

BULLETIN



NOVINKY SPRÁVNEJ RADY MPE

STRETNUTIA SPRÁVNEJ RADY:

Ostatné stretnutie Správnej rady sa uskutočnilo 2. júla 2013 v Bruseli. Nasledujúce stretnutie prebehne 21. septembra 2013 v Madride.

PODUJATIA MASTERCLASS A WEBINARE:

Správna rada rozhodla, že vzdelávacie programy MPE v nasledujúcom roku budú pozostávať z podujatia Masterclass a štyroch webinarov (vzdelávacích seminárov realizovaných prostredníctvom internetu). Zvýšenie počtu webinarov bolo motivované snahou zapojiť do našich vzdelávacích programov čo najväčšie množstvo členov, keďže webinare sú najlacnejším spôsobom, ako to dosiahnuť.

WEBOVÁ STRÁNKA:

Správna rada súhlasila vyčleniť ďalšie finančné prostriedky na vývoj a zlepšovanie webovej stránky MPE, ktorá by sa tak mala stať atraktívnejšou a užitočnejšou pre našich členov. Táto otázka bude diskutovaná aj na zasadnutí Správnej rady v septembri, v druhej polovici roka plánujeme podniknúť potrebné kroky na realizáciu vylepšení.

NOVINKY Z MPE

SPRÁVA MPE O PERSPEKTÍVACH PACIENTOV S MYELÓMOM

S radosťou oznamujeme, že Správa je vydaná a bola predstavená na EHA. Taktiež je už hotový Sumár najdôležitejších informácií Správy.

Správu sme rozposlali kľúčovým subjektom podieľajúcim sa na liečbe myelómu, vrátane poslancov Európskeho parlamentu a tvorcov verejnej mienky na úrovni EÚ, ako aj médiám. Členom MPE čoskoro zašleme návod ako Správu používať a implementovať v ich krajinách. Ako už viete, Správa objasňuje perspektívy pacientov pri aktuálne používanej liečbe a starostlivosti v rámci Európy a úlohu pacientov v budúcom výskume. MPE ju vytvorila s cieľom zosumarizovať množstvo komplexných problémov, ktorým čelia pacienti s myelómom a poskytnúť patientskym organizáciám kľúčové odporúčania, aby mohli presadiť zmenu nevyhnutnú tak v ich krajinách, ako aj v celej Európe na zlepšenie vyhliadok pri myelóme.

Tieto odporúčania sú dané v piatich kritických oblastiach zlepšenia dostupnosti liečby, lepšieho zapojenia pacientov do výskumu, účinnejšieho porozumenia potrebám pacientov a skvalitnenia ich účasti na prijímaní rozhodnutí, ktoré ich priamo ovplyvňujú. Správa volá po zabezpečení rovnocenného postavenia pacientov ako partnerov vo výskume a vytvorení garancie rešpektovania postojov pacientov pri tvorbe oficiálnych politík, ktoré sa ich dotýkajú.

V nasledujúcich mesiacoch MPE začne pracovať na vytvorení stratégie implementácie Správy. Táto stratégia by mala poskytnúť našim členom praktický návod na používanie Správy a presadenie jej odporúčaní v krajine, kde pôsobia. Ako už bolo spomenuté v ostatnom Buletine, MPE tiež plánuje každý rok pripraviť štúdiu o dopade Správy a o pokroku v jej zavádzaní jednotlivými členmi.

Ďakujeme všetkým, ktorí umožnili vznik tejto cennej publikácie.

SUMÁR STRATEGICKÉHO PLÁNU MPE

Strategický plán MPE na roky 2013-2018 sme prezentovali na podujatí AGM konanom 14. apríla 2013 v Madride, kde sme zaznamenali mnoho komentárov a ohlasov od našich členov.

Teraz Vám s radosťou oznamujeme, že sme vytvorili vyčerpávajúci sumár tejto stratégie, ktorý čoskoro zašleme našim členom e-mailom.

