



SENAT RP

# ZAPIS STENOGRAFICZNY

---

---

---

**Posiedzenie**  
**Komisji Zdrowia (11.)**  
w dniu 12 kwietnia 2016 r.

IX kadencja

---

Porządek obrad:

1. Terapia genowa mózgu oraz miejsce i rola Polski w najnowocześniejszych strategiach terapeutycznych.

(Początek posiedzenia o godzinie 13 minut 15)

(Posiedzeniu przewodniczący Waldemar Kraska)

### **Przewodniczący Waldemar Kraska:**

Dzień dobry państwu.

Pozwólcie państwo, że zaczniemy jedenaste posiedzenie senackiej Komisji Zdrowia.

Porządek obrad dzisiejszego posiedzenia zawiera jeden punkt: terapia genowa mózgu oraz miejsce i rola Polski w najnowocześniejszych strategiach terapeutycznych.

Czy państwo senatorowie mają zastrzeżenia lub ewentualne uwagi do porządku dzisiejszego posiedzenia Komisji Zdrowia? Nie widzę zgłoszeń. Rozumiem, że program został przyjęty jednogłośnie.

Pozwólcie państwo, że powitam na naszym posiedzeniu pana ministra Krzysztofa Łandę wraz ze współpracownikami – pan minister jest właściwie zawsze na naszych posiedzeniach, jest chyba jakby przypisany do Senatu, jak widzę. Witam przedstawiciela NFZ, pana Karaszewskiego – dzień dobry. No i witam pana profesora Mirosława Ząbka z panią współpracowniczką, którzy są jakby sprawcami dzisiejszego posiedzenia komisji.

Powiem szczerze, że temat jest bardzo intrygujący i ciekawy. Troszeczkę odbiegamy od tego, do czego jesteśmy przyzwyczajeni, czyli od legislacji, tematów dotyczących naszego codziennego życia i utyskiwania na różne problemy. Pan profesor zajmuje się dość nowoczesną, innowacyjną metodą leczenia schorzeń mózgu, głównie Parkinsona i płaszywca. Zaraz nam to wszystko przedstawi. Myślę, że państwo senatorowie będą mieli do niego jeszcze wiele różnych pytań.

Oczywiście witam państwa senatorów, panie i panów.

Swoją obecność na naszym posiedzeniu zapowiedział pierwotnie pan marszałek Senatu, bo on też jest żywo zainteresowany tą ciekawą inicjatywą pana profesora Ząbka, ale przeprasza – niestety, inne obowiązki nie pozwoliły mu uczestniczyć w dzisiejszym posiedzeniu. Wszystkich państwa pozdrawia. Wiecie państwo, że jest lekarzem i jest żywo zainteresowany pracami naszej komisji.

To tyle wstępu.

Panie Profesorze, teraz poprosimy o krótką prezentację tego, co zamierza pan u nas w kraju robić.

**Kliniczny Koordynator  
Oddziału Neurochirurgii  
w Mazowieckim Szpitalu Bródnowskim  
Mirosław Ząbek:**

Mogę tak, prawda? Nie muszę mieć...

(Przewodniczący Waldemar Kraska: Tak, proszę, oczywiście. Dobrze by było mówić do mikrofonu, bo to jest rejestrowane. Nasze posiedzenie jest w tej chwili transmitowane w internecie, więc dobrze by było, gdyby to było dobrze słyszalne.)

Można na siedząco?

(Przewodniczący Waldemar Kraska: Można na siedząco, oczywiście.)

Bardzo dziękuję za zaproszenie. Mam dużą tremę, bo łatwiej jest występować na kongresach niż tu, w Senacie. To zaszczyt, że możemy tu być.

Układ całej prezentacji będzie taki: ja przedstawię, co doprowadziło do możliwości terapii genowej...

(Przewodniczący Waldemar Kraska: Może zgaśmy światło.)

...a pani doktor Karaś, która jest koordynatorem polsko-amerykańskiego programu, podsumuje to, co wydarzyło się po drodze do tego miejsca, w którym jesteśmy.

Bardzo się cieszę, że jest pan minister, który nas wspiera i prawie wszystko już o tym wie, bo już o tym rozmawialiśmy.

Wiem, że jedno z kolejnych posiedzeń komisji będzie poświęcone chorobie Parkinsona, ale nie da się powiedzieć o terapii genowej, jeśli nie uwzględnimy w ogóle choroby Parkinsona, bowiem terapię genową najprościej wprowadza się w takich jednostkach chorobowych, w przypadku których brakuje jednego elementu, założymy, jednego przekaźnika, jednego neurotransmitera. A takim wzorcowym modelem, w którym brakuje jednego przekaźnika chemicznego, jest choroba Parkinsona, w przypadku której brakuje dopaminy.

Choroba Parkinsona została doskonale poznana pod względem tego, co dzieje się w mózgu chorego. W Stanach Zjednoczonych, w Kalifornii, do szpitali trafiali bardzo młodzi ludzie, 27-, 26-, 25-letni, z ciężką postacią choroby Parkinsona. I dochodzenie wykazało, że oni, produkując sposobem domowym heroinę, nie trzymali się technologii produkcji, nie utrzymali jakichś tam warunków temperaturowych i ta heroina była zanieczyszczona substancją, którą później, po jej wyizolowaniu, nazwano MPTP. Ta substancja stała się wzorcowym środkiem do wywołania choroby Parkinsona u zwierząt. U małp wystarczyło jedno dotętnicze podanie tej substancji, MPTP – oczywiście u człowieka też by wystarczyła – żeby uległa zniszczeniu cała substancja czarna, dając ciężką postać choroby Parkinsona. W związku z tym, kiedy było wiadomo, jak tworzyć model eksperymentalny, łatwo było badać najróżniejsze metody leczenia.

Mózg sam w sobie jest bardzo trudny do rozpoznania, nawet nie wiadomo, czy mózg jest wystarczająco sprawny, żeby zrozumieć mechanizm własnej działalności. To jest sieć naczyniowa w mózgu, gdybyśmy ją wypreparowali. To mnóstwo dróg, to pewnego rodzaju układ, który, jeśli coś w jakimś miejscu... jak w zegarze, jak w trybie jakiegoś dużego zegara, założmy wahadłowego – kiedy jeden z trybików haczy, to mimo że mechanizm nadal krąży, to jednak czas jest odmierzany szybciej albo wolniej.

Choroba została opisana przez Parkinsona w 1817 r. Do dzisiaj nie wiemy, co jest odpowiedzialne za tę chorobę. Wiemy, co się dzieje w mózgu, nie wiemy, co wywołuje chorobę. Wiemy, co się dzieje – SN, substancja czarna w śródmózgowiu, zanika. Jeśli zaniknie powyżej 70%, pojawiają się objawy choroby Parkinsona. Bo tu jest produkowana dopamina, która przechodzi w inne miejsce, do jąder podstawy mózgu, i tam jest odbierana, tam jest jej pole receptorowe.

Tak wygląda mózg człowieka z substancją czarną, z dopaminą, a tak, kiedy tej dopaminy brakuje i pojawia się choroba Parkinsona.

Chorobę Parkinsona zaczęto leczyć, kiedy wiadomo było, że dopamina działa hamująco na różne piętra układu nerwowego, w związku z czym niektóre z tych miejsc przy braku dopaminy stawały się nadaktywne. Stworzono możliwość leczenia operacyjnego – te miejsca nadaktywne wyciszało się poprzez uszkodzenie. Służyła temu stworzona w 1947 r. rama stereotaktyczna, która pozwalała osiągnąć dowolny punkt w mózgu. Takich operacji przeprowadzono dziesiątki tysięcy. Polegały one – my też kiedyś wdروżyliśmy tę metodę u siebie w szpitalu – na uszkodzeniu głębokich struktur mózgu. Czyli niszcząc strukturę, która oczywiście do czegoś służyła, wyciszaliśmy stację przekąźnikową, i wtedy niektóre objawy choroby ustępowały.

W latach sześćdziesiątych wprowadzono genialne lekarstwo, L-dopę, dopaminę, która powodowała, że... Tak wygląda pacjent z chorobą Parkinsona, który później bierze leki, przechodzi okres nieprawdopodobnej poprawy, objawy ustępują. Każdy ma przepisana jakąś kupkę tych leków. Nie wiadomo, u kogo i kiedy wystąpią objawy niepożądane. To jest efekt dopaminy. Przed leczeniem chory jest unieruchomiony. Po leczeniu, przy objawach ubocznych, wchodzi w stan przewlekłego tańca.

Pod koniec lat dziewięćdziesiątych w Polsce, właśnie z pomocą profesora Bankiewicza, który jest kluczową postacią w tym samym projekcie z San Francisco... To Polak, wybitny patriota, który przed 30 laty wyjechał i przeszedł całą drogę od podstawowego lekarza w neurochirurgii do wiceszefa katedry najlepszego uniwersytetu medycznego w San Francisco. Kilku noblistów przychodzi na co dzień do tego uniwersytetu do pracy. I wówczas, z pomocą Amerykanów – to było mnóstwo lat temu – udało się wprowadzić metodę leczenia polegającą na głębokiej stymulacji mózgu. Czyli już nie musieliśmy niszczyć struktury mózgu, tylko wprowadzaliśmy 4 elektrody i, ustawiając je pilotem, powodowaliśmy, że objawy ustępowały. Kiedy choroba się rozwijała, można było to regulować.

