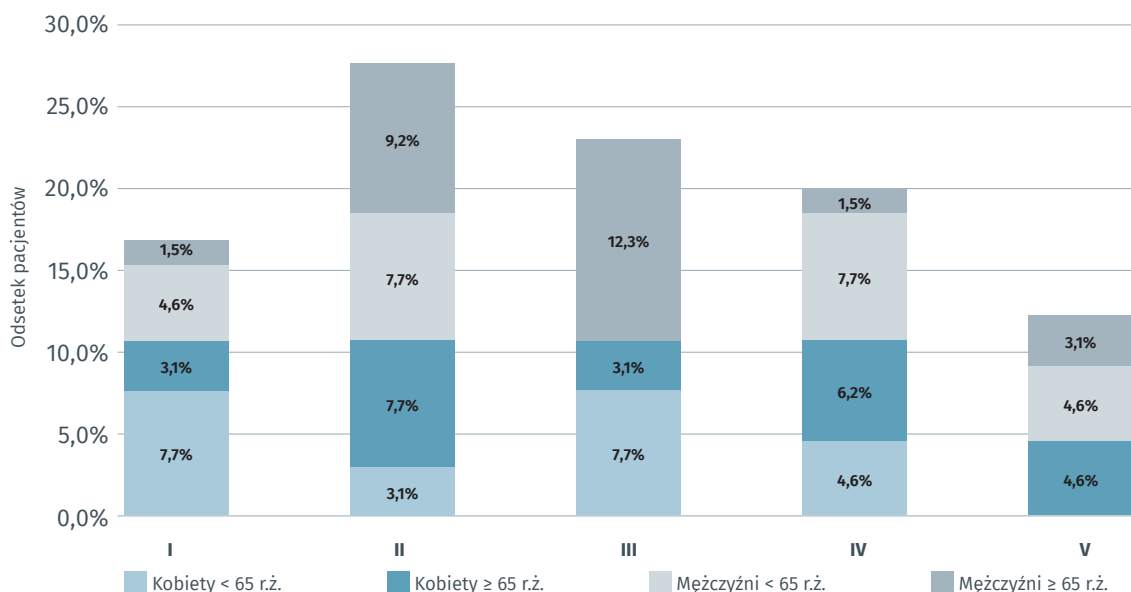
## Pytanie 6. Jak oceniasz używanie pompy w zakresie:

### b. pobierania leku?

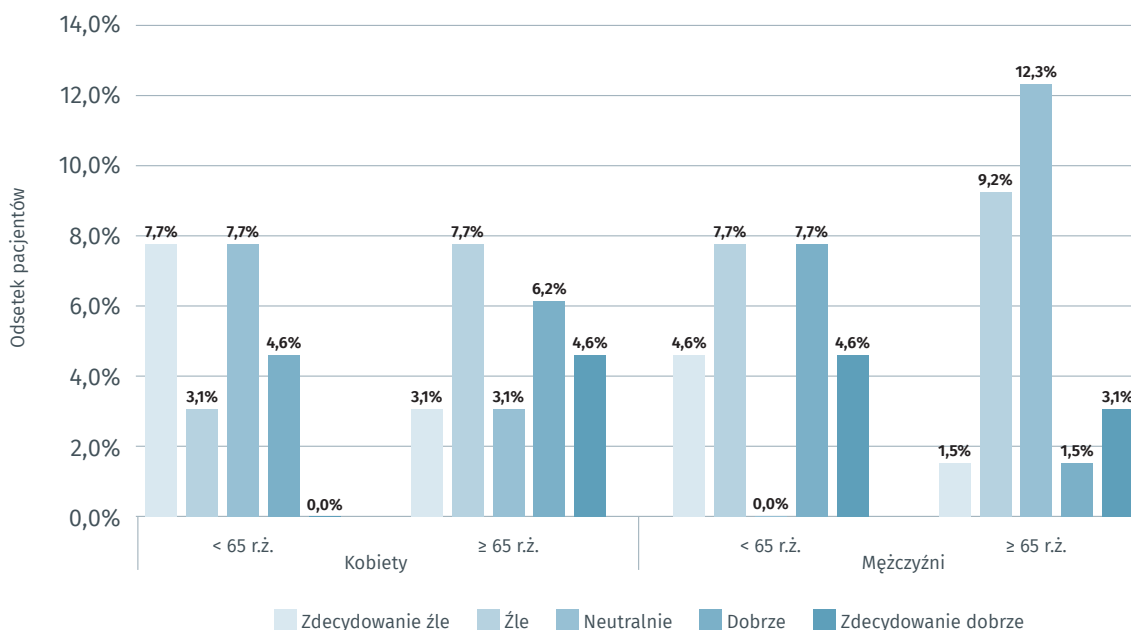
Najliczniejsza grupa ankietowanych (blisko 45%, zarówno kobiet, jak i mężczyzn, bez względu na wiek) oceniła używanie pompy Micrel MP w zakresie pobierania leku negatywnie – źle i zdecydowanie źle. System pobierania leku w pompie Micrel

MP został oceniony dobrze i zdecydowanie dobrze przez blisko 1/3 badanych (ryciny 23a i 23b). Wyniki w pierwotnej 10-stopniowej skali przedstawia rycina 24 i tabela 12.

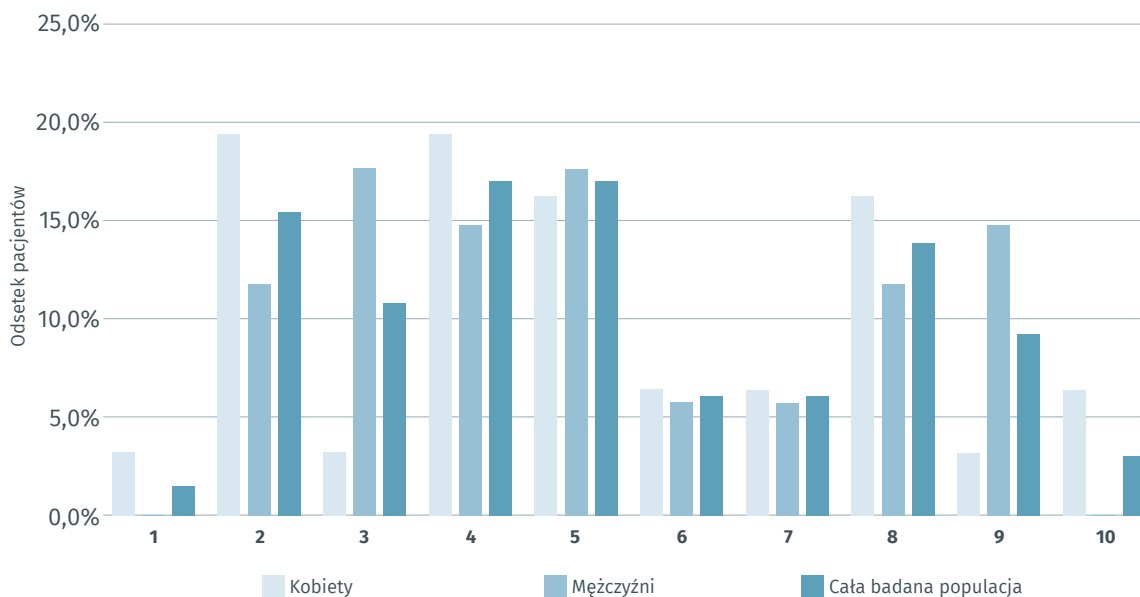
**Rycina 23a.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie pobierania leku?* w 5-stopniowej skali w podziale na płeć i kategorie wiekowe.



**Rycina 23b.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie pobierania leku?* w 5-stopniowej skali w podziale na płeć i kategorie wiekowe.



**Rycina 24.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie pobierania leku?* w 10-stopniowej skali dla całej badanej populacji oraz według płci.



**Tabela 12.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie pobierania leku?* w 10-stopniowej skali dla całej badanej populacji oraz według płci.

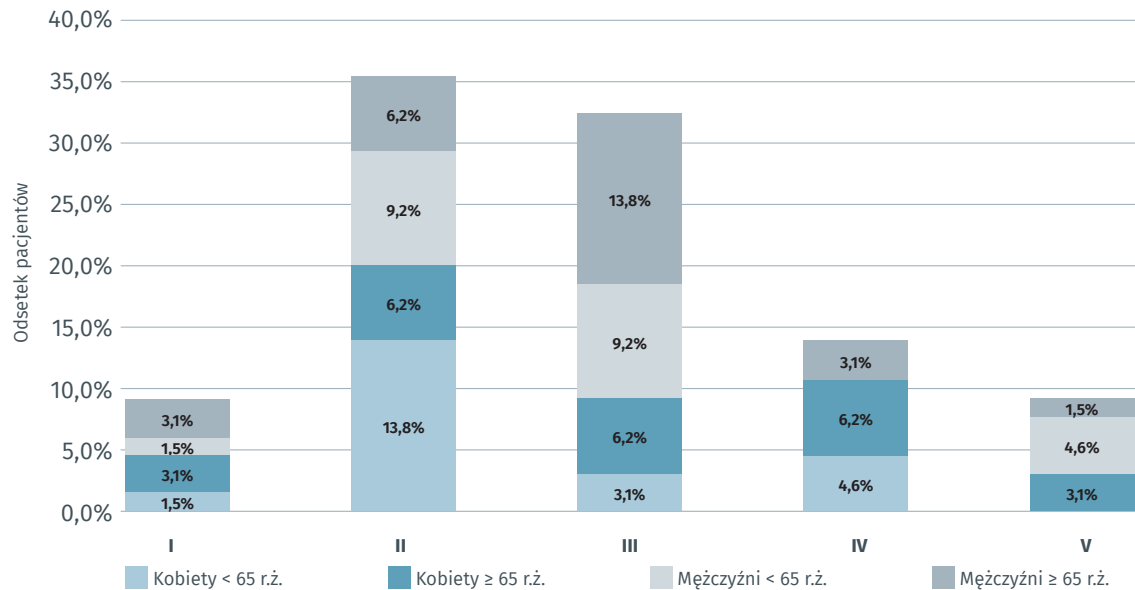
Ocena	Kobiety		Mężczyźni		Cała badana populacja	
	n	%	n	%	n	%
1	1	3,23%		0,00%	1	1,54%
2	6	19,35%	4	11,76%	10	15,38%
3	1	3,23%	6	17,65%	7	10,77%
4	6	19,35%	5	14,71%	11	16,92%
5	5	16,13%	6	17,65%	11	16,92%
6	2	6,45%	2	5,88%	4	6,15%
7	2	6,45%	2	5,88%	4	6,15%
8	5	16,13%	4	11,76%	9	13,85%
9	1	3,23%	5	14,71%	6	9,23%
10	2	6,45%	0	0,00%	2	3,08%
<b>Ogółem</b>	<b>31</b>	<b>100,00%</b>	<b>34</b>	<b>100,00%</b>	<b>65</b>	<b>100,00%</b>