PREHĽAD AKTUÁLNYCH UDALOSTÍ

7. DEŇ PRÁV PACIENTOV (BRUSEL 16.05.2013)

Tento rok sa konferencia sústredila na práva "Európskych občanov": zaangažovanie pacientov a cezhraničnú starostlivosť. Štruktúra konferencie vychádzala z dvoch tém:

- **Smernica o právach pacientov pri cezhraničnej starostlivosti:** Smernica o právach pacientov pri cezhraničnej starostlivosti zakotvuje jasný právny rámec pre uplatnenie práva pacientov na zdravotnú starostlivosť v inom členskom štáte EÚ a pre refinancovanie tejto zdravotnej starostlivosti. Okrem toho je Smernica predovšetkým inovatívnym dokumentom, ktorý po prvýkrát v histórii EÚ deklaruje existenciu práv pacientov v EÚ, akými sú právo na slobodnú voľbu, právo na informácie, právo na kvalitnú starostlivosť a pod.

Konferencia je súčasťou procesu zameraného na podporu participácie občianskych organizácií na transpozícii Smernice v každom členskom štáte, jej sústreďenia na potreby občana a úspešnej implementácie. Táto stratégia, ktorú ACN oficiálne oznámilo pri príležitosti konania konferencie, bude v celej EÚ slávnostne prezentovaná 25. októbra 2013. Oslavy budú príležitosťou pre všetky patientske a občianske organizácie informovať občanov krajín EÚ o tom, čo už sa podniklo, a čo je ešte nevyhnutné podniknúť na to, aby sa práva garantované Smernicou stali skutočnosťou.

- **Zaangažovanie pacientov:** V rámci tejto časti konferencie bolo konštatované, že zapojenie pacientov a participácia obyvateľov by sa mali stať kľúčovou stratégiou systémov zdravotnej starostlivosti v Európe. Napriek všeobecnému konsenzu o potrebe zaangažovania obyvateľov, neexistuje v tejto veci žiaden spoločný záväzok tento cieľ realizovať, či už na európskej alebo národnej úrovni.

Na konferencii bol predstavený prehľad situácie v Európe (právne predpisy, skúsenosti, prekážky, osvedčené postupy) vytvorený s ohľadom na najdôležitejšie oblasti účasti pacientov (vytváranie agendy, prijímanie rozhodnutí, implementácia, hodnotenie a pod.). Prehľad sa sústredil na politiky participácie v oblasti starostlivosti o pacientov s rakovinou, kde je prístup k inovatívnej a personalizovanej liečbe obzvlášť dôležitý.

VÝROČNÉ STRETNUTIE ČLENOV EURORDIS (DUBROVNIK 30.05-01.06.2013)

Viac ako 200 účastníkov z viac ako 30 krajín diskutovalo širokú škálu otázok od financovania po tvorbu národných plánov boja proti zriedkavým chorobám, tzv. off-label použitie liekov, skrining novorodencov a genetické testy, stratégie a nástroje na zlepšenie prístupu pacientov k liekom na zriedkavé choroby, registrom, európskym referenčným sieťam, expertným centrámi a špecializovaným sociálnym službám. Viac informácií o týchto témach je dostupných na www.eurordis.org.



Prezentácie detailne skúmali jednotlivé témy, pričom vyvolali bohatú diskusiu medzi účastníkmi, ktorí si tak mohli vymeniť názory na množstvo tém, ako aj poznatky potrebné na posunutie národných stratégií boja proti zriedkavým chorobám o krok vpred. Súčasťou satelitných sympózií bol aj workshop Učíme sa jeden od druhého venovaný odporúčaniam v oblasti sociálnych médií a obzvlášť oceňované patientske fórum.

Počas konferencie prebehlo aj Valné zhromaždenie EURORDIS.

Delegáti z MPE, Myeloma Euronet Rumunsko a Mijelom CRO(Chorvátsko) na stretnutí členov EURORDIS 2013

EHA 2013 (ŠTOKHOLM 13-16.06.2013)

Na EHA 2013 sa zúčastnili štyria členovia Správnej rady MPE. Absolvovali sme množstvo stretnutí so sponzormi, médiami a rôznymi subjektami účastnými v liečbe myelómu. MPE tiež mala na podujatí vlastný stánok, kde sme rozdávali výtlačky našich najnovších publikácií. Najdôležitejšie informácie z EHA 2013 sú dostupné na našej web stránke (www.myelomapatientseurope.org) v sekcii venovanej prvému webinaru MPE o novinkách o myelóme z EHA 2013. Okrem toho pripravujeme správu o konferencii EHA, ktorá bude dostupná koncom leta.

