

Forum onkologů 22.4.24 – dětská onkologie

Jaroslav Štěřba

KDO FN Brno a LF MU Brno

Předseda Pediatricko – onkologické sekce ČOS

Celkové přežití ČR děti 0–19 let

Přežití

Dle roku

Dle pohlaví

Dle věku

Dle typu nádoru

Mezinárodní srovnání

Typ zhoubného nádoru

Všechny diagnózy ICC

Pohlaví

Obě

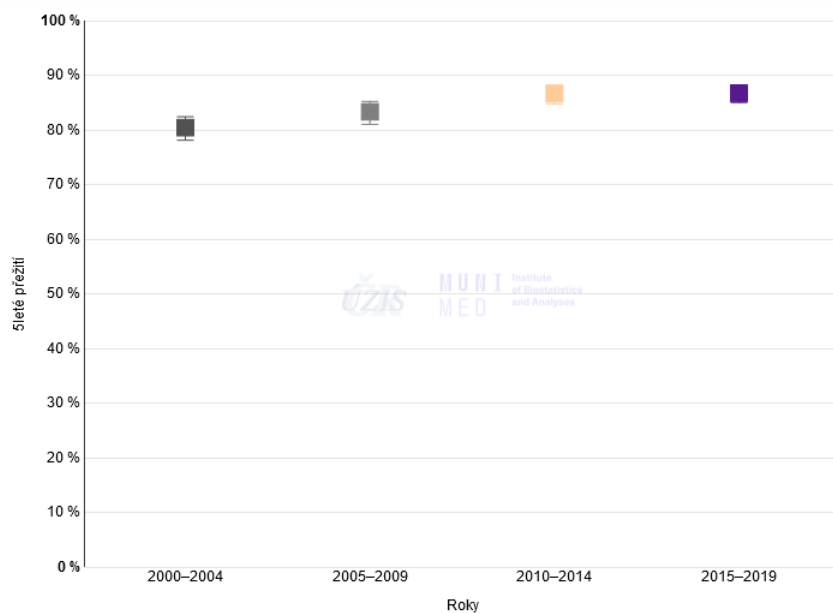
Věk

0–19

Rozsah

Resetovat filtry

Průvodce



Nastavení analýzy

Sloučit roky?

Výpočetní metoda

5leté přežití

Srovnání se zahraničím:
zvolte státy

Typ pohledu

Graf

Tabulka

Report

Exportovat graf

Uložit jako obrázek

Přežití

Dle roku

Dle pohlaví

Dle věku

Dle typu nádoru

Mezinárodní srovnání

Typ zhoubného nádoru

Všechny diagnózy ICC

Pohlaví

Obě

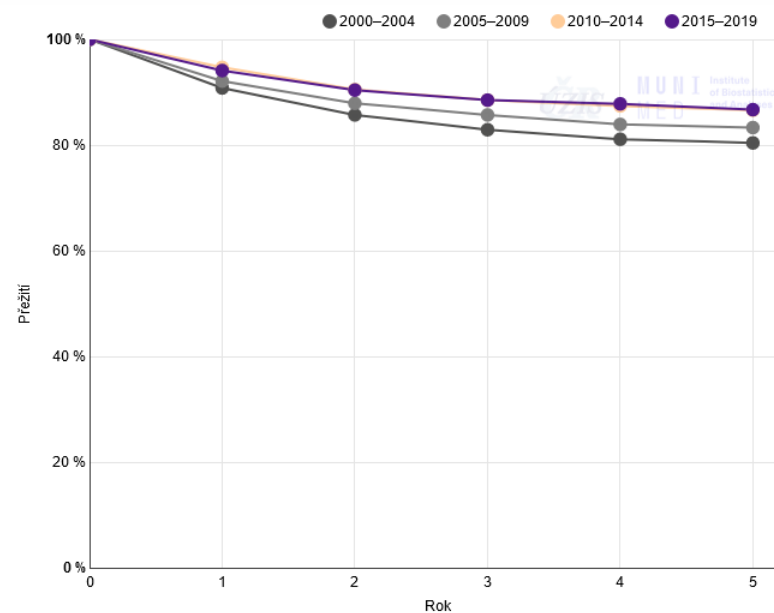
Věk

0–19

Rozsah

Resetovat filtry

Průvodce



Nastavení analýzy

Sloučit roky?