## Pytanie 6. Jak oceniasz używanie pompy w zakresie: c. sposobu podłączenia pompy?

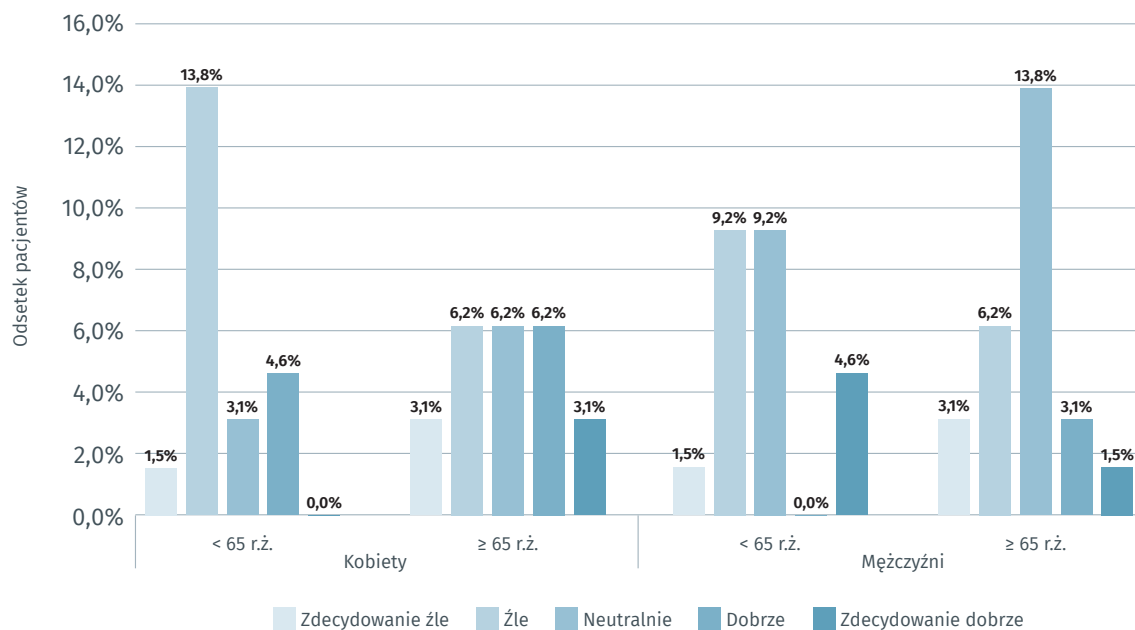
45% ankieterowanych źle i zdecydowanie źle oceniło sposób podłączenia pompy Micrel MP. W grupie tej dominują kobiety (52% kobiet vs 38% mężczyzn). Mężczyźni w większości (44%) ocenili sposób podłączenia pompy neutralnie. Tylko 18% mężczyzn i aż

29% kobiet oceniło sposób użytkowania pompy dobrze i zdecydowanie dobrze (ryciny 25a i 25b). Wyniki w pierwotnej 10-stopniowej skali przedstawia rycina 26 i tabela 13.

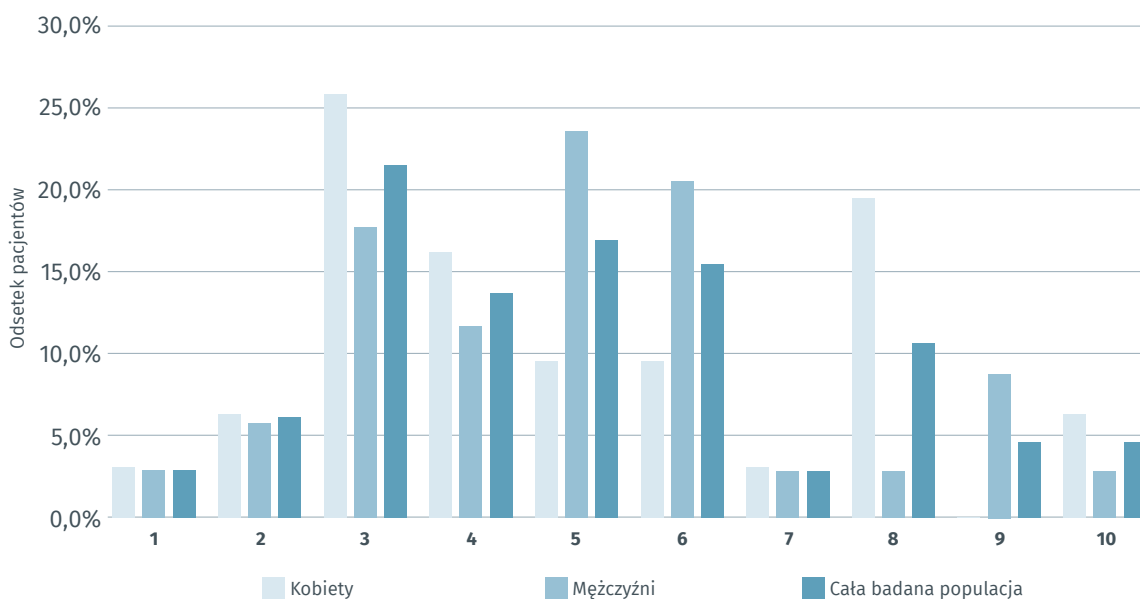
**Rycina 25a.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie sposobu podłączenia pompy?* w 5-stopniowej skali w podziale na płeć i kategorie wiekowe.



**Rycina 25b.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie sposobu podłączenia pompy?* w 5-stopniowej skali w podziale na płeć i kategorie wiekowe.



**Rycina 26.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie sposobu podłączenia pompy?* w 10-stopniowej skali dla całej badanej populacji oraz według płci.



**Tabela 13.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie sposobu podłączenia pompy?* w 10-stopniowej skali dla całej badanej populacji oraz według płci.

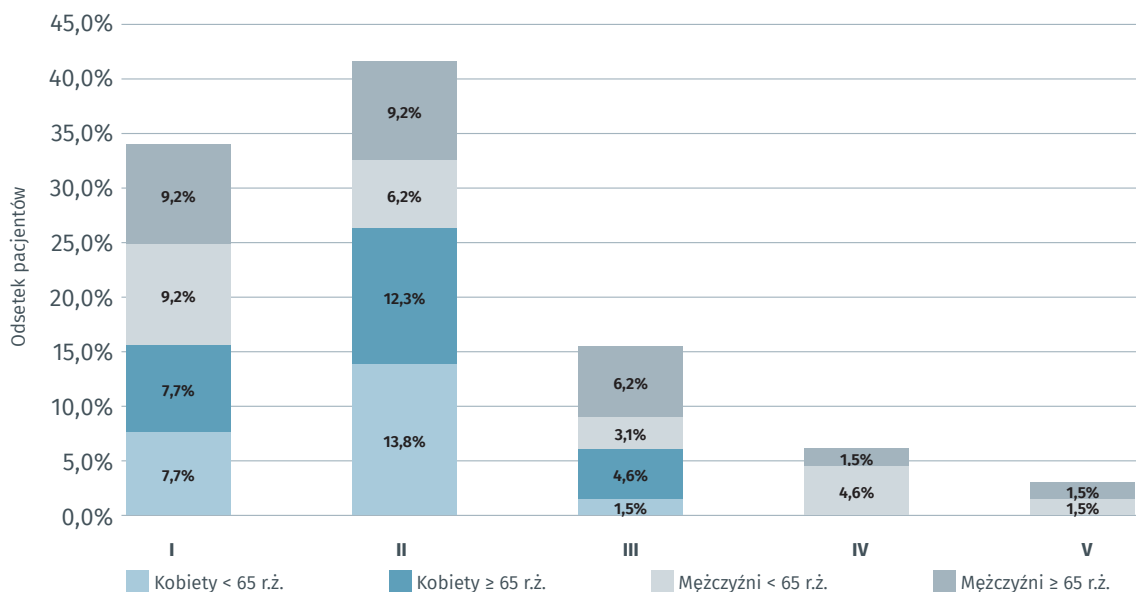
Ocena	Kobiety		Mężczyźni		Cała badana populacja	
	n	%	n	%	n	%
1	1	3,23%	1	2,94%	2	3,08%
2	2	6,45%	2	5,88%	4	6,15%
3	8	25,81%	6	17,65%	14	21,54%
4	5	16,13%	4	11,76%	9	13,85%
5	3	9,68%	8	23,53%	11	16,92%
6	3	9,68%	7	20,59%	10	15,38%
7	1	3,23%	1	2,94%	2	3,08%
8	6	19,35%	1	2,94%	7	10,77%
9	0	0,00%	3	8,82%	3	4,62%
10	2	6,45%	1	2,94%	3	4,62%
<b>Ogółem</b>	<b>31</b>	<b>100,00%</b>	<b>34</b>	<b>100,00%</b>	<b>65</b>	<b>100,00%</b>