CELGENE PARTNERI PRE POKROK (BRUSEL 2-3.06.2013)

Workshop Myeloma Patients Europe, venovaný najdôležitejším organizačným záležitostiam, aktivitám a plánom MPE, bol jednou z mnohých aktivít a debát uskutočnených počas tohto dvojdnového stretnutia.

Zhruba polovica účastníkov boli členovia MPE, druhú polovicu tvorili ľudia, ktorí nás chceli lepšie spoznať. Ohlasy sú zatiaľ veľmi pozitívne a sme veľmi vďační za túto príležitosť predstaviť MPE a naše projekty. Ďakujeme spoločnosti Celgene za to, že nám poskytla priestor na prezentáciu MPE.

PRVÝ MPE WEBINAR O NOVINKÁCH O MYELÓME Z EHA (09.07.2013)

Náš prvý webinar (seminár realizovaný prostredníctvom internetu) umožnil našim členom dozvedieť sa o najdôležitejších novinkách v oblasti myelómu prezentovaných na EHA. Tieto informácie boli sprostredkované špecialistkou, ktorej mohli členovia zároveň klásť otázky. Webinar bol vedený v angličtine. Napriek niekoľkým neočakávaným technickým problémom, ohlasy na obsah webinaru a prednášajúcu boli mimoriadne pozitívne. Prednášajúcou bola Dr Faith Davies, ktorá je členkou Fakulty na Institute of Cancer Research (Inštitút pre výskum rakoviny) v Londýne a hematologičkou v londýnskej nemocnici The Royal Marsden. Sme jej veľmi vďační za podporu a za úžasnú prezentáciu. Prezentácia a záznamy z webinaru budú čoskoro prístupné na web stránke MPE. Radi by sme, aby webinare MPE boli pre našich členov čo najzaujímavejšie a najužitočnejšie. Preto preto prosíme tých z Vás, ktorí sa webinaru zúčastnili, aby nám poskytli spätnú väzbu, ktorú využijeme pri príprave ďalších takýchto akcií

BLÍŽIACE SA PODUJATIA

ECCO/ESMO (AMSTERDAM 27.09 – 01.10.2013)

MPE bude na tohtoročnom kongrese ECCO zastupovať minimálne jeden z členov Správnej rady a zamestnancov. Tiež sme si rezervovali stánok na prezentáciu MPE a našich najnovších publikácií. Ak sa mienite zúčastniť na kongrese ECCO ako zástupca niektorého z našich členov, prosím dajte nám vedieť, či by ste boli ochotní venovať niekoľko hodín Vášho času na dobrovoľnícku prácu v stánku MPE. V prípade, že Vás táto možnosť zaujala, kontaktujte nás na mailovej adrese plate@mpeurope.org

NOVINKY O MYELÓME

ŠTÚDIA FÁZY III ORÁLNE PODÁVANÉHO REVLIMIDU® (LENALIDOMIDE) U NOVODIAGNOSTIKOVANÉHO MM SPLNILA SVOJ PRIMÁRNY CIEĽ

Vo štvrtok 11. júla 2013, spoločnosť Celgene International oznámila, že štúdia fázy III REVLIMID® (lenalidomide) v kombinácii s dexametazónom u novo diagnostikovaných pacientov s myelómom splnila svoj primárny cieľ spočívajúci v určení hodnoty prežitia bez progresu choroby (progression-free survival - PFS).

V tejto štúdii, dvojkombinácia nepretržite podávaného lenalidomidu v spojení s nízkymi dávkami dexametazónu (Rd) viedla k výraznému zlepšeniu PFS v porovnaní s pacientami v druhej vetve, liečenými trojkombináciou melphalanu, prednisonu a thalidomidu (MPT).