Výpočetní metoda

1, 2, 3, 4, 5leté přežití

Srovnání se zahraničím:
zvolte státy

Typ pohledu

Graf

Tabulka

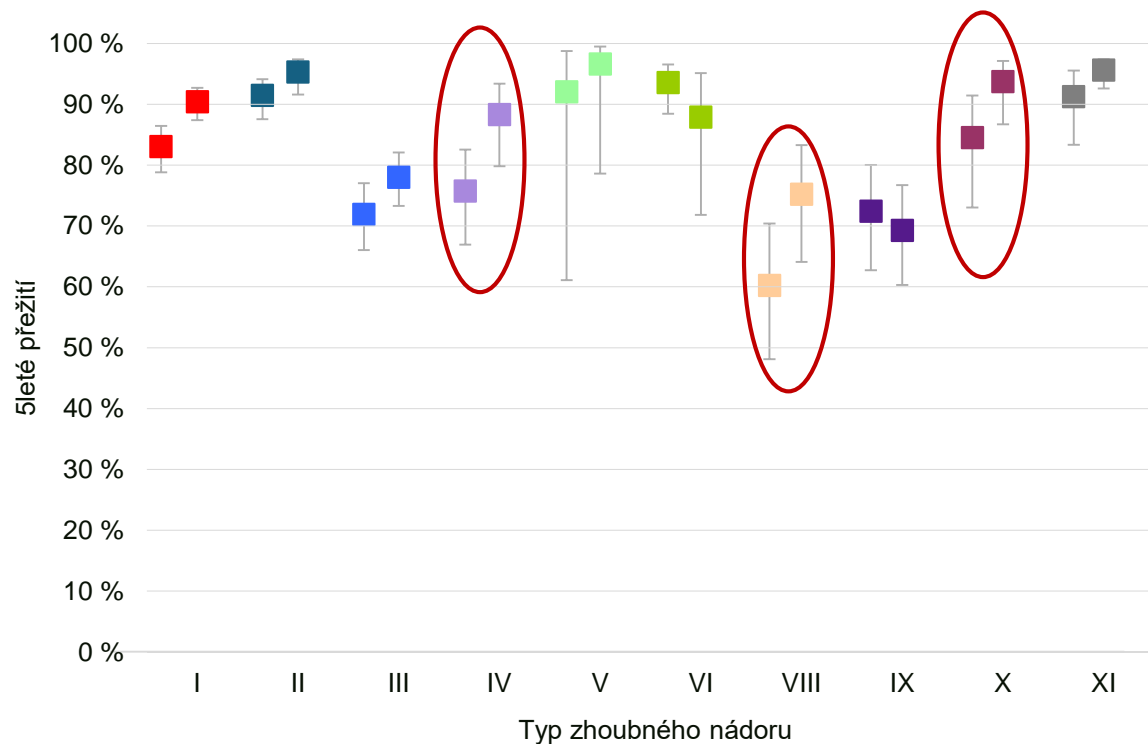
Report

Exportovat graf

Uložit jako obrázek

Zhoubné nádory (ICCC I–XII): 5y OS 80,4 % for 2000–2004 vs. 86,7 % for 2015–2019.