**Pytanie 6. Jak oceniasz używanie pompy w zakresie:  
d. wielkości pompy?**

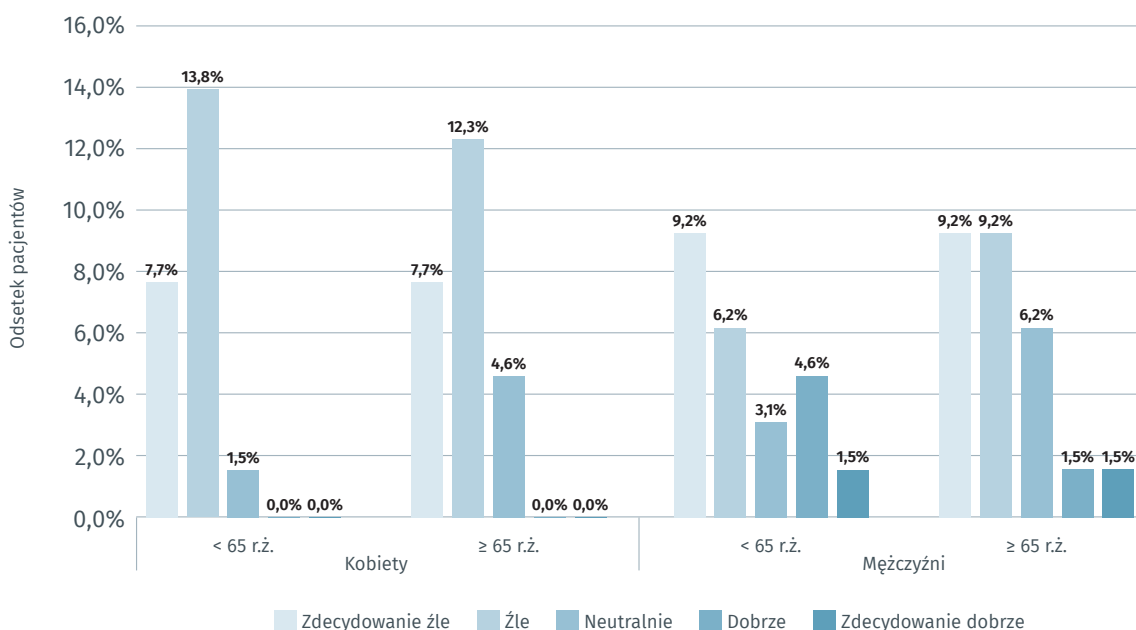
Ponad 3/4 ankieterowanych, w tym aż 87% kobiet i 65% mężczyzn, niezależnie od wieku, oceniło wielkość pompy Micrel MP źle i zdecydowanie źle. Tylko dla 15% badanych ten aspekt użytkowania pompy wydaje się mało istotny (ocena neutralna). 9% ankieterowanych oceniło rozmiar pompy Micrel MP dobrze i zdecydowanie dobrze – grupę tę sta-

nowili jedynie mężczyźni. Żadna z ankieterowanych kobiet nie wskazała oceny dobrej lub zdecydowanie dobrej, a w pierwotnej 10-stopniowej skali na ocenę wyższą niż 5 punktów (ryciny 27a i 27b). Wyniki w pierwotnej 10-stopniowej skali przedstawia rycina 28 i tabela 14.

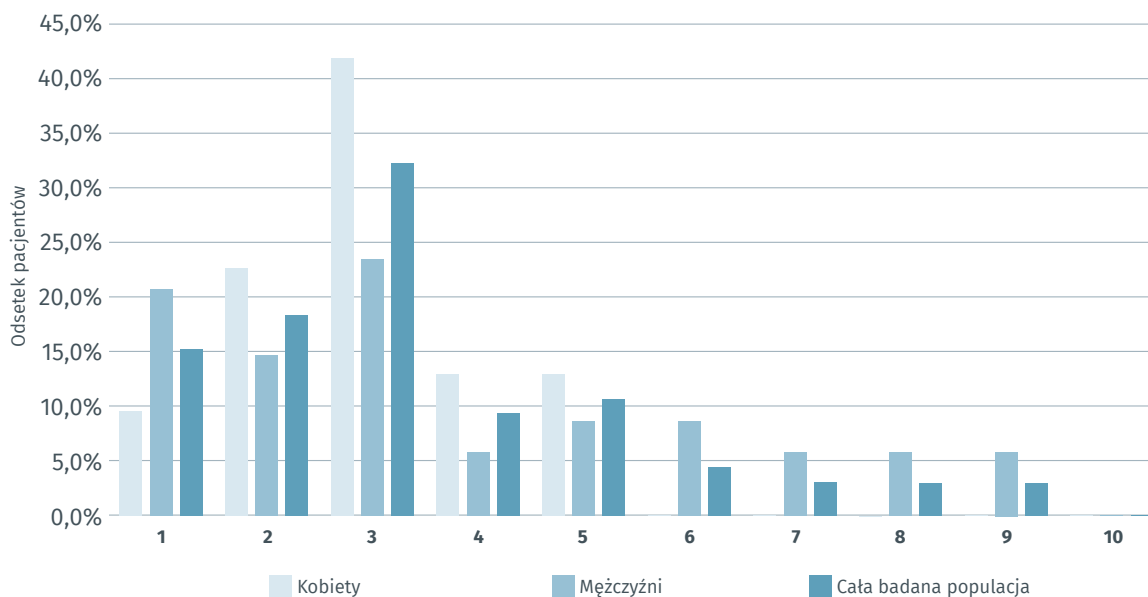
**Rycina 27a.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie wielkości pompy?* w 5-stopniowej skali w podziale na płeć i kategorie wiekowe.



**Rycina 27b.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie wielkości pompy?* w 5-stopniowej skali w podziale na płeć i kategorie wiekowe.



**Rycina 28.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie wielkości pompy?* w 10-stopniowej skali dla całej badanej populacji oraz według płci.



**Tabela 14.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie wielkości pompy?* w 10-stopniowej skali dla całej badanej populacji oraz według płci.

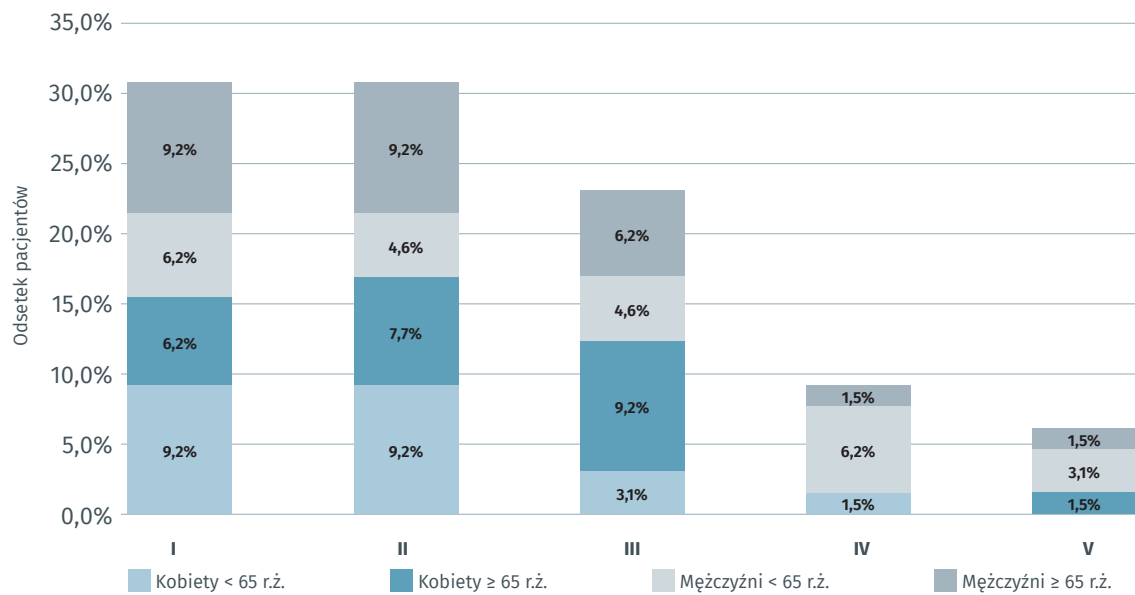
Ocena	Kobiety		Mężczyźni		Cała badana populacja	
	n	%	n	%	n	%
1	3	9,68%	7	20,59%	10	15,38%
2	7	22,58%	5	14,71%	12	18,46%
3	13	41,94%	8	23,53%	21	32,31%
4	4	12,90%	2	5,88%	6	9,23%
5	4	12,90%	3	8,82%	7	10,77%
6	0	0,00%	3	8,82%	3	4,62%
7	0	0,00%	2	5,88%	2	3,08%
8	0	0,00%	2	5,88%	2	3,08%
9	0	0,00%	2	5,88%	2	3,08%
10	0	0,00%	0	0,00%	0	0,00%
<b>Ogółem</b>	<b>31</b>	<b>100,00%</b>	<b>34</b>	<b>100,00%</b>	<b>65</b>	<b>100,00%</b>