Ja byłem wtedy przez 12 lat konsultantem krajowym do spraw neurochirurgii. Udało się wprowadzić to do katalogu świadczeń gwarantowanych. Jest to wykonywane już nie

w jednym ośrodku, tylko w większości ośrodków w Polsce, dając dużą ulgę pacjentowi. Ale żeby te operacje były dobrze prowadzone, dobrze nawigowane, to monitoruje się potencjały zewnątrzkomórkowe, z tego wychodzi dźwięk zsynchronizowany z drżeniem pacjenta. To pozwala nam lepiej trafić w punkt, ale nigdy nie wiemy, czy rzeczywiście trafiamy dokładnie.

Tak wygląda pacjent przed operacją. Czyli to jest nadal leczenie samych objawów. Natychmiast po zabiegu, kiedy wszczepi się elektrodę, kiedy włączy się prąd o wysokiej częstotliwości, powyżej 130 Hz, który hamuje aktywność neuronów, wyciszamy to pole i pacjent zdrowieje. Tylko on zdrowieje na jakiś czas, bo choroba dalej będzie postępowała, czyli objawy, mimo wykonanej operacji, będą się pojawiały ponownie.

Zbliżam się już teraz do meritum naszego spotkania. Żeby można było osiągnąć cel, trzeba by w czasie operacji dokładnie wiedzieć, w którym miejscu jesteśmy. Wszystkie operacje na całym świecie prowadzone są w ten sposób, że są one kierowane obrazem, czyli naprowadza się na cel poprzez diagnostykę, poprzez obrazy, poprzez systemy naprowadzania na cel. Te systemy to systemy naprowadzania na cel wzięte z amerykańskich bombowców z nawigacją naprowadzania na cel. Technologia wojskowa, polegająca na wystrzeliwaniu rakiety z kilkudziesięciu kilometrów i sprawianiu, że trafia ona w jakieś okno, została, w wersji zmniejszonej, wykorzystana do naprowadzania na cel w różnych dziedzinach chirurgii. Czyli jednego dnia wykonujemy obrazy – tomograf, rezonans – później, w czasie operacji, kiedy chory leży na stole, wpisujemy głowę w te obrazy, czyli identyfikujemy stałe punkty odniesienia, i mamy obraz mózgu, który mamy operować. Tylko że mamy obraz nie tego leżącego chorego, tylko ten zapisany poprzedniego dnia, kiedy chory leżał na płycie do rezonansu, płasko, a przy zabiegu neurochirurgicznym ułożenia mogą być różne. W przypadku guza mózgu wystarczy taki obraz z poprzedniego dnia, natomiast gdybyśmy chcieli podać, w mikromililitrach, substancję, wektor wirusowy, o którym będę mówił, to on musi być podany dokładnie w to miejsce, w którym ma być odebrany, gdzie go brakuje, czyli dokładność musi być 100-procentowa. A taką 100-procentową dokładność mogą zagwarantować tylko operacje w czasie rzeczywistym, czyli operacje wykonywane w czasie trwania badania rezonansu magnetycznego. Czyli podczas sesji prześwietlenia mózgu wykonuje się operacje.

Taki system został 2 lata temu zainstalowany u nas w szpitalu, głównie wysiłkiem profesora Bankiewicza i kolegów z San Francisco. Przeprowadziliśmy serię pierwszych w Europie operacji w czasie rzeczywistym, ale nie były to jeszcze operacje terapii genowej, tylko operacje przeprowadzone w zasadzie szkoleniowo, dla wprowadzenia elektrod. Jakie znaczenie miało to szkolenie i dla kogo? Po pierwsze, dla pacjenta: że operacja jest lepiej zrobiona. Po drugie, dla funduszu, dla środków budżetu państwa: że jeśli elektroda jest osadzona w miejscu, w którym ma być, to wystarczy ustawić parametry stymulacji na 2 V, a jeśli jest ona 1 mm lub 2 mm obok, to stymulator musi chodzić nie na 2 V, tylko 4 V, i nie wymienia się go wtedy co 5 lat, tylko co 2 lata. Trafiają do nas chorzy, którzy co

6, 8 miesięcy muszą mieć wymieniony stymulator, który kosztuje gigantyczne pieniądze, bo to jest około 20 tysięcy zł, bo cierpią na inną, ciężką postać choroby. A zatem w przypadku głębokiej stymulacji mózgu operacje w czasie rzeczywistym mają znaczenie i dla chorego, i dla środków budżetowych, bo wtedy nie trzeba tak często wydawać naszych środków.

Do przeprowadzenia tych operacji, które zmierzają do terapii genowej, potrzebny jest system wykonania tych operacji, czyli zaplanowany po kolei, krok po kroku...

Ta animacja będzie trwała 4 minuty. Czy możemy sobie na tyle pozwolić?

Pacjenta umieszcza się w tubie rezonansu, jest rejestrowany obraz mózgu, rejestruje się punkty stałe, spoidło przednie, spoidło tylne – to jest tutaj bez znaczenia. W każdym razie ten system umożliwi to, że w kabinie rezonansu stoi duży ekran i my widzimy, w którym miejscu jesteśmy. A te długie druty, takie jak widzieliśmy na schemacie, które później są jakby przymocowane do pacjenta, to są pokręta, o których system mówi nam: „żółty – 2,5 w prawo, zielony – 2,5 w lewo”, żeby osiągnąć cel. W tym przypadku podczas głębokiej stymulacji mózgu celem jest *left* STN, czyli lewe jądro niskowzgórzowe. I widzimy, że nasza elektroda, ten czubek, jest już tuż obok. A wiemy, że jeśli wprowadzi się ją idealnie w punkt, to będzie to najlepsza możliwa forma leczenia.

Takich operacji nikt nie wykonuje, ale jest to kierunek, który przenosi medycynę w zupełnie inny wymiar, bo nigdy w życiu nie bylibyśmy w stanie wszczepić się w jądro niskowzgórzowe, nie widząc tego. Ta elektroda może być trochę tu, trochę tu, a trochę tu za strukturą, która ma 3 mm. A podglądając mózg w czasie rzeczywistym, możemy zobaczyć, że pokryły się dwa miejsca: czubek naszej elektrody i *target*, który chcieliśmy osiągnąć.

W terapii genowej wiemy doskonale, gdzie brakuje układu dopaminergicznego. Wiemy, że prążkowie w mózgu to miejsce, gdzie powinna być dopamina. Są czynniki, które, wykorzystując technikę inżynierii... może nie inżynierii genetycznej, ale technikę terapii genowej... A terapia genowa to, mówiąc najprościej, przeniesienie obcego białka do – w naszym przypadku – mózgu chorego dla uzyskania efektu terapeutycznego. Ten efekt terapeutyczny to będzie albo pobudzenie czegoś do produkcji, albo zahamowanie jakiejś produkcji. I ten czynnik troficzny, który odbudowuje układ dopaminergiczny w chorobie Parkinsona, wygląda mniej więcej tak, jakbyśmy podlewali trawę, która jest pielęgnowana, rośnie, ma wilgotną, żyzną ziemię – tak samo robi się w mózgu pacjenta.

To już infuzja wektora wirusowego, który niesie informację genetyczną, która ma się tam znaleźć. A ta struktura to jest prążkowie. To są długo trwające, wielogodzinne operacje, w pompie infuzyjnej podaje się bardzo powoli, a my cały czas oglądamy. Odtwarzamy aktywność, której nie było, czyli teoretycznie jest szansa, aby jednym aktem chirurgicznym zupełnie wyleczyć człowieka.

Pierwsze lekarstwo terapii genowej zostało zarejestrowane w zeszłym roku w Europie do leczenia choroby trzustki. Zostało zarejestrowane w Holandii. Dzisiaj jest ono drogie, ale pojutrze będzie już pewnie miało zupełnie inną cenę.

Do infuzji służą odpowiednie kaniule konstrukcji profesora Bankiewicza. Rozmawialiśmy z panem ministrem o możliwości wdrożenia mechanizmów do uruchomienia produkcji takiego sprzętu w Polsce. Widzimy dokładnie, jak podglądając w czasie rzeczywistym, możemy wypełnić to, co choroba zabrała, czyli jakby jeszcze raz, od nowa urodzić to miejsce, gotowe do funkcjonowania.