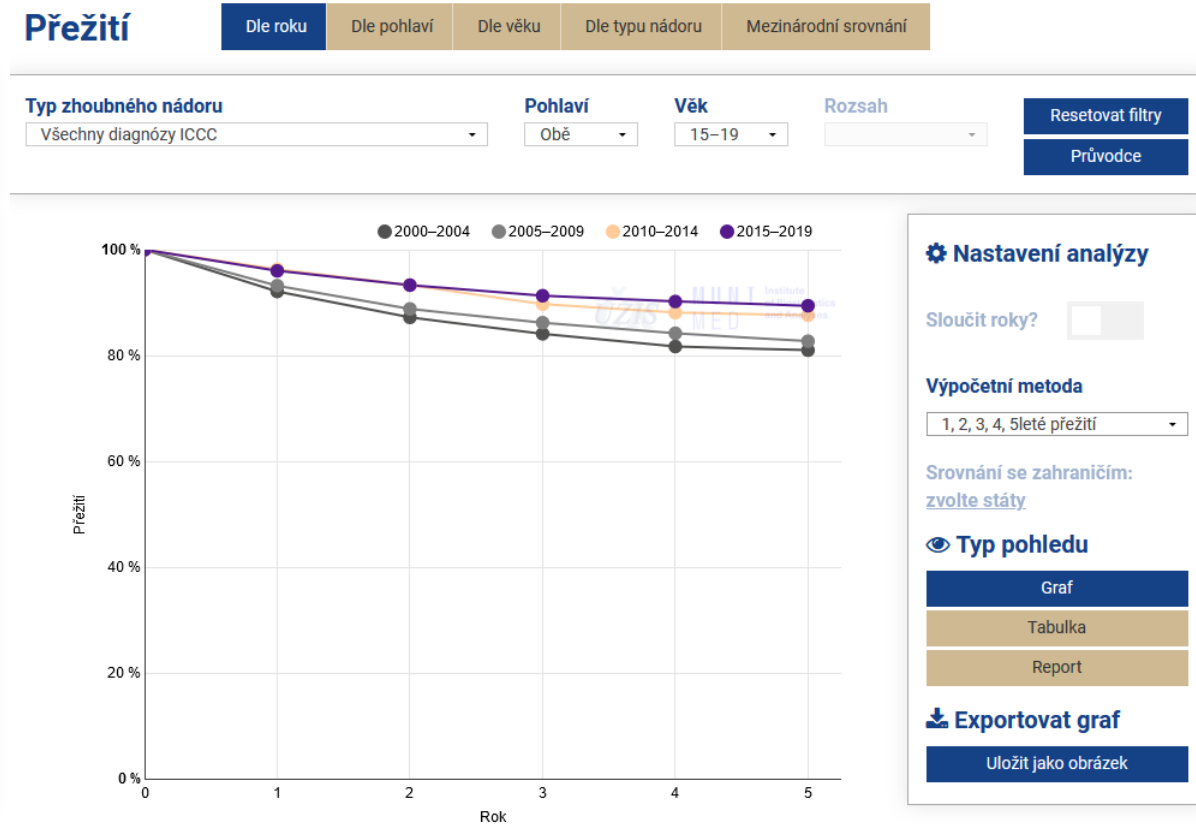
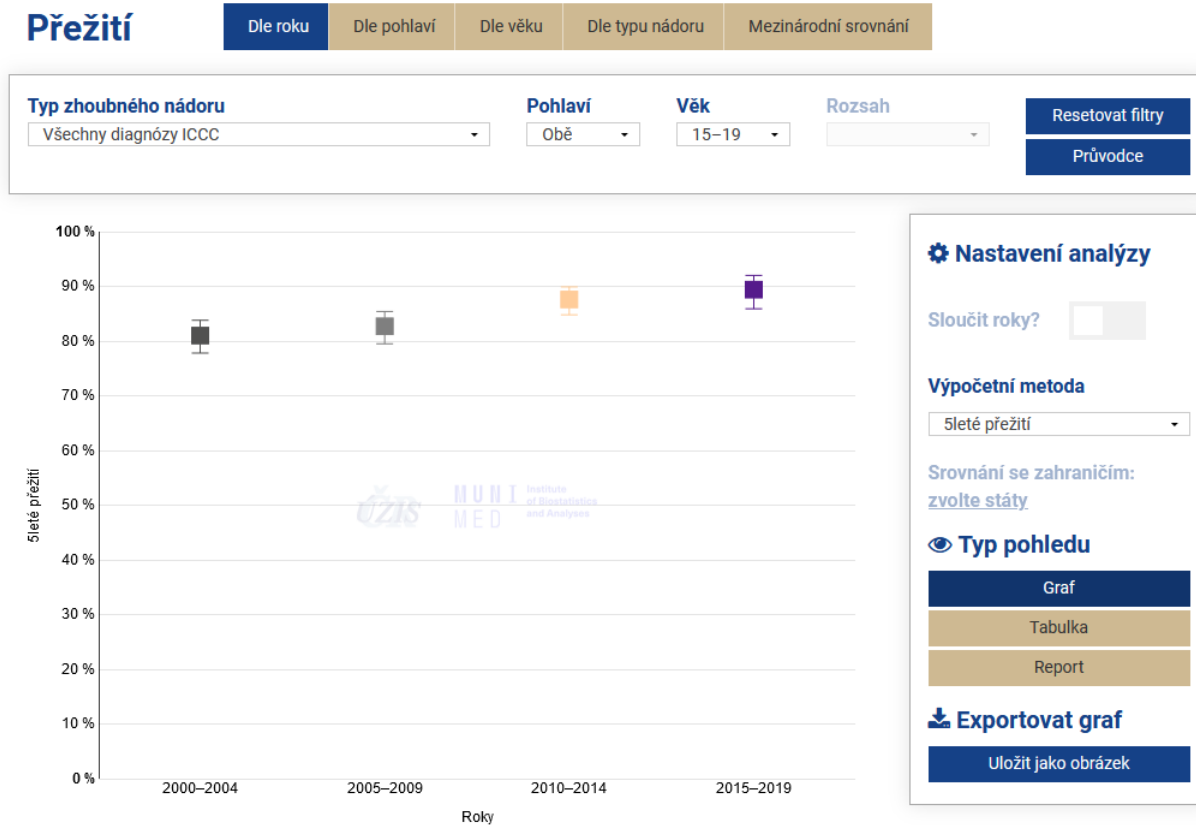
Trends in OS 0–19 y