## Pytanie 6. Jak oceniasz używanie pompy w zakresie: e. ciężaru pompy?

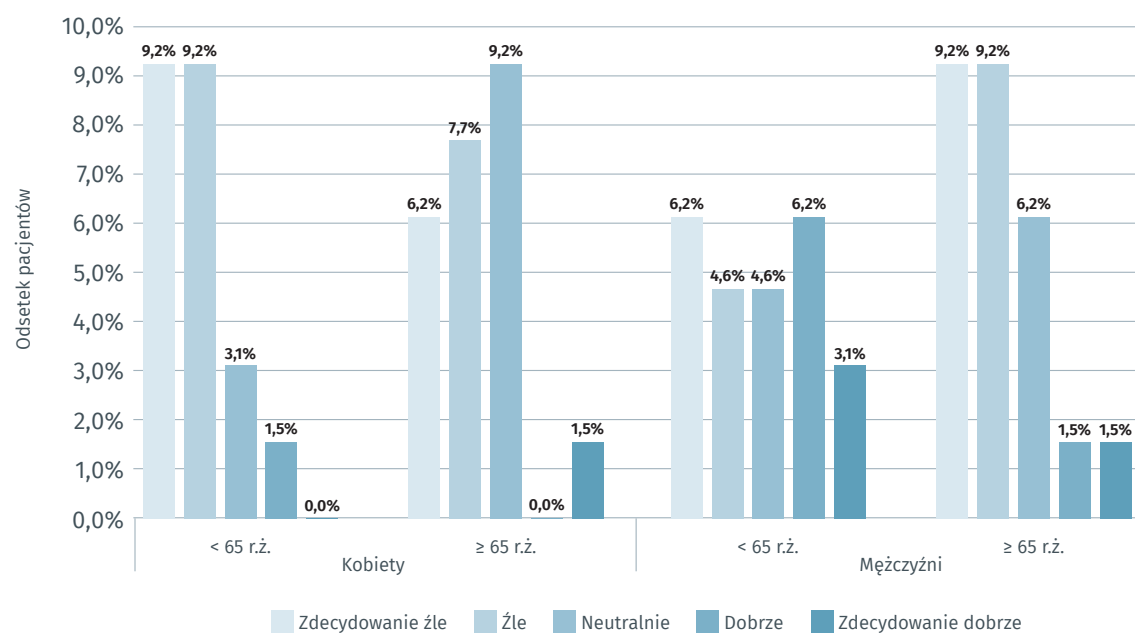
62% ankieterów, w tym 68% kobiet i 56% mężczyzn, oceniło ciężar pompy Micrel MP źle i zdecydowanie źle, co wskazuje, że waga pompy miała dla ankieterów nieco mniejsze znaczenie, niż jej rozmiar. W grupie tej dominują kobiety < 65. roku życia i mężczyźni w wyższej kategorii wiekowej. 23%

badanych oceniło ten parametr neutralnie. 15% ankieterów oceniło ciężar pompy Micrel MP dobrze i zdecydowanie dobrze, przy czym w grupie tej znalazło się jedynie 6% kobiet i aż 24% mężczyzn (ryciny 29a i 29b). Wyniki w pierwotnej 10-stopniowej skali przedstawia rycina 30 i tabela 15.

**Rycina 29a.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie ciężaru pompy?* w 5-stopniowej skali w podziale na płeć i kategorie wiekowe.

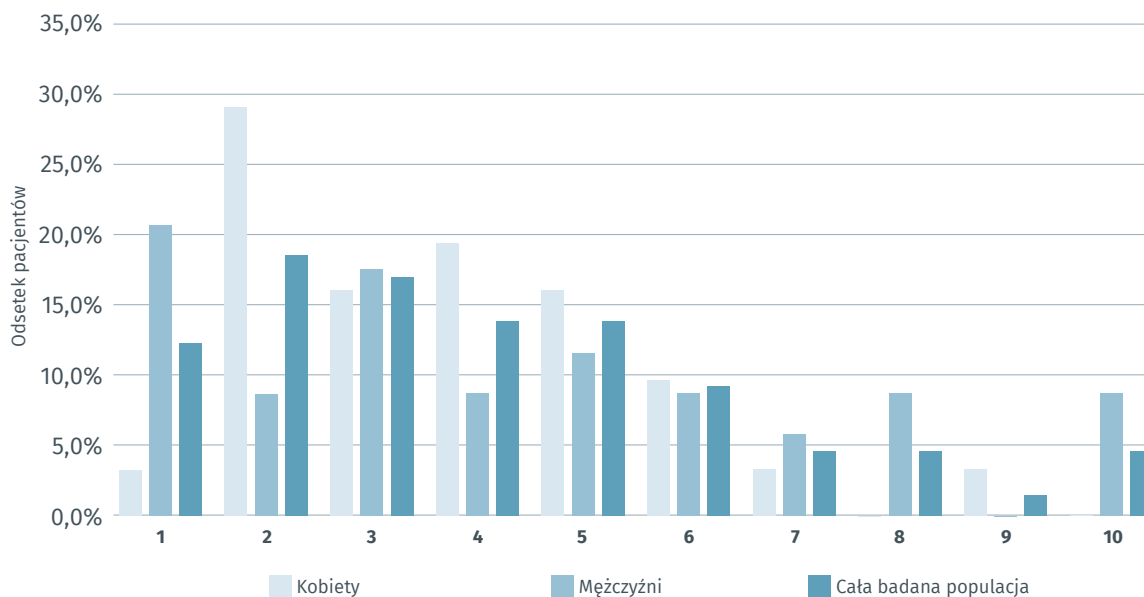


**Rycina 29b.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie: ciężaru pompy?* w 5-stopniowej skali w podziale na płeć i kategorie wiekowe.





**Rycina 30.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie ciężaru pompy?* w 10-stopniowej stopniowej dla całej badanej populacji oraz według płci.



**Tabela 15.** Procentowy rozkład odpowiedzi dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie ciężaru pompy?* w 10-stopniowej skali dla całej badanej populacji oraz według płci.

Ocena	Kobiety		Mężczyźni		Cała badana populacja	
	n	%	n	%	n	%
1	1	3,23%	7	20,59%	8	12,31%
2	9	29,03%	3	8,82%	12	18,46%
3	5	16,13%	6	17,65%	11	16,92%
4	6	19,35%	3	8,82%	9	13,85%
5	5	16,13%	4	11,76%	9	13,85%
6	3	9,68%	3	8,82%	6	9,23%
7	1	3,23%	2	5,88%	3	4,62%
8	0	0,00%	3	8,82%	3	4,62%
9	1	3,23%	0	0,00%	1	1,54%
10	0	0,00%	3	8,82%	3	4,62%
<b>Ogółem</b>	<b>31</b>	<b>100,00%</b>	<b>34</b>	<b>100,00%</b>	<b>65</b>	<b>100,00%</b>

## Pytanie 7. Inne uwagi na temat użytkowania pompy.

Pytanie otwarte uzupełniło 20 ankietowanych. W uwagach pacjenci wymieniali najistotniejsze ich zdaniem niedogodności związane z użytkowaniem pompy Micrel MP. Najczęściej uwagi dotyczyły rozmiaru i ciężaru pompy oraz problemów z codziennym z nią funkcjonowaniem.

Zdaniem ankietowanych:

- pompa nie jest w pełni wodoodporna, co utrudnia wykonywanie codziennych czynności, takich jak kąpiel,
- przy gwałtownych ruchach strzykawka wysuwa się z uchwytu pompy lub igła wysuwa się z miejsca wkłucia, a pompa o tym nie informuje i lek sączy się na zewnątrz,
- użytkowanie pompy jest skomplikowane i wymaga dużej wprawy, często do obsługi pompy konieczna jest pomoc opiekuna,
- rozmiar pompy powoduje problemy z ubiorem,
- rozmiar pompy wpływa na codzienne funkcjonowanie, zwłaszcza w przypadku osób aktywnych fizycznie i zawodowo,
- rozmiar pompy zwraca uwagę otoczenia,
- rozmiar pompy wpływa na jej uszkodzenia mechaniczne podczas codziennego stosowania,
- ciężar pompy powoduje codzienny ból karku,
- czas działania baterii jest krótki.