To kilka przykładów. Chcę powiedzieć, że otworzyliśmy takie centrum terapii genowej, ono już jest. Co prawda operacje jeszcze się nie odbywają – pani doktor Karaś powie, na jakim etapie zaawansowania jesteśmy – ale mieliśmy transmisję obrazu z Kalifornii, z wykonywanej tam operacji. Stosowanie tej terapii rozpoczęto również w kilku uniwersytetach w Ameryce. To są bardzo małe grupy chorych. Mieliśmy transmisję obrazu do sali konferencyjnej, mogliśmy rozmawiać ze wszystkimi, było przy tym dużo emocji, które wywołuje nawet taka długo trwająca operacja, podczas której nic się nie dzieje, nie ma krwi, nikt nie używa noża, tylko jest jeden cewnik i śledzi się, jak wektor pokrywa miejsce, bo jeśli okazuje się, że ten biały kontrast ucieka gdzieś w bok, to trzeba użyć mnóstwo manewrów: wycofać igłę, zwiększyć siłę, zwiększyć szybkość podawania wektora, uszczelnić w jakimś miejscu. Każda technika operacyjna wymaga innych umiejętności.

To kolejne przykłady, pokazujące, w jaki sposób selektywnie można wypełnić to, co jest chore. Tylko że to są obrazy w przekroju od głowy. Dzisiaj robi się tak, że jest jedno wklucie, drugie wklucie, trzecie wklucie, natomiast profesor Bankiewicz, który jest twórcą nowej metody, bardzo nas wspomaga, opracował nowe dojście, polegające na tym, że gdyby pacjenta ułożyło się na brzuchu i tę kaniulę wprowadziło nie od czubka głowy, tylko od potylicy, przechodząc przez całe prążkowie, to wtedy można by wypuszczać wektor z jednej trajektorii i pokryć całą tę strukturę anatomiczną, w której jest to potrzebne. To są podobne obrazy.

A to jest najważniejsze. Jest takie urządzenie, pozytonowa tomografia emisyjna, które pokazuje... Rezonans pokazuje funkcję morfologiczną – tu jest guz, tu jest białe, tu jest czarne. A PET *scan*, czyli ta pozytonowa emisyjna tomografia, pokazuje metabolizm w tym miejscu, czyli pokazuje rzeczywistą funkcję. Używa się do tego różnych radiofarmaceutyków, w zależności od tego, czego chce się szukać, np. aktywności metabolicznej przerzutu czy innego guza. A w przypadku choroby Parkinsona używa się *tracera* 17 Fluorodopa, który pokazuje, czy w mózgu, w danym miejscu jest aktywność dopaminergiczna, czy jej nie ma. Tak to wygląda u chorego przed terapią genową – ta aktywność jest bardzo słaba. A proszę zobaczyć, jak to wygląda po terapii genowej – całe prążkowie zostało odtworzone, tak jak w zdrowym, normalnym organizmie. Czyli w zasadzie ten człowiek ma prawo zupełnie wyzdrowieć, bo wszystko to, co z jakichś powodów, nieznanych nam, zostało utracone, wypadło, nagle zostało tą wielogodzinną infuzją zrekonstruowane.

To jest jedna możliwość stosowania terapii genowej. Druga możliwość stosowania terapii genowej, nad którą pracujemy – i rozmawialiśmy już o tym z panem ministrem – to zastosowanie tej terapii w leczeniu nowotworów złośliwych mózgu. Takim sztandarowym nowotworem

złośliwym mózgu jest glejak wielopostaciowy. Czas życia chorego – 6–9 miesięcy. Chemioterapia – bardzo kosztowna, działa słabo, działa przez jakiś czas. Do mózgu niewiele dochodzi. 98% protein białka nie wchodzi do mózgu, wnika 2% leku, a działanie ogólne lekarstwa uszkadza oczywiście cały organizm. Te 2%, które wchodzi, i tak działa na cały mózg, nie ma możliwości terapii celowanej. A wiadomo, że lekarstwo jako takie działa i gdyby można było znaleźć drogę podawania w infuzji bezpośrednio do guza mózgu, to być może z tej choroby śmiertelnej uczyniłoby się chorobę śmiertelną, ale przewlekłą, taką jak cukrzyca – nie wyleczysz się, ale funkcjonujesz normalnie.

To powiedziałem bez slajdu – to jest ogólnoustrojowe podawanie leku. Wątroba, szpik – to wszystko narządy, które ograniczają dawkę, i wtedy albo zabije się człowieka, albo zabije się guza. Ale lekarstwo, kiedy dojdzie do mózgu, i tak działa niespecyficznie. A podawanie go bezpośrednio do mózgu eliminowałoby to wszystko i zmniejszałoby dawkę tego leku, bo wystarczyłoby bardzo mało. A stosując techniki monitorowania nanocząsteczek, takie jak w terapii genowej, mielibyśmy podgląd tego, czy ten guz jest pokryty lekiem, czy nie. Można by go uzupełniać, gdyby się biodegradował. Wykonując zdjęcie co 2, co 3 miesiące, można by uzupełnić lekarstwo w tym guzie, gdyby go nie było.

Pierwsze zastosowanie, jakie znalazła terapia genowa w Ameryce, to zastosowanie w leczeniu kompletnie nieoperacyjnych guzów – guzów pnia mózgu. To jest taki *diffuse*... rozlany gwiaździak pnia mózgowego, w przypadku którego nic nie można zrobić. Ale można zrobić infuzję leku prosto do pnia mózgowego, czyli leczyć tam, gdzie jest choroba. To inne przykłady podawania leku prosto w nowotwór. Tu widzimy odrost glejaka wielopostaciowego, którego wypełniamy przez kaniulę Bankiewicza i ta choroba zniknie – za chwilę zobaczycie to państwo na następnych zdjęciach. Ona oczywiście może za jakiś czas pokazać się w innym miejscu, ale wtedy też można zrobić infuzję leku i zlikwidować guza. Czyli wypełniamy przestrzeń guza. To glejak wielopostaciowy, czyli najbardziej złośliwy nowotwór mózgu, jaki jest. Po infuzji on zniknął.

I to już żyje, to już funkcjonuje, to nie jest science fiction. Są ludzie, którzy są tak leczeni. Można im zostawić, na stałe, cewniki w guzie czy też zrobić płót wokół guza i, jak na tym modelu, tylko uzupełniać lek – tu widać, że w środku są zostawione 4 kaniule – w czasie rzeczywistym, podczas rezonansu, w tym miejscu, gdzie jest potrzebny.

Tak to wygląda naprawdę. Pacjentka przychodzi, zostaje podłączona do takiego portu i niewielką ilością leku wypełnia się ten nowotwór, żeby zniknął. A kiedy nie uzupełnia się leku to jest maleńki, tak jak wenflon w rękę, wystający mały cypełek, przez który można monitorować chorobę.

Alzheimer to też choroba, w leczeniu której terapia genowa mózgu może mieć kolosalne znaczenie. To jest okrutna choroba. Medycyna pozwala człowiekowi żyć coraz dłużej, w sensie bytu biologicznego, ale nie przedłuża istnienia sprawnego intelektualnie. Wiadomo, jak degradującą chorobą jest choroba Alzheimera. Chorzy na nią ludzie pozostają na utrzymaniu społeczeństwa, bo są niesprawni. A gdyby ich aktywność przedłużyć o rok, pół roku, 3 lata, jakież ogromne przyniosłoby to oszczędności – w skali

województwa, kraju, świata czy jakkolwiek byśmy na to patrzyli. 1 na 9 osób choruje na Alzheimera. To jest liczba chorych w Stanach Zjednoczonych – prawie 5 milionów ludzi z chorobą Alzheimera. A w skali świata? Przewiduje się, że do 2050 r. w Stanach prawie 14 milionów ludzi będzie chorowało na choroby neurodegeneracyjne takie jak choroba Alzheimera. To są środki, które zostały wydane na leczenie choroby Alzheimera w 2013 r. Tyle wynosił wtedy budżet Polski. A przewiduje się, że do 2050 r. koszty będą wynosiły 1 bilion 200 miliardów dolarów.

Choroba Alzheimera, jako że jest związana z pamięcią, dotyczy kory mózgowej. I to jest duża trudność, bo w przypadku Parkinsona możemy podać lek w punkcie, gdzie go brakuje, a trudno jest zainfekować całą korę mózgową. Ale jest miejsce – kora śródwęczowa – które może być odżywione, odrestaurowane, odnowione takim samym czynnikiem neurotropowym. Uzupełnia się go w taki sam sposób, jak w chorobie Parkinsona, tylko że w innym miejscu. Podajemy czynnik, przywracając funkcje zanikającej kory węczowej. A to jest najistotniejsza kwestia – wykryto, że wektor wirusowy może podążyć wzdłuż włókien nerwowych i że ten czynnik, który był podawany do kory śródwęczowej, jeśli zostanie podany do struktur wzgórza, wędruje dalej. Proszę zobaczyć, że już pojawia się w korze mózgowej. W ten sposób, podając go tu, w dorzeczu, że tak powiem, tego wzgórza, możemy pokryć tym czynnikiem regenerującym cały obszar kory mózgowej.