5leté přežití, % (95 % IS)	2000–2004	2015–2019	% změna
Zhoubné nádory (ICCC I–XII)	80,4 (78,1; 82,4)	86,7 (85,0; 88,2)	+6,3
I. Leukemie	82,9 (78,7; 86,3)	90,4 (87,4; 92,7)	+7,5
II. Lymfomy	91,3 (87,4; 94)	95,3 (91,6; 97,4)	+4,0
III. Nádory CNS	71,8 (65,9; 76,9)	78 (73,3; 82,1)	+6,2
IV. Neuroblastom a jiné nádory buněk periférních nervů	75,6 (66,8; 82,4)	88,3 (79,8; 93,4)	+12,7
V. Retinoblastom	91,9 (61; 98,6)	96,6 (78,6; 99,5)	+4,7
VI. Nádory ledvin	93,4 (88,3; 96,4)	87,9 (71,8; 95,1)	-5,5
VIII. Maligní nádory kostí	60,1 (48; 70,3)	75,2 (64,1; 83,3)	+15,1
IX. Sarkomy měkkých tkání	72,3 (62,6; 79,9)	69,3 (60,3; 76,7)	-3,0
X. Nádory ze zárodečných buněk	84,4 (72,9; 91,3)	93,7 (86,7; 97,1)	+9,3
XI. Jiné maligní epiteliální novotvary a maligní melanomy	91,1 (83,2; 95,4)	95,6 (92,6; 97,4)	+4,5