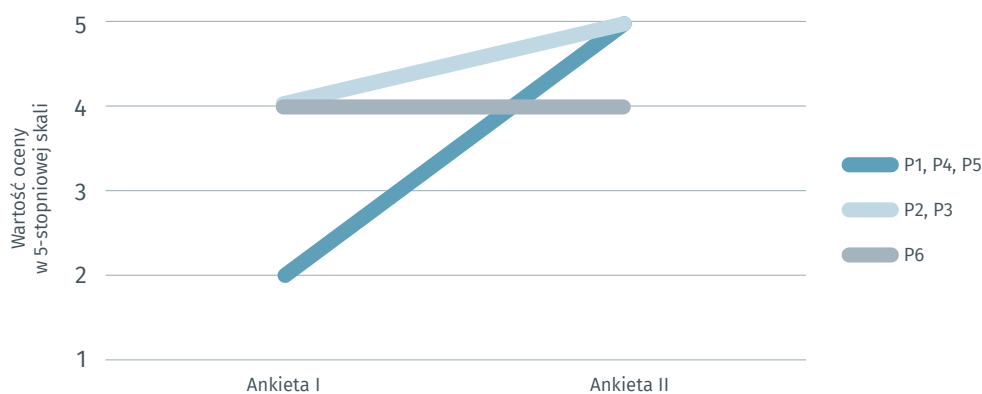
## 5.2.2. Analiza ilościowa wyników części drugiej badania ankietowego

Wyniki porównania wybranych aspektów jakości życia 6 ankietowanych pacjentów z kompleksową chorobą Parkinsona leczonych apomorfiną z użyciem pompy Micrel MP, a następnie pompy D-mine przedstawiono w 5-stopniowej skali na poniższych rycinach (31–40).

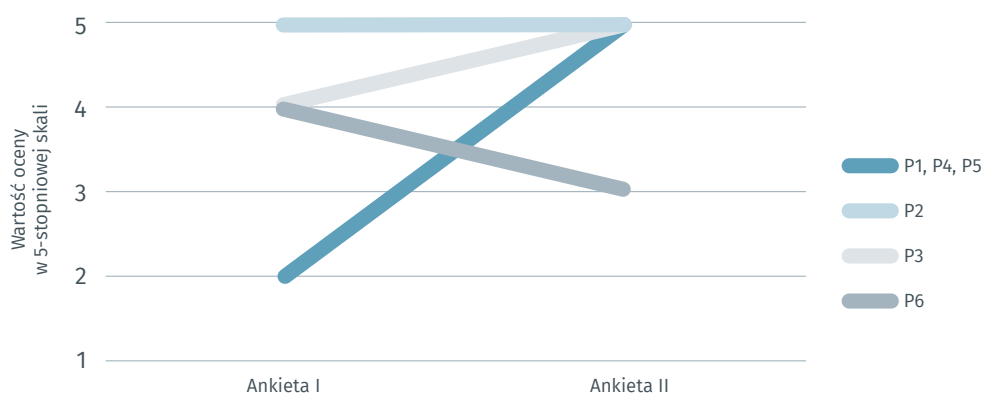
Znacząca większość ankietowanych (5 z 6 pacjentów) oceniła swój aktualny komfort życia oraz swoją samodzielność podczas użytkowania pompy D-mine zdecydowanie dobrze. 4 pacjentów spośród 6 ankietowanych oceniło swoją aktywność fizyczną oraz towarzyską zdecydowanie dobrze. Podobnie został oceniony przez ankietowanych wpływ pompy D-mine na ich samoocenę. Pozostali ankietowani każdy z wyżej wymienionych aspektów jakości życia oce-

nili dobrze. Wyjątek stanowił jeden pacjent, u którego doszło do spadku oceny jakości życia w zakresie samodzielności oraz aktywności towarzyskiej, przy braku poprawy w zakresie pozostałych aspektów, takich jak komfort życia, aktywność fizyczna czy też samoocena. W przypadku tego pacjenta nie można jednak wykluczyć wpływu na jego ocenę świeżo zdiagnozowanej depresji. Użytkowanie pompy D-mine w zakresie obsługi pompy, pobierania leku oraz sposobu podłączania pompy zostało ocenione wyraźnie wyżej, niż w przypadku pompy Micrel MP (odpowiednio 5, 4 oraz 4 pacjentów spośród 6 ankietowanych oceniło je zdecydowanie dobrze). Zdecydowanie dobrze większość pacjentów (5 z 6 ankietowanych) oceniła także rozmiar oraz wagę pompy D-mine.

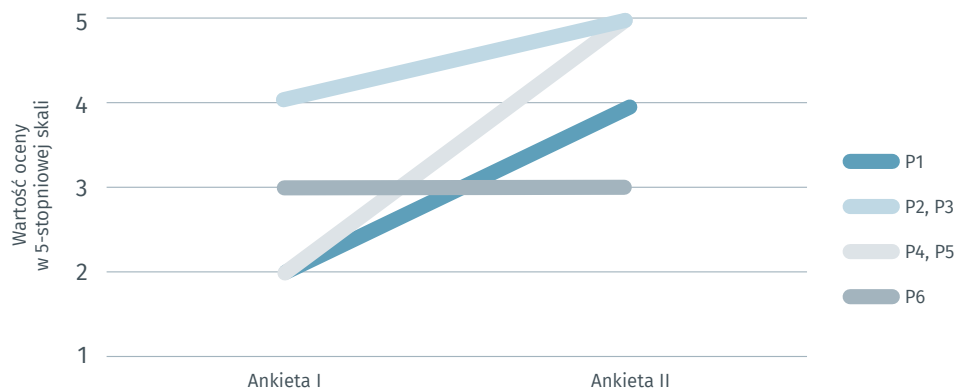
**Rycina 31.** Porównanie odpowiedzi udzielonych przez 6 ankietowanych pacjentów dla pytania *Jak oceniasz swój aktualny komfort życia związany z użytkowaniem pompy?* podczas użytkowania pompy Micrel MP oraz pompy D-mine.



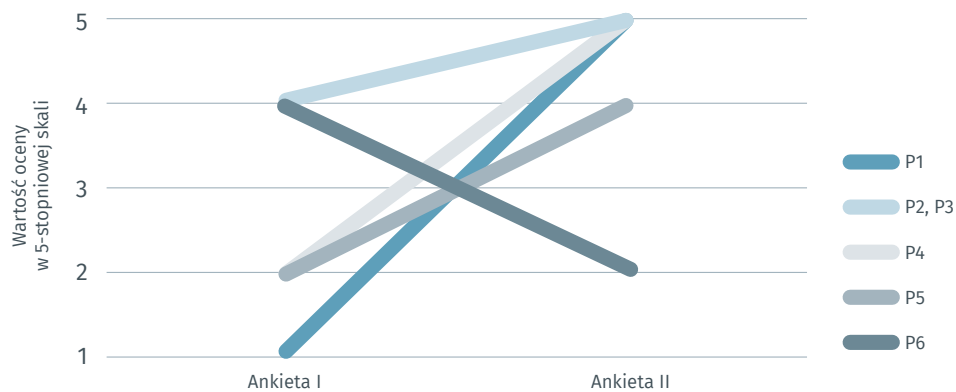
**Rycina 32.** Porównanie odpowiedzi udzielonych przez 6 ankietowanych pacjentów dla pytania *Jak oceniasz swoją aktualną samodzielność związaną z użytkowaniem pompy (samodzielne ubieranie się, poruszanie się itp.)?* podczas użytkowania pompy Micrel MP oraz pompy D-mine.



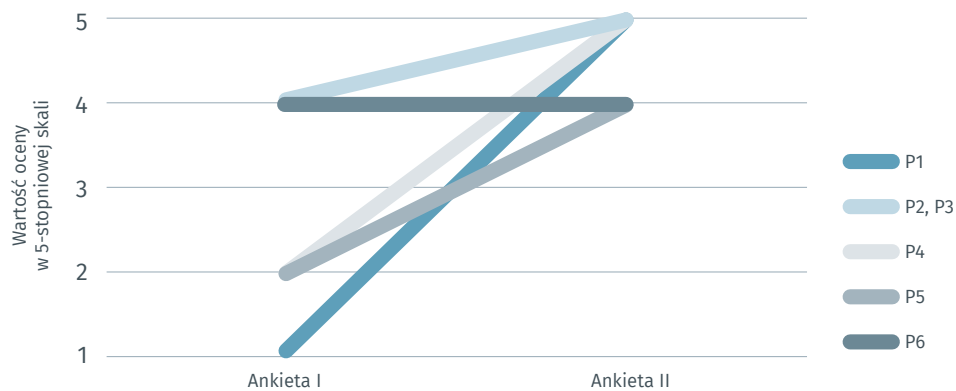
**Rycina 33.** Porównanie odpowiedzi udzielonych przez 6 ankietowanych pacjentów dla pytania *Jak oceniasz swoją aktywność fizyczną podczas użytkowania pompy (spacery, ćwiczenia fizyczne, taniec itp.)?* podczas użytkowania pompy Micrel MP oraz pompy D-mine.



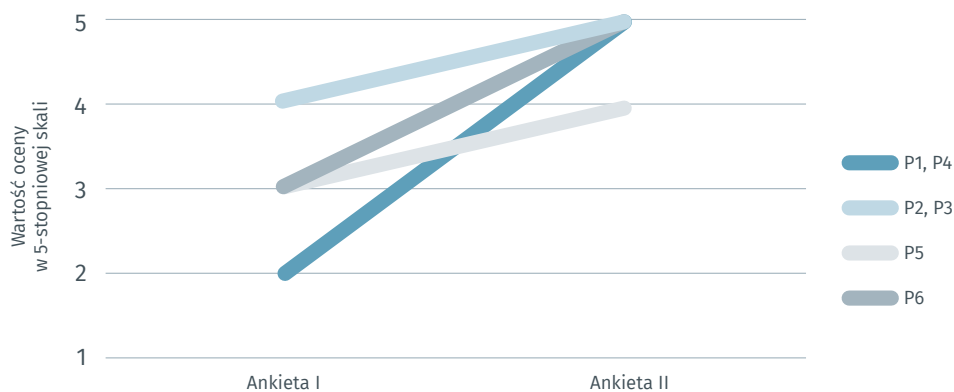
**Rycina 34.** Porównanie odpowiedzi udzielonych przez 6 ankietowanych pacjentów dla pytania *Jak oceniasz swoją aktywność towarzyską podczas użytkowania pompy (spotkania towarzyskie, rodzinne, wyjścia do kina itp.)?* podczas użytkowania pompy Micrel MP oraz pompy D-mine.