Fáza III štúdie je jednou z najväčších viac vetvových medzinárodných štúdií novodiagnostikovaných myelómov. Zúčastnilo sa na nej 1623 pacientov, pre ktorých nebola vhodná vysoko dávkovaná liečba a autológna transplantácia kmeňových buniek. Pacienti boli rozdelení – liečbou bol buď lenalidomid v kombinácii s nízkymi dávkami dexametazónu podávaný orálnou formou kontinuálne až do postupu choroby; lenalidomid s nízkymi dávkami dexametazónu podávaný v osemnástich 28-dňových cykloch (72 týždňov), alebo melphalan, prednison a thalidomid v najviac dvanástich 42-dňových cykloch (72 týždňov).

Primárnym cieľom štúdie bolo určenie hodnoty PFS. Sekundárne ciele spočívali v zistení celkového prežitia, percenta odpovedí na liečbu, kvality života a bezpečnosti.

Hodnotenie bezpečnosti a účinnosti v jednotlivých skupinách stále prebieha, výsledky štúdie by mali byť zverejnené na nasledujúcej medicínskej konferencii. Spoločnosť Celgene plánuje na základe týchto výsledkov zahájiť jednanie s regulačnými orgánmi a stanoviť dávky liečby pre registráciu v USA, Európe a na ďalších trhoch.

Popísané závery vyplývajú zo výskumnej štúdie fázy III. REVLIMID nie je v žiadnej krajine schválený na liečbu novodiagnostikovaných pacientov s myelómom. Ďalšie informácie sú dostupné na <http://newsroom.celgene.com>

POZITÍVNE STANOVISKO K POUŽITIU VELCADE® AKO OPAKOVANEJ LIEČBY A PRVOLÍNIOVEJ INDUKČNEJ LIEČBY PRED TRANSPLANTÁCIOU KMEŇOVÝCH BUNIEK

28. júna 2013 spoločnosť Janssen oznámila, že Komisia pre medicínske produkty používané ľuďmi Európskej liekovej agentúry (EMA) zaujala pozitívne stanovisko k dvom variantám použitia Velcade® v liečbe myelómu. Prvou je použitie Velcade (bortezomib) ako opakovanej liečby pacientov, ktorí v minulosti reagovali na liečbu týmto liekom. Pozitívne stanovisko sa opiera o jestvujúce údaje podporujúce použitie Velcade v relabovanej patientskej populácii v Európskej únii. Toto rozhodnutie nevyžaduje dodatočné potvrdenie Európskou komisiou.

Okrem toho Komisia zverejnila pozitívne stanovisko odporúčajúce schválenie Velcade ako indukčnej liečby v kombinácii s dexametazónom (VD) alebo dexametazónom a talidomidom (VDT). Týka sa to pacientov s ešte neliečeným myelómom, pre ktorých je vhodná vysoko dávkovaná liečba a transplantácia kmeňových buniek. Toto rozhodnutie musí schváliť Európska komisia.

Velcade je indikovaný na použitie v kombinácii s melphalanom a prednisonom na liečbu myelómu u dospelých pacientov, ktorí ešte neboli liečení, no nie je pre nich vhodná vysoko dávkovaná chemoterapia a transplantácia kmeňových buniek, a taktiež bol používaný samostatne na liečbu pokročilého myelómu. Rozšírenie použitia Velcade môže viesť k výraznému zlepšeniu vyhliadok mnohých pacientov.

AKTUÁLNE PUBLIKÁCIE

EURÓPSKA ALIANCIA PERSONALIZOVANEJ MEDICÍNY/SPRÁVA ÍRSKEHO PREDSEDNÍCTVA "INOVÁCIE A DOSTUPNOSŤ PERSONALIZOVANEJ MEDICÍNY PRE PACIENTA"

Táto správa sumarizuje niektoré z aktuálnych udalostí a poznatkov. Obsahuje príspevky kompetentných subjektov a závery konferencie "Inovácie a dostupnosť personalizovanej medicíny pre pacienta", konanej 21. – 22. marca 2013 v Dubline pod záštitou írskoho predsedníctva EÚ. Správa zdôrazňuje, že na uskutočnenie potrebných zmien je nevyhnutná včasná zapojenie výskumníkov, pacientov, tvorcov politík, regulačných orgánov a financujúcich subjektov. Úplné znenie Správy je dostupné na <http://euapm.eu/>