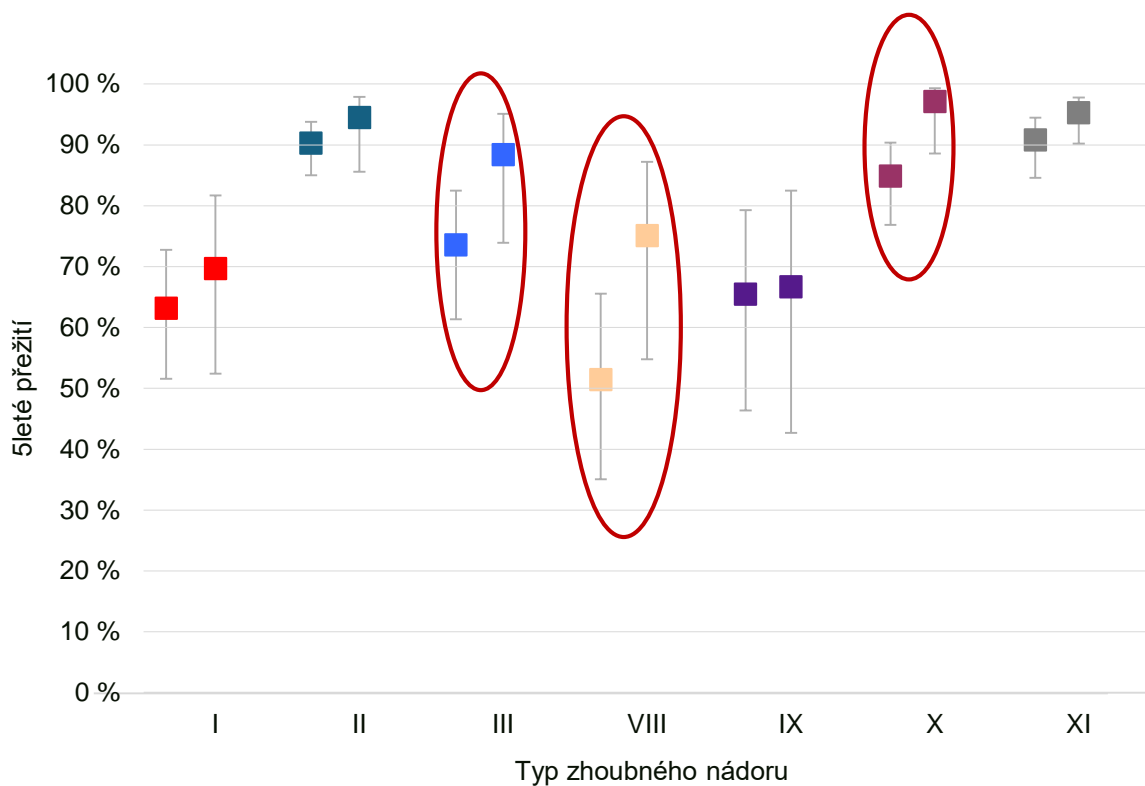
Best survival increment – NBL, bone tumors and GCT.

Trends in OS for adolescents 15–19 y



All malignant tumors (ICCC I–XII): 5y OS 81,0 % for period 2000–2004 vs. 89,4 % for 2015–2019.

Trends in OS for adolescents 15–19 y



5leté přežití, % (95 % IS)	2002–2006	2012–2016	% změna
Zhoubné nádory (ICCC I–XII)	81,0 (77,8; 83,8)	89,4 (85,9; 92,0)	+8,4
I. Leukemie	63,2 (51,6; 72,8)	69,7 (52,4; 81,7)	+6,5
II. Lymfomy	90,3 (85; 93,8)	94,5 (85,6; 97,9)	+4,2
III. Nádory CNS	73,6 (61,4; 82,5)	88,4 (73,9; 95,1)	+14,8
VIII. Maligní nádory kostí	51,5 (35,1; 65,6)	75,1 (54,8; 87,2)	+23,6
IX. Sarkomy měkkých tkání	65,5 (46,4; 79,3)	66,7 (42,7; 82,5)	+1,2
X. Nádory ze zárodečných buněk	84,9 (76,9; 90,4)	97,1 (88,6; 99,3)	+12,2
XI. Jiné maligní epiteliální novotvary a maligní melanomy	90,8 (84,6; 94,5)	95,3 (90,2; 97,8)	+4,5

Highest gain in OS in CNS tu, malignant bone tu and GCTs

OS, EFS – na úrovni světové špičky – chceme/můžeme takovou péči i nadále nabízet dětem v ČR?