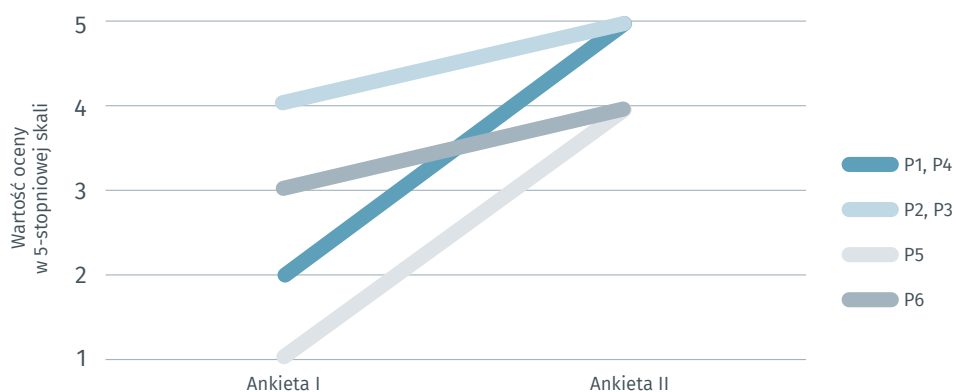
**Rycina 35.** Porównanie odpowiedzi udzielonych przez 6 ankietowanych pacjentów dla pytania *Jak pompa wpływa na Twoją samoocenę?* podczas użytkowania pompy Micrel MP oraz pompy D-mine.



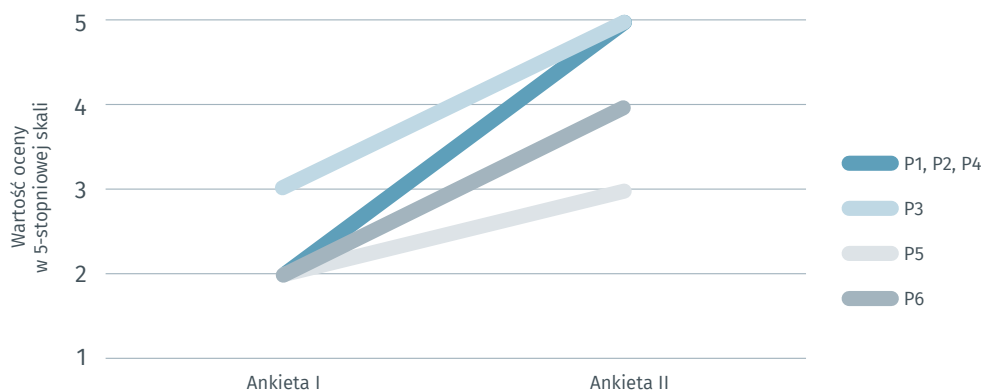
**Rycina 36.** Porównanie odpowiedzi udzielonych przez 6 ankietowanych pacjentów dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie obsługi pompy?* podczas użytkowania pompy Micrel MP oraz pompy D-mine.



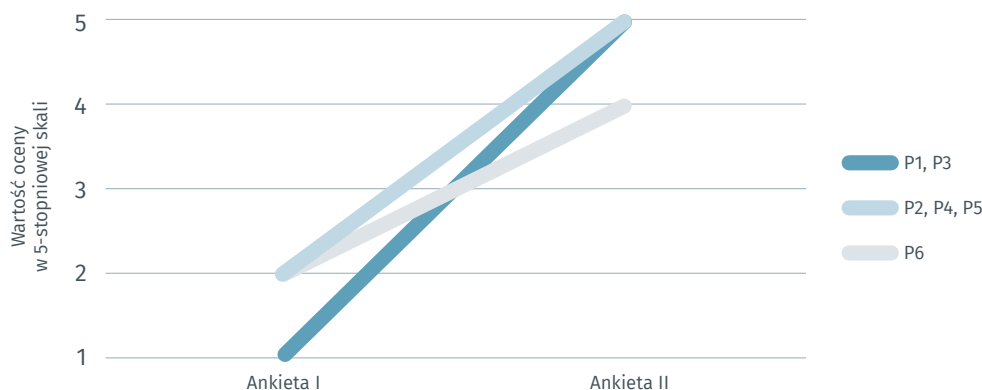
**Rycina 37.** Porównanie odpowiedzi udzielonych przez 6 ankietowanych pacjentów dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie pobierania leku?* podczas użytkowania pompy Micrel MP oraz pompy D-mine.



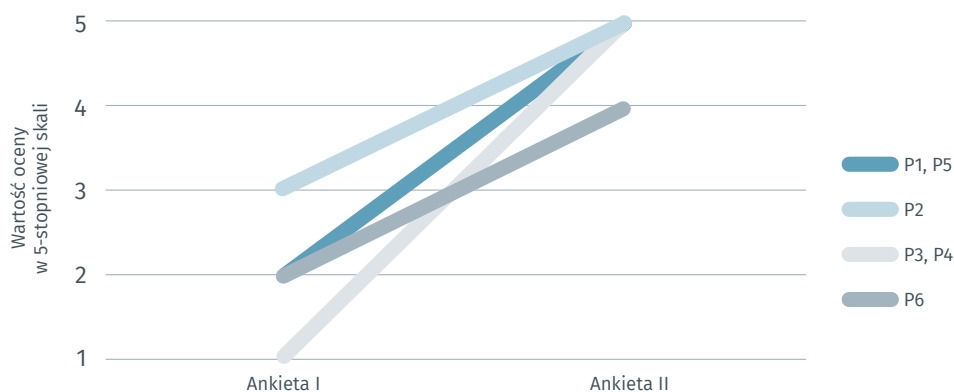
**Rycina 38.** Porównanie odpowiedzi udzielonych przez 6 ankietowanych pacjentów dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie sposobu podłączenia pompy?* podczas użytkowania pompy Micrel MP oraz pompy D-mine.



**Rycina 39.** Porównanie odpowiedzi udzielonych przez 6 ankietowanych pacjentów dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie wielkości pompy?* podczas użytkowania pompy Micrel MP oraz pompy D-mine.



**Rycina 40.** Porównanie odpowiedzi udzielonych przez 6 ankietowanych pacjentów dla pytania *Jak oceniasz używanie pompy w zakresie ciężaru pompy?* podczas użytkowania pompy Micrel MP oraz pompy D-mine.



Kwestionariusz ankiety w drugiej części badania zawierał dodatkowo pytania dotyczące wyglądu pompy (umożliwiającego dyskretne użytkowanie) oraz jej stabilności (po zamontowaniu wszystkich elementów). Obydwa te parametry zostały ocenione przez ankietowanych zdecydowanie dobrze (5 pacjentów) oraz dobrze (1 pacjent).

Pytanie otwarte w drugiej części badania uzupełniła połowa ankietowanych. Uwagi dotyczyły wagi pompy – zdaniem jednego z pacjentów pompa D-mine mogłaby być jeszcze lżejsza. Jeden z ankietowanych docenił pompę D-mine za jej wygodę oraz dyskrecję (możliwość schowania do kieszeni).

## 5.3. Podsumowanie

Badanie ankietowe *Jakość życia pacjentów z zaawansowaną chorobą Parkinsona w trakcie leczenia z użyciem terapii infuzyjnych* było pierwszą próbą oceny wybranych aspektów jakości życia pacjentów z zaawansowaną PD leczonych za pomocą ciągłych wlewów apomorfiny w ramach programu lekowego *Leczenie zaburzeń motorycznych w przebiegu zaawansowanej choroby Parkinsona* z wykorzystaniem uniwersalnej pompy Micrel MP oraz przeznaczonej dla pacjentów z chorobą Parkinsona pompy D-mine.

Badanie zostało podzielone na dwie części. W pierwszej z nich 65 pacjentów (31 kobiet i 34 mężczyzn w wieku od 38 do 82 lat) oceniło użyt-

kowanie pompy Micrel MP, a także jej wpływ na wybrane aspekty jakości ich życia. Średni czas leczenia ankietowanych pacjentów przy użyciu pompy Micrel MP wynosił 24 miesiące. W drugiej części badania wzięło udział 6 pacjentów (3 kobiety i 3 mężczyzn w wieku od 47 do 67 lat), u których zamieniono pompę Micrel MP na D-mine.

Uczestników badania wybrano z grupy pacjentów leczonych w 6 wybranych ośrodkach w Polsce realizujących program lekowy B.90. Kwalifikacji dokonywali lekarze prowadzący. Badanie było realizowane w okresie od marca do kwietnia 2023 r. (część pierwsza) oraz od października 2023 r. do lutego 2024 r. (część druga).

### 5.3.1. Podsumowanie wyników części pierwszej badania

#### Komfort życia

Odsetek ankietowanych oceniających swój aktualny komfort życia podczas użytkowania pompy Micrel MP źle (zdecydowanie źle i źle) wyniósł 26% i był nieznacznie niższy od odsetka oceniających komfort życia dobrze (dobrze i zdecydowanie dobrze – 32%).