To, co jest niezwykle... Mam nadzieję... Może poradzę się państwa, jak to zrobić. To choroby, które nazywa się chyba ultrazadkami – to dzieci z deficytem dekarboksylazy aromatycznych aminokwasów. Te dzieci nie produkują w ogóle ani dopaminy, ani serotoniny. One leżą w sporym uszkodzeniu, w ruchach mimowolnych, wiotkie, na dobrą sprawę oczekując na śmierć. W Polsce jest 2 takich dzieci, w przypadku których ta choroba jest rozpoznana. Te dzieci są bardzo dobrze znane na świecie, są zarejestrowane w fundacji w Londynie, wspierającej chorych na *AADC Deficiency*. Jedno ma 7, a drugie 5 lat. Pierwsze operacje już się u tych dzieci odbyły. Stosując terapię genową można, poprzez akt przeniesienia wektora wirusowego do odpowiedniego miejsca, odtworzyć funkcje zamiany L-dopy na dopaminę, czyli ta dopamina może się pojawić.

To jest dziecko przed terapią genową. A to jest to dziecko po przeniesieniu za pomocą wektora wirusowego informacji o enzymie, którego brakowało. Ono nigdy samo nie podniosło ręki. Ale w tym wypadku chyba nie do końca było dobrze przemyślane miejsce podania wektora, bo w tej chwili można przewidywać... Pierwsza operacja odbędzie się w San Francisco za 1,5 miesiąca. Mamy 2 takich dzieci, które na dobrą sprawę nie czekają na nic. Nie ma innego leczenia. Można tylko podjąć leczenie w drodze ratowania życia, bo nie ma żadnej innej formy leczenia, którą można by im pomóc.

Pani doktor powie pewnie o produkcji. Gdzie można zastosować tę terapię? Jest wielka nadzieja na to, że terapia genowa zrewolucjonizuje podejście do leczenia wielu chorób układu nerwowego, a myślę, że i do wielu innych chorób, które atakują nasz organizm. Prowadziliśmy rozmowy z konsultantem krajowym do spraw pediatrii metabolicznej, ale jest jeszcze szereg innych chorób dziecięcych,

w przypadku których podanie genu, nawet wcześniej po porodzie, do płynu mózgowo-rdzeniowego może zmienić przebieg całego chorowania.

Tak że nasza działalność, prowadzona we współpracy z Ameryką, która trwa już od 25 czy prawie 30 lat, jest bardzo mocno zaawansowana. Na nasze otwarcie kluczowi neurochirurdzy amerykańscy przysłali filmy z gratulacjami. Jesteśmy pierwszym ośrodkiem w Europie, który jest przygotowany do takich operacji, pierwszym ośrodkiem w Europie, który jest dedykowany do takiego leczenia. Jesteśmy jedynym ośrodkiem na świecie, który ma wmontowane 2 takie systemy, w ramach struktury szpitalnej. Czyli praktycznie mogłyby się odbywać 2 operacje równocześnie. Jeden system zainstalowano na potrzeby tych pierwszych operacji, tych głębokich stymulacji w czasie rzeczywistym, z powodu jakiejś tam wysokiej pozycji profesora Bankiewicza na świecie. Zainstalowano i nie zabrano, czyli on został. A ten drugi został kupiony w momencie tworzenia tego ośrodka, w ramach pewnej dotacji, i jest w strukturach szpitala.

Bardzo dziękuję za uwagę.

Teraz może pani doktor powie, co się wydarzyło w tej sprawie. A wydarzyło się bardzo wiele, bo praktycznie jest finansowanie tych wszystkich prowadzonych u nas prób.

### **Przewodniczący Waldemar Kraska:**

Dziękujemy, Panie Profesorze.

Oczywiście pani doktor zaraz zacznie swoją prezentację. Pan profesor starał się w miarę przystępnie omówić ten temat. Co prawda w Komisji Zdrowia są głównie lekarze, ale nie tylko. Ten temat jest bardzo specjalistyczny, ale jednocześnie bardzo ciekawy.

Czekamy teraz na prezentację pani doktor Karaś. Prosimy bardzo.

### **Koordinator Terapii Genowej Mózgu w Mazowieckim Szpitalu Bródnowskim Karolina Karaś:**

Dzień dobry. Nazywam się Karolina Karaś, jestem koordynatorem terapii genowej mózgu w Mazowieckim Szpitalu Bródnowskim. Chciałabym krótko podsumować i uzupełnić informacje przekazane przez pana profesora i zaprezentować aktualny stan realizacji tego projektu.

Jeśli chodzi o cel wdrożenia terapii genowej, to, jak już wcześniej powiedział pan profesor, zasadniczym celem jest szukanie nowych, lepszych, bardziej skutecznych metod terapeutycznych w 3 grupach chorób. Chodzi o choroby neurodegradacyjne, czyli chorobę Parkinsona, płasawicę Huntingtona i chorobę Alzheimera, w przypadku których leczenie objawowe, głównie leczenie farmakologiczne, jak również, w przypadku choroby Parkinsona, głęboka stymulacja mózgu, nie dają w 100% satysfakcjonujących efektów; o złośliwe nowotwory mózgu, czyli glejaki wielopostaciowe; czy wreszcie AADC *Deficiency* u dzieci, czyli tę ultrzaradką chorobę, uwarunkowaną genetycznie.

Jeśli chodzi o korzyści związane z terapią genową, to chciałabym wyodrębnić 3 grupy. Pierwszą z nich jest oczywiście korzyść terapeutyczna, uzyskanie lepszych wyników

leczenia, wydłużenie i poprawienie jakości życia. Możemy również mówić o korzyściach wizerunkowych. Jeśli taki ośrodek jest jedynym ośrodkiem w Europie, to oczywiście stanie się on ośrodkiem referencyjnym dla Europy i świata. Nie chodzi tylko o terapię – nasz ośrodek mógłby również stać się centrum badawczym i szkoleniowym. Doprowadziłoby to oczywiście do wzmocnienia wizerunku polskiej medycyny na świecie, możliwości publikacji wyników prac lekarzy z naszych ośrodków w pismach medycznych. Jeśli chodzi o korzyści finansowe, to dzięki innowacyjnym rozwiązaniom profesora Bankiewicza możemy stopniowo dążyć do tego, aby zastąpić kosztowny system ClearPoint i rozpocząć produkcję instrumentarium w Polsce. Docelowo myślimy również o produkcji samego leku w Polsce.

Ten system ClearPoint, o którym mówiłam wcześniej, służący do podawania leku w czasie rzeczywistym, jest niezwykle kosztowny – kosztuje około 700 tysięcy zł. Jednorazowy aparat do wykonywania operacji kosztuje 15 tysięcy euro. W związku z odkryciami, z opracowaniem instrumentarium przez profesora Bankiewicza, który zadeklarował odstąpienie praw do produkcji, istnieje możliwość rozpoczęcia produkcji w Polsce. Myślę, że koszt zmniejszyłby się do kilkuset dolarów.

*(Kliniczny Koordynator Oddziału Neurochirurgii w Mazowieckim Szpitalu Bródnowskim Miroslaw Ząbek: Zobaczcie państwo, jak wygląda to urządzenie. To jest plastikowa tubka.)*

Dzięki temu moglibyśmy oczywiście zmniejszyć koszty własne leczenia chorych, zminimalizować czas trwania całej procedury oraz myśleć, w przyszłości, o możliwości sprzedaży innym ośrodkom w Europie czy na świecie, które chciałyby wprowadzić terapię genową.

Na tym slajdzie widzimy zintegrowany system obrazowania w czasie rzeczywistym. Tak wygląda prototyp urządzenia, które możemy produkować w Polsce.

Jeśli chodzi o kwestię produkcji instrumentarium w Polsce, to w okresie od stycznia do marca odbyła się seria spotkań przedstawicieli zespołu z firmami, które dostarczają odpowiednie rozwiązania technologiczne w zakresie niezbędnym do produkcji instrumentarium. Jeśli chodzi o rezultaty tych rozmów, to w pierwszym etapie wybraliśmy jednego z producentów, odbyliśmy kilka rozmów z zarządem firmy, która wykona prototyp urządzenia w ramach kosztów własnych. W drugim etapie rozmów, w którym brał udział profesor Bankiewicz, dyskutowano na temat szczegółów techniki wykonywania instrumentarium i ewentualnego wdrożenia poprawek. W trzecim etapie ustalono, że firma w ramach środków własnych wyprodukuje 4 egzemplarze instrumentarium. Byliśmy dość zaskoczeni, bo okazało się, że projekty nie stanowią aż tak dużego wyzwania dla firmy, jak nam się pierwotnie wydawało.

Jeśli chodzi o produkcję leku w Polsce, to możemy mówić o wektorach wiralnych w terapii genowej. Taka produkcja nie jest jeszcze obecnie możliwa w Polsce – jest to dość trudne przedsięwzięcie nawet w Stanach Zjednoczonych – jednak jeśli pierwsze próby kliniczne leczenia okażą się skuteczne, to na pewno będziemy mogli zmierzać do uruchomienia produkcji.

Nanocząsteczki do leczenia guzów mózgu poprzez bezpośrednią infuzję do guza – ich produkcja jest już możliwa ze względu na to, że wiele skutecznie działających leków utraciło już swoją ochronę patentową. Te cząsteczki można wykorzystać do produkcji leku. Odbyły się już pierwsze spotkania dotyczące możliwości produkcji – między innymi z panem ministrem Krzysztofem Łandą oraz z panią ministrem Jadwigą Emilewicz z Ministerstwa Rozwoju.