NOVÁ PUBLIKÁCIA O GENETICKEJ A MOLEKULÁRNEJ EPIDEMIOLOGII MNOHOPOČETNÉHO MYELÓMU

Lentzsch, Suzanne

- Vysvetľuje úlohu translácie proteínov pri myelóme
- Predstavuje umlčanie epigenetického génu ako nový cieľ pri zvládaní myelómu
- Skúma možnosti kontroly bunkového cyklu diferenciácie plazmatických buniek

Táto výnimočná publikácia napísaná medzinárodnou skupinou expertov prináša nové poznatky od základnej patogenézy až po klinické aspekty myelómu.

Kniha obsahuje vyčerpávajúci prehľad genetickej a molekulárnej epidemiológie myelómu, čím umožňuje určitejšie a presvedčivejšie porozumenie tejto chorobe.

Venuje sa charakteristike rozličných myelómových entít z hľadiska genomiky a proteomiky, možnostiam novej liečby myelómu zameranej na transláciu proteínov, kontrole bunkového cyklu diferenciácie plazmatických buniek úlohu choroby kostí v patogenéze myelómu, ako aj molekulárnej interakcii myelómu s mikrop prostredím.

POKROKY V BIOLÓGII A LIEČBE MNOHOPOČETNÉHO MYELÓMU

Munshi, Nikhil C.; Anderson, Kenneth C. (Eds.)

- Sústreďí sa na biológiu MM, najmä na onkogenomické zmeny, spôsoby bunkovej signalizácie a molekuly, ktoré sú skúmané v rámci vývoja nových
- Popisuje všetky klinicky dôležité ciele vrátane tých, ktoré majú buď terapeutický alebo prognostický význam
- Oboznamuje s významom nových objavov a informácií s dôrazom na vedecký základ, ako aj klinický význam.

Napriek pokrokom v konvenčnej liečbe a novým liekom, myelóm zostáva nevyliciteľným. Na prekonanie rezistencie na dostupnú liečbu a zlepšenie vyhládok pacientov sú vyvíjané nové liečby s biologickým základom.

Aktuálny výskum v oblasti myelómu sa sústreďí na liečebné kombinácie s molekulárnym základom, ktoré sú veľkým prísľubom pre dosiahnutie vysokej frekvencie a trvania odpovedí na liečbu u väčšiny pacientov.

Tento cieľ sa stáva možným vďaka dvom veľkým pokrokom. Prvým sú súčasné zlepšenia genomiky a proteomiky myelómu, umožňujúce lepšie porozumenie patogenéze ochorenia, určenie nových terapeutických cieľov, poskytujúce vedecký základ pre kombinovanie cielených liečob zvyšujúcich cytotoxicitu nádorových buniek a prekonávajúcich rezistenciu na lieky.

Druhým je lepšie pochopenie toho, ako adhézia myelómových buniek v kostnej dreni ovplyvňuje génovú expresiu myelómových buniek. Výsledkom týchto objavov v onkogenomike je na jednej strane zlepšené

porozumenie úlohy kostnej drene v patogenéze myelómu a na druhej strane nová liečebná paradigma zasahujúca myelómovú bunku a jej mikroprostredie v kostnej dreni, čím umožňuje prekonať rezistenciu na liečbu a zlepšiť perspektívu pacientov.

Thalidomid, lenalidomid a bortezomib sú lieky, ktoré zasahujú rakovinovú bunku v jej mikroprostredí, tak v laboratóriu, ako aj na zvieratách, a ktoré rýchlo našli svoju cestu z laboratória k lôžku pacienta.

Úsilie sa koncentruje na využitie onkogenomických štúdií a štúdií bunkovej signalizácie na určenie novej generácie liečby myelómu na jednej strane, a na navrhovanie štúdií kombinácií liekov na strane druhej. Táto nová paradigma na prekonanie rezistencie na lieky a zlepšenie vyhliadok pacientov s myelómom je veľkým prísľubom nielen z hľadiska zmeny prirodzeného vývoja myelómu, ale tiež ako sľubný model cielenej liečby zameranej na zlepšenie vyhliadok pacientov s myelómom.