Kobiety nieco niżej oceniły swój aktualny komfort życia związany z użytkowaniem pompy Micrel MP. 29% kobiet i 35% mężczyzn oceniło swój aktualny komfort życia dobrze i zdecydowanie dobrze. W przypadku kobiet  $\geq 65$ . roku życia odsetek oceniających swój komfort życia źle (łącznie 9,3%) był wyraźnie wyższy w porównaniu z niższą kategorią wiekową (3,1%), czego nie zaobserwowano u mężczyzn.

#### Samodzielność

29% ankietowanych oceniło swoją aktualną samodzielność związaną z użytkowaniem pompy Micrel MP źle. 43% badanych, w tym 50% mężczyzn i 35% kobiet, oceniło swoją aktualną samodzielność dobrze i zdecydowanie dobrze. Odsetek oceniających samodzielność źle był wyższy u pacjentów  $\geq 65$ . roku życia bez względu na płeć.

#### Aktywność fizyczna

37% ankietowanych oceniło swoją aktywność fizyczną podczas użytkowania pompy Micrel MP dobrze i zdecydowanie dobrze. W grupie tej dominują mężczyźni (47% mężczyzn vs 26% kobiet). Zaledwie 5% badanych oceniło swoją aktywność fizyczną zdecydowanie źle. Najwyżej ten parametr podczas użytkowania pompy Micrel MP ocenili mężczyźni  $< 65$ . roku życia.

#### Aktywność towarzyska

35% ankietowanych oceniło swoją aktywność towarzyską podczas użytkowania pompy Micrel MP dobrze i zdecydowanie dobrze. Taki sam odsetek ankietowanych ocenił swoją aktywność towarzyską źle i zdecydowanie źle. W grupie tej dominowały kobiety (42% kobiet vs 29% mężczyzn). Odsetek ocen dobrych jest zbliżony w obu kategoriach wiekowych dla obu płci, natomiast ocen złych u mężczyzn  $\geq 65$ . roku życia jest o ok. 50% więcej w porównaniu do niższej kategorii wiekowej.

#### Samooceana

Negatywny wpływ pompy Micrel MP na własną samoocenę (odpowiedzi w przedziałach źle i zdecydowanie źle) wskazała blisko 1/3 ankietowanych (42% kobiet i 21% mężczyzn). Niespełna 11% ankietowanych, w tym 15% mężczyzn, wpływ pompy na swoją samocenę oceniło zdecydowanie dobrze. W obu kategoriach wiekowych odsetek złej samooceny jest wyższy u kobiet, a w przypadku ocen dobrych różnica na korzyść mężczyzn ujawniła się u pacjentów  $\geq 65$ . roku życia.

#### Użytkowanie pompy Micrel MP

Blisko połowa ankietowanych oceniła obsługę pompy Micrel MP dobrze i zdecydowanie dobrze. Ponad 29% badanych znalazło się na przeciwległym biegunie, oceniając obsługę pompy Micrel MP źle i zdecydowanie źle. Wśród badanych najniżej oceniających obsługę pompy dominują kobiety  $< 65$ . roku życia.

Najlichniesza grupa ankietowanych (blisko 45%, zarówno kobiet, jak i mężczyzn, bez względu na wiek) oceniła używanie pompy Micrel MP w zakresie

pobierania leku negatywnie – źle i zdecydowanie źle. System pobierania leku w pompie Micrel MP został oceniony dobrze i zdecydowanie dobrze przez blisko 1/3 badanych.

45% ankietowanych źle i zdecydowanie źle oceniło sposób podłączania pompy Micrel MP. W grupie tej dominują kobiety (52% kobiet vs 38% mężczyzn). Tylko 18% mężczyzn i aż 29% kobiet oceniło sposób użytkowania pompy dobrze i zdecydowanie dobrze.

Ponad 3/4 ankietowanych, w tym aż 87% kobiet i 65% mężczyzn, niezależnie od wieku, oceniło rozmiar pompy Micrel MP źle i zdecydowanie źle. Zaledwie 9% ankietowanych oceniło ten parametr urządzenia dobrze i zdecydowanie dobrze – grupę tę stanowili jedynie mężczyźni.

62% ankietowanych, w tym 68% kobiet i 56% mężczyzn, oceniło wagę pompy Micrel MP źle i zdecydowanie źle, co wskazuje, że ciężar pompy miał dla ankietowanych nieco mniejsze znaczenie, niż jej rozmiar. W grupie tej dominują kobiety < 65. roku życia i mężczyźni w wyższej kategorii wiekowej. 15% ankietowanych oceniło ciężar pompy Micrel MP dobrze i zdecydowanie dobrze, przy czym w grupie tej znalazło się jedynie 6% kobiet i aż 24% mężczyzn.

Pytanie otwarte w pierwszej części badania uzupełniło 20 ankietowanych. W uwagach pacjenci wymieniali najistotniejsze ich zdaniem niedogodności związane z użytkowaniem pompy. Najczęściej uwagi dotyczyły rozmiaru i ciężaru pompy, które wpływają negatywnie na codzienne funkcjonowanie chorych, w tym aktywność fizyczną i zawodową.

### 5.3.1. Podsumowanie wyników części drugiej badania

5 spośród 6 ankietowanych oceniło swój aktualny komfort życia oraz swoją aktualną samodzielność podczas użytkowania pompy D-mine zdecydowanie dobrze. 4 z 6 pacjentów oceniło swoją aktywność fizyczną oraz towarzyską zdecydowanie dobrze. Podobnie został oceniony przez ankietowanych wpływ pompy D-mine na ich samoocenę. Pozostali ankietowani każdy z wyżej wymienionych aspektów jakości życia ocenili dobrze. Użytkowanie pompy D-mine w zakresie obsługi pompy, pobierania leku oraz sposobu podłączania pompy zostało ocenione wyraźnie wyżej, niż w przypadku pompy Micrel MP (odpowiednio 5, 4 oraz 4 pacjentów spośród 6 ankietowanych oceniło je zdecydowanie dobrze).

Zdecydowanie dobrze większość pacjentów (5 z 6 ankietowanych) oceniła również rozmiar oraz wagę pompy D-mine, a także jej wygląd i stabilność po zamontowaniu wszystkich elementów (zdecydowanie dobrze – 5 pacjentów oraz dobrze – 1 pacjent).

Uwagi ankietowanych w drugiej części badania dotyczyły po raz kolejny wagi pompy – zdaniem jednego z pacjentów pompa D-mine mogłaby być jeszcze lżejsza, oraz konieczności posiadania baterii zapasowej podczas podróży. W jednej z ankiet w uwagach pojawiła się pochwała pompy D-mine za jej wygodę oraz dyskrecję.







# 6.

## Kluczowe wnioski

Terapie infuzyjne w leczeniu kompleksowej choroby Parkinsona przeznaczone są dla pacjentów, u których na skutek postępu choroby (nasilenia się objawów ruchowych, pojawienia się fluktuacji ruchowych, dyskinez oraz licznych objawów pozaruchowych, takich jak depresja, zaburzenia pamięci czy zaburzenia snu) stosowane dotychczas optymalne leczenie doustne staje się nieskuteczne lub wywołuje działania niepożądane. Dzięki ciągłemu podawaniu leków za pomocą pompy, terapie te prowadzą do zmniejszenia nasilenia fluktuacji ruchowych, jak również do poprawy w zakresie objawów pozaruchowych.

Skuteczne leczenie farmakologiczne w kompleksowej PD nie tylko wydłuża przeżycie chorych, ale także poprawia ich jakość życia. Jest niezmiernie ważne w długoletniej walce z chorobą, zwłaszcza dla osób, które z zaawansowanym stadiem choroby zmagają się już w piątej czy nawet w czwartej dekadzie życia i pomimo to chcą pozostać aktywne zarówno fizycznie, jak i zawodowo.

Badanie ankietowe *Jakość życia pacjentów z zaawansowaną chorobą Parkinsona w trakcie leczenia z użyciem terapii infuzyjnych*, które było pierwszą próbą oceny wybranych aspektów jakości życia pacjentów z kompleksową PD leczonych za pomocą ciągłych wlewów apomorfiny w ramach programu lekowego *Leczenie zaburzeń motorycznych w przebiegu zaawansowanej choroby Parkinsona*, pokazało wyraźnie, że rodzaj wykorzystywanej do infuzji pompy może wpłynąć na jakość życia chorych.

Użytkowanie pompy Micrel MP w przypadku ponad 1/4 ankietowanych negatywnie wpłynęło na ich samodzielność oraz komfort życia. Negatywny

wpływ pompy Micrel MP na własną samoocenę oraz aktywność towarzyską wskazała 1/3 ankietowanych. Blisko połowa z nich źle oceniła zarówno sposób podłączania pompy Micrel MP, jaki i metodę pobierania leku. Ponad 2/3 ankietowanych źle oceniło wagę pompy Micrel MP, a 3/4 jej rozmiar, a więc parametry, które mają ogromny wpływ na codzienne funkcjonowanie pacjentów, w tym ich aktywność fizyczną i zawodową.

Zamiana pompy Micrel MP na przeznaczoną dla pacjentów z chorobą Parkinsona pompę D-mine spowodowała wzrost jakości życia większości ankietowanych. Użytkowanie pompy D-mine wpłynęło pozytywnie na wszystkie badane kwestionariuszem aspekty życia, począwszy od komfortu życia, przez samodzielność, aktywność fizyczną i towarzyską, a skończywszy na samoocenie badanych. Ankietowani docenili jej innowacyjność – EVER Pharma D-mine® Pump daje możliwość personalizacji terapii poprzez dostępność ustawienia 5 wielkości dawek, łatwość i intuicyjność obsługi, wagę oraz rozmiar, które gwarantują dyskrecję użytkowania.