Teraz chciałabym przedstawić zakończone etapy realizacji projektu. Dynamika realizacji projektu jest dość duża. 29 lutego nastąpiło otwarcie oddziału, a już na początku marca odbyliśmy w naszym ośrodku serię spotkań ze specjalistami w dziedzinie neurologii i pediatrii klinicznej, między innymi z krajowym konsultantem do spraw pediatrii metabolicznej, z konsultantem wojewódzkim do spraw neurologii dziecięcej, w celu omówienia szczegółów przebiegu takich badań, szczegółów samego protokołu badawczego. Cała procedura jest dość skomplikowana, podzielona na wiele etapów, w związku z czym wymagało to niezbędnych konsultacji. Ustalono też kwestię leczenia dzieci z AADC *Deficiency*. Jak pan profesor mówił, 2 dzieci, już zbadanych, jest potencjalnymi pacjentami naszego ośrodka.

W kwietniu, w zeszłym tygodniu, odbyła się seria spotkań – myślę, że dla nas najważniejszych – z dwiema dużymi firmami ze Stanów Zjednoczonych, które są liderami terapii genowej, wdrażają swoje rozwiązania również w Unii Europejskiej. Są to firmy współpracujące z największymi ośrodkami badawczymi w Stanach Zjednoczonych. Jedna z nich specjalizuje się głównie w chorobach rzadkich, nie tylko w chorobach układu nerwowego, a drugą prowadzi próby kliniczne związane z chorobami układu nerwowego, głównie z chorobą Parkinsona i chorobą Huntingtona. Z tego, co wiem, jeśli chodzi o chorobę Parkinsona, to jest to drugi etap prób klinicznych. Warto podkreślić, że przedstawiciele tych firm zauważyli, że nie tylko nie pozostajemy w tyle za innymi, ale jeśli chodzi o rozwiązania technologiczne w naszym ośrodku, to wręcz mamy przewagę technologiczną, jeśli można tak powiedzieć. Firmy są nastawione dość entuzjastycznie do finansowania naszych prób.

Jeśli chodzi o rezultat tych spotkań, to uzyskaliśmy już wstępną zgodę na finansowanie prób klinicznych dla grupy chorych z chorobą Huntingtona oraz zgodę na finansowanie pozostałych prób. Zostały już ustalone szczegóły protokołu badawczego. Te rozmowy są już na bardzo zaawansowanym etapie. Odbyło się już wspólne spotkanie z CRO, czyli międzynarodową firmą zarządzającą badaniami klinicznymi i monitorującą je, i ustalono już szczegóły dotyczące przeprowadzenia pierwszych prób klinicznych w naszym ośrodku.

Jeśli chodzi o aktualne cele, to naszym zasadniczym celem jest przeprowadzenie pierwszej próby klinicznej, w związku z czym przygotowujemy już dokumenty w celu uzyskania pozytywnej opinii komisji bioetycznej. Pozostaje również kwestia zgody na sprowadzenie do Polski wektorów wiralnych, których produkcja na razie jest w Polsce niemożliwa, jak również sprawa finansowania prób klinicznych związanych z ratowaniem życia dzieci z AADC *Deficiency*. Celem finalnym jest rejestracja leku w Polsce. Dziękuję bardzo za uwagę.

## **Przewodniczący Waldemar Kraska:**

Dziękuję bardzo pani doktor i panu profesorowi.

Myślę, że macie państwo szerszy pogląd na tę cenną inicjatywę, która nie tylko pozwoli na niesienie pomocy chorym poprzez nowatorską, innowacyjną terapię, ale może także być szansą na to, aby Polska stała się wiodącym ośrodkiem w Europie, jeśli chodzi o nowe procedury medyczne.

Zgodnie z harmonogramem naszego posiedzenia teraz oddamy głos panu ministrowi, który, jak wiem, też jest zainteresowany działalnością tego programu.

Co na to ministerstwo? Czy ministerstwo daje zielone światło, czy podejdzie do tego tematu w jakiś inny sposób?

Proszę bardzo, Panie Ministrze.

## **Podsekretarz Stanu w Ministerstwie Zdrowia Krzysztof Łanda:**

Szanowny Panie Przewodniczący! Szanowni Państwo!

Ministerstwo Zdrowia oczywiście jest zainteresowane, i to bardzo, wszelkimi inicjatywami, które wpisują się w szerszą politykę rządu, to znaczy we wspieranie rozwoju polskiej gospodarki oraz poprawę jej innowacyjności. Ministerstwo Zdrowia angażuje się w takie inicjatywy, które dotyczą poprawy efektywności wydatkowania środków zarówno na badania i rozwój, jak również na komercjalizację już gotowych patentów. I akurat ten projekt jest w tej chwili jednym z kilkunastu projektów, które polscy naukowcy zgłosili do nas, do Ministerstwa Zdrowia, prosząc o pomoc. Ale to są projekty, które bardzo szybko mogą podlegać komercjalizacji, która polega na produkcji w Polsce, a następnie eksporcie wyrobów medycznych, leków, produktów leczniczych, ale również na eksporcie usług, eksporcie świadczeń zdrowotnych. Przyjeżdżają do nas ludzie z zagranicy, tutaj się leczą, tutaj płacą nam płatnicy z zewnątrz, z innych krajów, zostawiają u nas, w Polsce, pieniądze, przyczyniając się pośrednio do rozwoju polskiej medycyny – oczywiście takie projekty będziemy ze wszystkich sił wspierać.

Jak powiedziałem, to jest jeden z kilkunastu projektów, które w tej chwili wspieramy i które staramy się realizować we współpracy z Ministerstwem Rozwoju oraz ministerstwem nauki. W zespole na rzecz innowacyjności jest 2 reprezentantów ministra zdrowia. Oprócz tego staramy się aktywnie pomagać pojedynczym polskim naukowcom czy pojedynczym inicjatywom. Pan profesor z profesorem Bankiewiczem byli już przecież w Ministerstwie Zdrowia dwukrotnie. Raz było to krótkie spotkanie, które trwało bodajże pół godziny, ale od razu spotkałem się z ministrem Radziwiłłem, którego natychmiast starałem się zainteresować tą inicjatywą, a potem odbyło się już znacznie dłuższe spotkanie, bo prawie dwugodzinne, na które zaprosiłem panią wiceminister z Ministerstwa Rozwoju. I jesteśmy umówieni na kolejne spotkania, które będą dotyczyły już praw patentowych.

Myślę również, że Ministerstwo Zdrowia, akurat jeżeli chodzi o ten projekt, może państwa wesprzeć, jeśli chodzi o *value-based pricing*, czyli politykę wyceny. Możemy państwu pomóc, przynajmniej jeżeli chodzi o konsultacje w zakresie uzyskania rejestracji, a szczególnie uzyskania rejestracji razem z uzyskaniem statusu technologii sierocej,



co otwiera kolejne możliwości dotyczące komercjalizacji tego pomysłu. Zresztą tak naprawdę na ostatnim spotkaniu opracowaliśmy już mapę drogową z co najmniej 3 czy 4 punktami możliwych korzyści wynikających z komercjalizacji tego pomysłu. Chodzi nie tylko o korzyści dla ośrodka leczącego, dla polskiej medycyny, dla polskich pacjentów, ale również o wymierne korzyści, jakie ten pomysł może przynieść polskiej gospodarce.

Muszę powiedzieć, że postawa pro publico bono pana profesora Bankiewicza nie budzi żadnych wątpliwości. Dążymy do tego, żeby patenty, które pan profesor stworzył w Stanach Zjednoczonych, mogły być przeniesione za pomocą licencji do Polski i żebyśmy rozpoczęli w Polsce produkcję innowacyjnych wyrobów medycznych.

Oczywiście jest jeszcze kilka spraw do zbadania, więc nie przesądzałbym od razu, na hura, że będzie to sukces. Pierwszą ważną sprawą jest możliwość opracowywania w Polsce nanocząsteczek. Pan profesor twierdzi, że to jest dosyć prosta technologia, ale my musimy przeprowadzić odpowiednie ekspertyzy, żeby sprawdzić, na ile ona jest prosta. Nie chodzi tylko i wyłącznie o technologię wytwarzania, ale również o prawa patentowe do wykorzystania takiej, a nie innej technologii.

Drugą sprawą jest możliwość licencjonowania. Powstaje pytanie, na jakich warunkach licencja mogłaby być przeniesiona do Polski, ponieważ technologia produkcji i wykorzystania tych wyrobów została jednak opracowana na jednym z uniwersytetów amerykańskich. Przyjmuję oczywiście z zadowoleniem deklarację pana profesora Bankiewicza, że warunki przeniesienia tego patentu do Polski za pomocą licencji byłyby wyjątkowo korzystne, ale poczekam z gratulacjami i fajerwerkami do momentu, kiedy zobaczę, jakie są te „korzystne warunki”.