- Zlepšení přežití - především díky off label léčbě... často v kombinacích
- U těchto léků a kombinací známe dávkování, i v kombinacích, jsou většinou podávány na základě individuálně stanovené biologie nádoru a nositele- tedy pacienta, ale formální studie na to nejsou a hlavně nikdy nebudou s ohledem na malé počty pacientů, tedy malý trh pro firmy.
- Nákladově par. 16: zanedbatelné
 - FN Brno cca 50 mil/rok
 - FN Motol cca 100 mil/rok, ale dět. onkologie cca 50% všech žádostí o par. 16 v těchto nemocnicích

Současná léková regulace a děti se vzácnými onemocněními???



...původně zavedena s cílem chránit veřejnost před nežádoucími účinky léků – thalidomide – a před nepodloženými údaji o efektivitě.... – ivermektin...

Bohužel, v průběhu času vývoj ve velmi rigidní strukturu, která sice funguje na hypertenzi, diabetes, cholesterol a podobné, ale je zcela nepružná a nevhodná k hodnocení „tzv. biologik“ a zejména jejich kombinací.

Základní předpoklad – každý pokročilý nádor je velmi komplikovaný a unikátní...

Každý pacient potřebuje individuálně stanovený léčebný plán??

V onkologii máme 300 účinných léků, počet kombinací 2 z nich je 45 000

Počet různých kombinací 3 z nich je více než 4 miliony....

Testování všech kombinací standardním oficiálním způsobem??

Nereálné... selský rozum? Raději léčíme průměrného Američana/Evropana...



NIH Public Access
Author Manuscript

Oncoscience. Author manuscript; available in PMC 2014 August 11.

Published in final edited form as:
Oncoscience. ; 1(2): 167–179.

Theranostic Profiling for Actionable Aberrations in Advanced High Risk Osteosarcoma with Aggressive Biology Reveals High Molecular Diversity: The Human Fingerprint Hypothesis

Sterba et.al. (Oncotarget, 2016)

Perspectives

Patient centric??

Perspectives

Disease Centric

Drug Centric

Snaha o registraci jejich léku...

Řešení na úrovni EU? PDCO Ema??

Hodnotí pediatric investigation plans - předkládá výrobce – firma... univerzity...

Ale EMA je pouze v reaktivním módu! Firmu nelze donutit, aby zkoušela svůj lék pro jinou diagnosu, než to dělá u dospělých

EMA schvaluje kvalitu pediatrických studií

Ale děti – jsou malé, je jich málo, malý trh...

Nejsou studie...? Pak není registrace EU!

Není registrace?? Není ani úhrada

Par. 16? Jediná možnost léčby... musí být prokázána bezpečnost a účinnost...

Ale jak když nejsou studie??? Za financování zdravotnictví odpovídají národní státy, ne EU.

Sbírky? Zoufalí lidé dělají zoufalé věci...

Možnosti řešení v ČR?

1. nejlepší - dopsat do § 15 (5) ZVZP, že péče poskytovaná v oborech dětské onkologie a hematoonkologie je plně hrazená (jako mimotělní oplodnění) a dále do Úhradové vyhlášky na tohle navázat obdobným ustanovením v příloze č. 1, nebo 12 (ta je i pro LP podané za hospitalizace). Pak by se nemusely psát ty žádanky na § 16...
2. horší, jen návrat do doby cca 10 let zpět - z ustanovení § 16 škrtnou onu podmínku "ve výjimečných případech,..". Pak by opět mohli plátcí s odb. společnostmi sepsat "společná stanoviska". Audit na VZP tato stanoviska kritizoval právě proto, že když je v § 16 podmínka "výjimečnosti", nelze dopředu definovat, koho se má týkat. Logické... Tedy když zůstane jen "medicínská" podmínka "jediná možná z hlediska zdravotního stavu", tak to definovat lze, neb zdravotní stav lze parametricky předvídat. Opět by se muselo navázat Uhr.Vyhl., kde by byl v příloze č. 1 odstavec že se tyto hradí výkonově, nebo opět dopsat řádek do tabulky č. 2.2.2, jako to měla CF nebo SMA.
3. minimalistická varianta - jen novela UhrVyhl, buď doplnění pediatrie do odstavce kde je již CF a SMA, nebo ten řádek do tabulek.