Mając na uwadze wyniki przedmiotowego badania ankietowego, które z perspektywy pacjenta ocenia wpływ sposobu podania terapii infuzyjnej na jakość życia, należy mieć nadzieję, że pompa D-mine, śladem innych systemów opieki zdrowotnej w Europie (we Francji, Niemczech, Szwajcarii, Wielkiej Brytanii, Włoszech), będzie dostępna dla polskich pacjentów w ramach programu lekowego *Leczenie zaburzeń motorycznych w przebiegu zaawansowanej choroby Parkinsona*.



# 7.

## Piśmiennictwo

Bogucki A., Budrewicz S., Gajos A., Kozirowski D., Rudzińska-Bar M., Sławek J., *Leczenie zaawansowanej choroby Parkinsona – rekomendacje Polskiego Towarzystwa Choroby Parkinsona i Innych Zaburzeń Ruchowych*, Pol. Przegl. Neurol 2022;18(2):61–84. DOI: 10.5603/PPN.2022.0017.

Bogucki A., Sławek J., Boczarska-Jedynak M., Gajos A., Opala G., Rudzińska M., Szczudlik A., *Leczenie zaawansowanej choroby Parkinsona – rekomendacje Polskiego Towarzystwa Choroby Parkinsona i Innych Zaburzeń Ruchowych*, Pol. Przegl. Neurol 2014; 10: 15–22.

Gałązka-Sobotka M. et al., *Model kompleksowej i koordynowanej opieki nad pacjentem z chorobą Parkinsona jako nośniki wartości zdrowotnej*, Uczelnia Łazarskiego, Warszawa 2018.

Kacperczyk E., Ciesielska K., Hernik G., Matysek-Zdun U., *Powierzchnia i ludność w przekroju terytorialnym w 2023 r.*, Główny Urząd statystyczny, Warszawa 2023.

Narodowy Fundusz Zdrowia, Informator o umowach, <https://www.nfz.gov.pl/o-nfz/informator-o-zawartych-umowach/>, dostęp: 29.12.2023.

Narodowy Fundusz Zdrowia. Statystyki. Programy Lekowe, <https://statystyki.nfz.gov.pl/DrugPrograms>, dostęp: 29.12.2023.

National Institute for Health and Care Excellence, *Foslevodopa–foscarbidopa for treating advanced Parkinson’s with motor symptoms. Technology appraisal guidance*, 29.11.2023, <https://www.nice.org.uk/guidance/ta934>, dostęp: 29.12.2023.

Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 20 lutego 2023 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 marca 2023 r.

Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 20 października 2023 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 listopada 2023 r.

Sławek J., *Zaawansowana choroba Parkinsona – jak poprawić jej rozpoznawalność i właściwie kwalifikować chorych do terapii zaawansowanych?*, Pol. Przegl. Neurol 2020; 16 (3): 161–171.

Uchwała Nr 24/2023/IV Rady Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 4 października 2023 r. w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za II kwartał 2023 r.

Uchwała Nr 16/2023/IV Rady Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 26 czerwca 2023 r. w sprawie przyjęcia rocznego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za 2022 r.

Uchwała Nr 11/2022/IV Rady Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 29 czerwca 2022 r. w sprawie przyjęcia rocznego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za 2021 r.

Uchwała Nr 12/2021/IV Rady Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 23 czerwca 2021 r. w sprawie przyjęcia rocznego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za 2020 r.

Uchwała Nr 4/2020/IV Rady Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 27 sierpnia 2020 r. w sprawie przyjęcia rocznego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za 2019 r.

Uchwała Nr 12/2019/III Rady Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 26 czerwca 2019 r. w sprawie przyjęcia rocznego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za 2018 r.

Uchwała Nr 15/2018/III Rady Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 27 czerwca 2018 r. w sprawie przyjęcia rocznego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za 2017 r.

Zarządzenie Nr 71/2022/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 1 czerwca 2022 r. zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy lekowe.

# Załącznik 1

## **Porównanie pompy D-mine z pompą Micrel MP**

EVER Pharma D-mine® Pump to przenośna pompa infuzyjna do podawania infuzji podskórnej w warunkach ambulatoryjnych. Pompa nie jest przeznaczona do podawania infuzji dożylniej, dotętniczej, dootrzewnowej, zewnątrzoponowej lub dooponowej.

EVER Pharma D-mine® Pump jest przeznaczona do podawania infuzji apomorfiny o stężeniu 5 mg/ml, która jest dostępna jako produkt leczniczy firmy EVER Neuro Pharma GmbH w fiolce o pojemności 20 ml.

EVER Pharma D-mine® Pump jest przeznaczona dla pacjentów z chorobą Parkinsona, do używania przez osoby dorosłe samodzielnie lub przy pomocy opiekunów i pracowników służby zdrowia.

Poniżej przedstawiono kluczowe cechy EVER Pharma D-mine® Pump w podziale na 5 podstawowych kategorii.

### **1. Innowacyjność:**

- przeznaczona dla wybranej grupy chorych,
- wolumetryczna,
- daje możliwość zaprogramowania 5 podstawowych dawek leku w ciągu dnia,
- daje możliwość przenoszenia danych,
- posiada kolorowy wyświetlacz.

### **2. Obsługa:**

- oferuje automatyczne napełnianie,
- posiada dotykowy przycisk bolusa,
- daje możliwość precyzyjnego dawkowania w mg,
- posiada stację dokującą (automatyczne ładowanie),
- niewielka.

### **3. Bezpieczeństwo pacjenta:**

- brak konieczności przeliczania dawki,
- sterylne napełnianie,
- potwierdzona stabilność leku do 7 dni,
- daje możliwość kontroli napełniania zbiornika (wizualnej i elektronicznej)
- posiada 3 poziomy ostrzeżeń.



### **4. Mniejsze potrzeby szkoleniowe:**

- brak konieczności przeliczania dawki i wylizania przepływu,
- intuicyjne ustawienia,
- menu w języku polskim.

### **5. Dokładność i kompatybilność:**

- system zintegrowany,
- działa ze wszystkimi rodzajami cewników,
- precyzja ustawień i dawkowania.

**Tabela 16.** Porównanie obu pomp (EVER Pharma D-mine® vs Micrel MP)

D-mine® Pump 		Micrel MP Pump
<b>Poprawa obsługi</b>	Automatyczne napełnianie dawki Ustawienia dawki w mg Obsługa w języku polskim	Ręczne napełnianie strzykawki Konieczność przeliczania przepływu Komunikaty/skróty na małym ekranie
<b>Większe bezpieczeństwo</b>	Automatyczne wyliczanie przepływu 7-dniowa stabilność produktu Pojedynczy przycisk bolusa	Konieczność wyliczenia przepływu Ręczne napełnianie strzykawki Sterylność/stabilność produktu do 24 godzin
<b>Udoskonalona technologia</b> 	Kolorowy, czytelny wyświetlacz Stacja dokująca Dwie baterie do ładowania Dostępność historii	Mały ekran z komunikatami w postaci skrótów Baterie jednorazowe Brak historii
<b>Zapewniająca dyskrecję</b>	Kompaktowa, zapewniająca dyskrecję Zintegrowany system zmniejszający stygmatyzację	Większa i mniej poręczna Wymaga użycia strzykawki



## Załącznik 2

### **Kwestionariusz oceny wybranych aspektów jakości życia u pacjentów stosujących terapię infuzyjną apomorfiną z użyciem pompy Micrel MP.**

1. Jak oceniasz swój aktualny komfort życia związany z użytkowaniem pompy?
2. Jak oceniasz swoją samodzielność związaną z użytkowaniem pompy (ubieranie się, poruszanie się itp.)?
3. Jak oceniasz swoją aktywność fizyczną podczas użytkowania pompy (spacery, ćwiczenia fizyczne, taniec itp.)?
4. Jak oceniasz swoją aktywność towarzyską podczas użytkowania pompy?
5. Jak pompa wpływa na Twoją samoocenę?
6. Jak oceniasz używanie pompy w zakresie:
  - a. obsługi pompy;
  - b. pobierania leku;
  - c. sposobu podłączania pompy;
  - d. wielkości pompy;
  - e. ciężaru pompy?
7. Inne uwagi na temat użytkowania pompy.



## Załącznik 3

### **Kwestionariusz oceny wybranych aspektów jakości życia u pacjentów stosujących terapię infuzyjną apomorfina z użyciem pompy D-mine.**

1. Jak oceniasz swój aktualny komfort życia związany z użytkowaniem pompy?
2. Jak oceniasz swoją samodzielność związaną z użytkowaniem pompy (ubieranie się, poruszanie się itp.)?
3. Jak oceniasz swoją aktywność fizyczną podczas użytkowania pompy (spacery, ćwiczenia fizyczne, taniec itp.)?
4. Jak oceniasz swoją aktywność towarzyską podczas użytkowania pompy?
5. Jak pompa wpływa na Twoją samoocenę?
6. Jak oceniasz używanie pompy w zakresie:
  - a. obsługi pompy;
  - b. pobierania leku;
  - c. sposobu podłączania pompy;
  - d. ciężaru pompy?
7. Jak oceniasz pompę w zakresie:
  - a. wielkości pompy;
  - b. ciężaru pompy;
  - c. wyglądu pompy (jej dyskrecję);
  - d. stabilności pompy (po zamontowaniu wszystkich elementów pompy)?
8. Inne uwagi na temat użytkowania pompy.