Kończąc moją już pewnie przydługą wypowiedź, chciałbym powiedzieć, w jaki sposób działalność Ministerstwa Zdrowia wpisuje się w strategię rozwoju państwa polskiego i polskiej gospodarki, którą nakreślił pan premier Morawiecki. Nie będę w tej chwili mówił o pieniądzach z map, o tym, w jaki sposób możemy je wykorzystać, jeżeli chodzi o pobudzenie polskiej gospodarki, i o tym, co zrobić, żeby te pieniądze nie stały się pocałunkiem śmierci dla polskiej ochrony zdrowia. Mam nadzieję, że kiedyś odbędzie się oddzielne spotkanie na temat map. Być może przedstawimy państwu takie narzędzie decyzyjne, które nazywa się Jowisz – to jest akronim. Chodzi o kryteria tworzenia planów inwestycyjnych, czyli o to, jak należy spożytkować pieniądze unijne w Polsce.

Ale w tym przypadku chciałbym powiedzieć raczej o polityce cenowej. Otóż Ministerstwo Zdrowia bynajmniej nie boi się wysokich cen technologii medycznych, oczywiście obliczonych zgodnie z zasadami *value-based pricing*, czyli wyceny opartej na wartości technologii medycznej. Nie boimy się wysokich cen, kiedy produkcja ma miejsce w Polsce, a produkty są eksportowane. Taką samą politykę prowadzą inne państwa, zresztą nie tylko państwa członkowskie Unii Europejskiej. Nie ma w Europie wspólnego budżetu na refundację leków, nie ma wspólnego budżetu na świadczenia zdrowotne. Produkcja jest w poszczególnych krajach zróżnicowana i każde państwo dba o interesy swojej gospodarki.

Myślę, że dosyć skutecznie zerwaliśmy z polityką, jaka była do tej pory prowadzona. Kryterium cenowe, które daje nam ustawa refundacyjna, będzie – w tej chwili już jest – skutecznie wykorzystywane. Jak mówiłem, po pierwsze, nie boimy się wyceny opartej na wartości produktu, nawet gdyby cena była wysoka, a szczególnie w przypadku technologii sierocej stosowanej w chorobach ultrazadkowych. Ale istotnym elementem jest spełnienie kryterium cenowego z ustawy refundacyjnej, które uwzględni również interes naszej gospodarki. Po drugie, służymy wszelką pomocą, jeżeli chodzi o szeroko rozumiane konsultacje i współpracę z państwem. Tak więc nie zostawiamy państwa samych sobie – „róbta, co chceta” – tylko postępujemy wręcz przeciwnie: zapraszamy do nas, pomagamy państwu, co, mam nadzieję, państwo potwierdzą.

(*Głos z sali*: Czujemy to już.)

Dziękuję bardzo.

### **Przewodniczący Waldemar Kraska:**

Dziękuję bardzo, Panie Ministrze.

To zielone światło pod koniec troszeczkę zbladło, ale myślę, że fachowość pana profesora i zaangażowanie, czy to Ministerstwa Zdrowia, czy Ministerstwa Rozwoju, doprowadzą ten projekt do końca, szczególnie że byłibyśmy jedynym miejscem w Europie, gdzie można by stosować taką terapię.

Pan profesor chciałby jeszcze coś dodać. Za chwilę oddam głos...

### **Kliniczny Koordynator Oddziału Neurochirurgii w Mazowieckim Szpitalu Bródnowskim Miroslaw Ząbek:**

Chciałem o coś zapytać, bo być może nigdy nie będę miał lepszej okazji. O ile w przypadku choroby Parkinsona, na którą choruje na świecie wielu ludzi – w Polsce pewnie 70 tysięcy – znajdują się firmy, które będą widziały powód finansowania takich prób, zresztą bardzo kosztownych, o tyle w przypadku tych dzieci, których w Polsce jest 2, 12 w Estonii, 60 we Francji, razem w całej Europie pewnie ze 100, nie znajdzie się nikt, kto zainwestowałby pieniądze. Wiem, że... Pan minister już mi to kiedyś tłumaczył... Zmierzam do pytania, czy będzie możliwe na przykład... My nie jesteśmy szpitalem dziecięcym, ale są anesteziolodzy, mózg jest taki sam, wektor dostaniemy z Ameryki za darmo, jak będzie odpowiednie prawo, jak będą odpowiednie zapisy na temat tego, jak go sprowadzić. Czy takie dziecko będzie mogło znaleźć się w jakimś szpitalu pediatrycznym – przy Niekłańskiej, w Centrum Zdrowia Dziecka czy w Instytucie Matki i Dziecka – i skorzystać z prawa do leczenia hospitalizacyjnego refundowanego przez NFZ? Czy trzeba by przygotować na to jakieś inne środki?

(*Podsekretarz Stanu w Ministerstwie Zdrowia Krzysztof Łanda*: Myślę, że... Czy chodzi o środki na hospitalizację takiego dziecka w ramach badań?)

Tak. Być może będzie ono wymagało miesięcznej hospitalizacji. Te dzieci są w tak ciężkim stanie, że pani doktor konsultant wojewódzki powiedziała, że nie chce

ich przyjmować wcześniej do szpitala, że będzie jeździła je badać do domu, żeby nie narażać ich na jakąkolwiek infekcję. W związku z tym można się spodziewać komplikacji w przebiegu leczenia, być może nawet i miesięcznej hospitalizacji. Czy da się rozliczyć taką hospitalizację?

**Podsekretarz Stanu  
w Ministerstwie Zdrowia  
Krzysztof Łanda:**

To zależy od tego, czy badanie, które będziemy prowadzić, będzie badaniem komercyjnym czy niekomercyjnym. (*Głos z sali:* To będzie ratowanie życia.)

Nie, nie, nie, ratowanie życia to jest jeszcze inna kwestia. Jest jeszcze tzw. *compassionate use*. Proponuję, żebyśmy... W tej chwili nie jestem w stanie odpowiedzieć na to pytanie, ale jestem przekonany... Może powiem inaczej: jeżeli państwo będziecie rozwijać technologię sierocą, to w przypadku technologii sieroczej, również na podstawie zasad *value-based pricing*, czyli wyceny opartej na wartości klinicznej produktu, zakłada się również taki, a nie inny zwrot z inwestycji. I właśnie dlatego w Unii Europejskiej jest specjalny komitet, Committee for Orphan Medicinal Products, który wspiera badania w zakresie technologii sierocych. I, jak mówiłem, my, Ministerstwo Zdrowia, Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, pomożemy państwu w przejściu tej drogi, ale państwo powinniście starać się o dodatkowe środki na badania i rozwój. Te środki... Nawet jeszcze dzisiaj mam spotkanie z panią minister Emilewicz, również w sprawie państwa projektu. Kolejne spotkanie jest zaplanowane bodajże na za jakieś 3 tygodnie, 2,5 tygodnia. Będziemy badać ten projekt, również międzyresortowo. Jestem przekonany, że jeżeli znajdą się środki – a jestem przekonany, że znajdą się środki również na badania dotyczące tych chorób ultraradkich – to z tych środków... NFZ nie może wydatkować środków na hospitalizację dziecka, jeżeli ta hospitalizacja wynika z samej procedury badawczej. Ale jestem przekonany, że państwo zgromadzicie odpowiednie środki, żeby NFZ nie ponosił w tym przypadku, oczywiście mówiąc w cudzysłowie, straty. Wydaje mi się, że akurat w tym przypadku sama miesięczna hospitalizacja dziecka będzie raczej drobnym fragmentem całkowitego kosztu tego badania. To po pierwsze.

Po drugie, chcę państwu powiedzieć, że jeśli chodzi o zwrot z inwestycji, to nie jest tak, jak... Pan profesor powiedział, że w przypadku chorób ultraradkich terapia genowa jednego pacjenta kosztuje 1 milion 500 tysięcy euro, o ile pamiętam. Ale zwrot z inwestycji w przypadku technologii sierocych nie dokonuje się z populacji dziesiątek, setek czy milionów ludzi. Dokonuje się z niewielkiej liczby pacjentów. Dlatego też ta technologia nie może być tak tania, jak leki stosowane w chorobach powszechnych, w przypadku których 50 zł czy 100 zł już zapewnia zwrot z inwestycji. Te technologie często kosztują dziesiątki, setki, tysiące czy nawet miliony złotych. I proszę być pewnym, że to nie jest tak, że my nie jesteśmy w stanie pomóc państwu w odpowiedniej wycenie tego produktu. Jeszcze raz podkreślam: jeżeli cały projekt będzie przeprowadzony z sukcesem, jeżeli dostanę odpowiedzi na te pytania, na

które odpowiedzi nie mam... Jak mówiłem, koszt hospitalizacji będzie tak naprawdę bardzo mały w porównaniu do wszystkich innych kosztów. Dziękuję.

**Przewodniczący Waldemar Kraska:**

Dziękuję, Panie Ministrze.

Pan profesor jest neurochirurgiem, ja jestem chirurgiem. Jak już o czymś pomyślimy, to chcemy to robić, więc, Panie Ministrze, niech pan się nie dziwi, że pan profesor tak do tego dąży.

Teraz jest czas na pytania senatorów.

Pani senator zgłosiła się pierwsza.

Potem pan senator.

**Senator Dorota Czudowska:**

Dziękuję bardzo, Panie Przewodniczący.

Gdybym miała jednym słowem określić państwa wykład, to użyłabym po prostu słowa „fascynujące”. Aż dziwne, że dopiero teraz – mówię to jako onkolog – możemy tą metodą przekroczyć tę pierwszą barierę w chemioterapii guzów mózgu, jaką jest bariera krew – mózg, że można to podawać... Bo to otwiera pole do leczenia chorób onkologicznych.

Ale mam pytanie. Pan minister powiedział, że koszt jednej terapii to na dzisiaj około 1 milion 500 tysięcy euro...

(*Wypowiedź poza mikrofonem*)

Innej? Tej, którą Holendrzy... Dobrze.

A w takim pierwszym biznesplanie, ile potrzeba pieniędzy tak na początek, żeby rozpocząć to wszystko, co pan profesor i pani doktor prezentowali?

**Kliniczny Koordynator  
Oddziału Neurochirurgii  
w Mazowieckim Szpitalu Bródnowskim  
Miroslaw Ząbek:**

Jeśli chodzi o te dzieci z deficytem dekarboksylazy, to badanie musi być nadzorowane. Ta ogromna firma, międzynarodowa, mająca wszędzie reprezentacje, zrobi to bezpłatnie. Oni zadeklarowali, że całość, zarządzanie projektem...

(*Senator Dorota Czudowska:* No tak, ale...)

Nie mam doświadczenia...

(*Senator Dorota Czudowska:* ...żeby wprowadzić to w Polsce, żeby tu była produkcja, żeby uruchomić, że tak powiem, linię produkcyjną...)

Jeśli chodzi o nanocząsteczki, to koszt dla 20 pacjentów wynosi – tak sądzę, tak kiedyś słyszałem – kilkaset tysięcy dolarów. Czyli prawdopodobnie byłyby to wyobrażalne pieniądze, gdyby okazało się, że ta produkcja funkcjonuje. Te liposomy muszą być jeszcze pokryte warstwą tłuszczową, żeby wydłużyć biodegradację, żeby rozpadało się to jak najdłużej. Szczegółów nie potrafię podać. Wiem, że jeśli to przejdzie przez myślenie firmy, to nagle z prostych rzeczy zrobią się miliony dolarów, bo każdy będzie widział możliwość zarobku.

Mnie się wydaje, że to nie powinno być takie drogie, mimo kosztów ludzkiej pracy, bo my to zrobimy z potrzeby, z chęci. Chodzi tylko o jakieś dodatkowe koszty. Wektory dostaniemy za darmo ze Stanów. Ocena tych dzieci też będzie wykonana przez firmę bezpłatnie.

**Senator Dorota Czudowska:**

Pewnie wszyscy jesteśmy za tym całym sercem, ale jeżeli przedstawia się ministerstwu czy rządowi jakiś projekt, to musimy znać z góry, przynajmniej w przybliżeniu, jego koszt. Nie mówię teraz o... Bo pan profesor przedstawiał łączniki, cewniki, wszystko to, co jest potrzebne do przeprowadzenia zabiegu, ale chodzi o wdrożenie, o produkcję, czyli o to, ile potrzebujecie państwo pieniędzy od państwa, żeby rozpocząć to, co, mamy nadzieję, zakończy się sukcesem.

**Kliniczny Koordynator  
Oddziału Neurochirurgii  
w Mazowieckim Szpitalu Bródnowskim  
Miroslaw Ząbek:**

Pani Senator, żeby nie wyszło, że przyszlizmy nieprzygotowani, powiem, że wszystko wydarzyło się tydzień temu – zaprosił nas pan marszałek Karczewski, żeby Komisja Zdrowia nie dowiadywała się o tym z telewizji czy z gazet, tylko żeby na bieżąco wiedziała, co się dzieje. Nie przyszlizbyśmy bez takiej wiedzy. To wszystko... W niedzielę wylecieli do Stanów ludzie, którzy...

*(Wypowiedzi w tle nagrania)*

**Podsekretarz Stanu  
w Ministerstwie Zdrowia  
Krzysztof Łanda:**

Proszę państwa, jest jeszcze zbyt wcześnie, żeby mieć kosztorys całego przedsięwzięcia.

*(Senator Dorota Czudowska: Odpowiedź na to pytanie...)*

I to jest właśnie odpowiedź. Gwarantuję państwu, że pani wiceminister Emilewicz z Ministerstwa Rozwoju zażąda wszystkich kalkulacji, dokumentów itd. Przed panami profesorami sporo pracy, ale ja pokazuję państwu co innego: że jest pomysł, jest technologia, która rodzi nadzieję, jeżeli chodzi o badania kliniczne i uzyskiwane wyniki, ale nie jest też tak, że jesteśmy już na dzień przed produkcją. Niektóre rzeczy będą mogły być produkowane szybko, inne dopiero za kilka lat, 2 lata, 3, 4, 5 lat.

Poza tym, jak mówiłem, nie znamy jeszcze wszystkich odpowiedzi potrzebnych do kosztorysu, jak chociażby... Nie wiem, czy ten uniwersytet amerykański da nam tę licencję za darmo, za symboliczną złotówkę czy symbolicznego dolara, czy może jednak zażąda takiej, a nie innej opłaty. A jak te opłaty będą wyglądały w czasie? Czy będą na rok, na 5 lat, na 10 lat? Tak więc nie mamy jeszcze tych kalkulacji. Pytanie jest oczywiście słuszne, ale myślę, że odpowiedź zostanie udzielona dopiero, kiedy Ministerstwo Rozwoju zażąda pewnych obliczeń i wniosków.

**Przewodniczący Waldemar Kraska:**

Dziękuję bardzo.

Teraz pan senator, potem pani senator.

**Senator Andrzej Wojtyła:**

Dziękuję bardzo, Panie Przewodniczący.

Panie Profesorze, chciałbym... Oczywiście jak najbardziej uważam, że to jest nowoczesny, bardzo nowatorski pomysł. Ale mówi się tutaj o Ministerstwie Zdrowia, Ministerstwie Rozwoju, a przecież od tego jest Narodowe Centrum Badań i Rozwoju, które powinno to finansować. Centrum prowadzi program nakierowany na zwalczanie chorób cywilizacyjnych, m.in. degeneracyjnych, Strategmed. Ja analizuję to, jakie projekty były finansowane z tego programu przez ostatnie lata – niektóre z nich recenzowałem – i uważam, że takie pomysły powinno finansować Narodowe Centrum Badań i Rozwoju i ministerstwo nauki. Uważam, że projekt, który został tutaj przedstawiony, spełnia wszelkie wymogi finansowania przez Narodowe Centrum Badań i Rozwoju. A tam jest ogromna ilość pieniędzy. I przypominając sobie projekty, które czasem są finansowane, można stwierdzić, że ten projekt to rzeczywiście wartościowy projekt, a nie jakies uzyskiwanie z szyszek chmielu jakichś tam substancji, które nie wiadomo... suplementu diety.

*(Kliniczny Koordynator Oddziału Neurochirurgii w Mazowieckim Szpitalu Bródnowskim Miroslaw Ząbek: Pan minister wskazał nam tę samą drogę.)*

Naprawdę, tam są pieniądze unijne, które można otrzymać. Ten projekt jak najbardziej wpisuje się w ten program. Program Strategmed obejmuje choroby cywilizacyjne. Uważam, że powinna być w nim umieszczona profilaktyka chorób cywilizacyjnych i choroby degeneracyjne, ale w tej chwili, zgodnie z warunkami zapisanym w tym programie, ten projekt się kwalifikuje i na pewno uzyskałby pozytywne recenzje.

**Kliniczny Koordynator  
Oddziału Neurochirurgii  
w Mazowieckim Szpitalu Bródnowskim  
Miroslaw Ząbek:**

Dziękuję. To wiąże się z tym, co powiedziała pani senator, że trzeba przygotować program i mieć wyliczone koszty. Zresztą pan minister też wskazał nam tę drogę. Już w pierwszej rozmowie w Ministerstwie Zdrowia mówił o Narodowym Centrum Badań i Rozwoju.

**Podsekretarz Stanu  
w Ministerstwie Zdrowia  
Krzysztof Łanda:**

Jeszcze raz powtórzę: co innego... W przypadku tego projektu jest kilka wątków. Niektóre z nich dotyczą prowadzenia badań i wtedy rzeczywiście mamy... Strategmed właściwie już się chyba skończył, z tego, co wiem, ale...

*(Wypowiedź poza mikrofonem)*

...są inne projekty, nie kłóćmy się o to. Oczywiście, że NCBiR powinno się tym zainteresować. Jak powiedziałem państwu już wcześniej, jest bardzo wyraźny sygnał ze strony rządu, że Polska nie może być silosowa czy resortowa, tylko musimy ze sobą współpracować. Tak naprawdę, żeby polska gospodarka była bardziej innowacyjna i żeby rozwój

w Polsce był szybszy, musimy ze sobą współpracować pomiędzy resortami. I nie jest tak, że ministerstwo nauki powinno robić sobie, co tam chce, Ministerstwo Rozwoju, co tam chce, a Ministerstwo Zdrowia jeszcze co innego. Nie jest tak. Musi być współdziałanie. Jeśli chodzi o badania i rozwój, to rzeczywiście jest to domena ministerstwa nauki i powinny zostać użyte środki NCBiR bądź innych agencji. Ale, proszę państwa, głównym problemem w przypadku większości wątków są pieniądze na komercjalizację. A to dotyczy już Ministerstwa Rozwoju z jego środkami i tworzącym w tej chwili nowym projektem. I prawdę mówiąc, w tym wypadku też trzeba się jeszcze zastanowić nad formami finansowania doprowadzenia gotowego patentu do fazy komercyjnej.

A trzecia strona to Ministerstwo Zdrowia. Ministerstwo Zdrowia, jeżeli chodzi o projekty dotyczące ochrony zdrowia, powinno mieć swój głos. I muszę państwu powiedzieć – ponieważ pan minister wspomniał o opiniowaniu tych wniosków – że akurat, proszę państwa, gdzie jak gdzie, ale w ochronie zdrowia można przeprowadzić ocenę technologii medycznej, zanim zostaną przeprowadzone czy dokończone badania kliniczne. Są dostępne metody takie jak *horizon scanning*, razem z wczesną oceną niektórych elementów technologii medycznych: skuteczności, bezpieczeństwa, opłacalności, możliwości włączenia do koszyków świadczeń gwarantowanych na świecie, czyli możliwości refundacji – to są niezwykle istotne elementy, moim zdaniem, wpływające na przyznawanie środków takim, a nie innym projektom. I moim zdaniem ocena technologii medycznych powinna być wykonywana, zanim zostaną przyznane środki, przynajmniej w zakresie ochrony zdrowia. Do tego właśnie zmierzamy. I myślę, że akurat ten projekt czy te projekty, bo to jest kilka powiązanych ze sobą projektów, na pewno uzyskałyby bardzo wysoką ocenę.

### **Przewodniczący Waldemar Kraska:**

Dziękuję, Panie Ministrze.  
Teraz pani senator. Proszę.

### **Senator Bogusława Orzechowska:**

Dziękuję bardzo.  
Panie Przewodniczący! Szanowni Państwo!  
Jestem pod wrażeniem tego, co pan profesor i pani doktor nam powiedzieli. Pokazuje to, że rzeczywiście mamy szansę na rozwój naukowy w Polsce, na to, że będzie postęp, osiągnięty we współpracy ze wszystkimi ministerstwami. I to, co państwo przedstawili, napawa mnie ogromnym optymizmem. Od razu zapytam, czy jest szansa wprowadzenia tych technologii do leczenia mózgowego porażenia dziecięcego. Bo to jest następny etap, który, wydaje mi się, dawałby państwu szansę na dalszy rozwój. Dziękuję.

### **Przewodniczący Waldemar Kraska:**

Dziękuję, Pani Senator.  
Proszę, Panie Profesorze.

### **Kliniczny Koordynator Oddziału Neurochirurgii w Mazowieckim Szpitalu Bródnowskim Miroslaw Ząbek:**

Bardzo dziękuję.

Obawiam się, że jeśli chodzi o mózgowie porażenie dziecięce, to będzie to sprawa najtrudniejsza, jeśli w ogóle możliwa, dlatego że jest to uszkodzenie, które w różnym stopniu dotyczy różnych pięter układu nerwowego, które dokonało się w wyniku jakichś komplikacji, najczęściej niedotlenienia. To tak, jakby reanimować utopionego. Mózg, komórki nie żyją w różnych miejscach. Zdecydowanie łatwiej... Może jeśli kiedyś odtworzy się, wykryje się jakiś wektor, który reanimuje wszystkie utracone funkcje komórkowe, ale dzisiaj na pewno... To jest gdzieś na horyzoncie.

### **Przewodniczący Waldemar Kraska:**

Dziękuję bardzo, Panie Profesorze.  
Proszę.

### **Senator Tomasz Grodzki:**

Dziękuję bardzo, Panie Przewodniczący.  
Panie Ministrze! Panie Profesorze!

Z ciekawością słuchałem tego wykładu. Proszę mnie wyprowadzić z błędu, jeśli się mylę, ale pan profesor poruszył jakby 3 kwestie. Jedna to rodzaj nawigacji w leczeniu choroby Parkinsona, dość podobnej do bronchonawigacji, której używamy do szukania guzów płuc, która jest praktycznie oparta na podobnym systemie nawigacji, zaczerpniętej od armii, tyle że izraelskiej. Ale obawiam się, że za darmo tego nie oddadzą. Ale obym się mylił.

Druga kwestia to nanocząsteczki jako nośnik cytostatyku. I to chyba rzeczywiście wydaje się najłatwiejsze, bo jak pójdziemy do byle drogerii, to widzimy na kremach dla pań napisane: „nanopartykuły”, „nanocząsteczki” itd. Ta technologia, wedle mojej wiedzy, rzeczywiście nie jest aż tak kosztowna.

Trzecia kwestia to środki na leczenie tych 2 nieszczęśliwych dzieci. Pragnę pana zapewnić, odgrywając rolę senatora surowo patrzącego na delikwenta, który aplikuje o środki, że ze strony Senatu nie napotka pan na trudności, jeżeli możemy się w jakiś sposób przyczynić do pozyskania środków na leczenie tych 2 dzieci.

Pozostałe zagadnienia to, jak mówił pan minister i moi szanowni przedmówcy, jakby inny problem finansowy.

Gratuluję. Ma pan moje poparcie we wszystkich tych 3 inicjatywach.

### **Przewodniczący Waldemar Kraska:**

Dziękuję bardzo.  
Proszę bardzo.

**Kliniczny Koordynator  
Oddziału Neurochirurgii  
w Mazowieckim Szpitalu Bródnowskim  
Miroslaw Ząbek:**

Bardzo dziękuję.

To wielka przyjemność to słyszeć. To właśnie był cel tego spotkania – żebyśmy powiedzieli tu, w tym najważniejszym miejscu, o projekcie. Na pewno będziemy informowali na bieżąco pana przewodniczącego i oczywiście ministerstwo o tym, co się w tej sprawie wydarzy. A wierzę, że to już zaczęło się toczyć jak mała kulka śniegowa, która będzie się robiła coraz większa i będzie się toczyła szybciej, dla wspólnego dobra, zwłaszcza dobra chorych.

**Przewodniczący Waldemar Kraska:**

Dziękuję bardzo.

Czy jeszcze ktoś z państwa senatorów chce zabrać głos? Nie.

Będziemy powoli, Panie Profesorze, Panie Ministrze, zmierzali ku końcowi naszego posiedzenia. Myślę, że to fajnie, że taki temat został wybrany, że możemy mówić o czymś, co może postawić nasz kraj w czołówce w pewnych technologiach medycznych.

Ja też oczywiście dziękuję panu profesorowi, że osobiście się w to zaangażował, aczkolwiek myślę, że poświęca na to troszkę za dużo pan czasu. Pan jest su-

perspecjalistą, jeżeli chodzi o neurochirurgię, więc mam nadzieję, że ministerstwo troszkę pana odciąży i że jeżeli chodzi o pewne ramy, szczególnie prawne, to znajdzie pan pomoc w ministerstwie, ponieważ nie chciałbym, żeby... Pewne projekty, które pojawiają się w naszym kraju, po jakimś czasie po prostu umierają z powodu pewnej niemocy, która zaczyna nas dotykać, ponieważ piętrzą się bariery biurokratyczne. W tym przypadku sprawa będzie dotykała wielu ministerstw, więc nie będzie to wcale takie łatwe. Ale myślę, że to, że dzisiaj mieliśmy szansę zapoznać się z tym projektem, że wszystkie głosy były na tak... Chodzi głównie o pacjentów, którzy mają szansę pozyskania tej nowej technologii i trwałego wyzdrowienia.

A może też dojść do tego, że nasze państwo będzie miało wymierną korzyść materialną z tego, że będziemy jedynymi w Europie, którzy tę technologię wprowadzą, i będziemy mogli korzystać z tego w sposób typowo finansowy, komercyjny.

Panie Profesorze i Panie Ministrze, panowie będziecie w kontakcie, a my, jako senacka Komisja Zdrowia, będziemy się interesowali tym, jak będzie dalej przebiegała realizacja tego projektu. Oczywiście deklarujemy też naszą dalszą pomoc, jeżeli takowa będzie potrzebna.

Dziękuję bardzo.

Zamykam posiedzenie senackiej Komisji Zdrowia.

Dziękuję.

*(Koniec posiedzenia o godzinie 14 minut 30)*

Kancelaria Senatu

Opracowanie:

Biuro Prac Senackich, Dział Stenogramów

Druk i łamanie: Biuro Informatyki, Dział Edycji i Poligrafii