



BIULETYN INFORMACYJNY

Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię

NR 2 (36)

LATO 2010

Rozpoczynamy ten numer od krótkiej relacji z konferencji związanej z Dniem Chorych na Hemofilię [1, 2]. Szczególnie miło mi, że możemy napisać o wręczeniu Orderu Uśmiechu aktualnemu prezesowi naszego Stowarzyszenia, Bogdanowi Gajewskiemu. Powód tej radości jest podwójny. Po pierwsze, to uhonorowanie działalności na rzecz chorych na hemofilię, zwłaszcza dzieci, której nasz Prezes poświęca się z wielkim oddaniem. Po drugie, nasze Stowarzyszenie jest jedną z bardzo nielicznych polskich organizacji społecznych (a może jedyną?), która ma w swoim gronie trzech kawalerów tego wspianego Orderu.

Fachowe grono medyczne przygotowało dla nas materiały poświęcone inhibitorom [4], zasadom podawania i przechowywania czynników krzepnięcia [5], a także planom zabiegów ortopedycznych przewidywanych w najbliższej przyszłości w Krakowie [8].

Warto także zapoznać się z artykułami zaczerpniętymi z ciekawej publikacji kanadyjskiej, czasopisma „Hemophilia Today”, m.in. o problemach starzenia się z hemofilią [6], perspektywach leczenia hemofilii [7] i o kanadyjskich odszkodowaniach dla osób zakażonych przez krew lub produkty krwiopochodne [10]. Jest też o naukowej rewelacji dotyczącej szczegółów „królewskiej choroby” [11].

Miły jubileusz 60-lecia Kliniki Hematologii Collegium Medicum Uniwersytetu Jagiellońskiego przybliży relacja kolegów z Krakowa [9]

Adam Sumera

[1] DZIEŃ CHORYCH NA HEMOFILIĘ

Dramatyczne wypadki 10 kwietnia i okres żałoby narodowej po katastrofie samolotowej sprawiły, że Dzień Chorych na Hemofilię, przypadający 17 kwietnia, był w tym roku obchodzony w naszym kraju z opóźnieniem. 18 maja br. w Warszawie odbyła się konferencja pod hasłem „Choroba królów, czyli przełamywanie mitów o hemofilii”. W konferencji wzięli udział znani nam wszystkim eksperci w dziedzinie hemofilii – doc. Anna Klukowska, doc. Jerzy Windyga, doc. Jarosław Peregud-Pogorzelski – oraz dr Piotr Żbikowski, specjalista ortopedii i traumatologii narządu ruchu z Centralnego Szpitala Klinicznego MSWiA w Warszawie. Zaproszeni byli również przedstawiciele Ministerstwa Zdrowia, Narodowego Funduszu Zdrowia i Narodowego Centrum Krwi. Na spotkanie licznie przybyli dziennikarze.

Podczas konferencji przedstawiono krótki film o chorych na hemofilię, którzy – wbrew stereotypom – żyją aktywnie. Mówiono także o szansach na operacje ortopedyczne, które przywracają sprawność – chodzi tu o operacje wszczepienia endoprotez, zabiegi, z których wykonywaniem było w ostatnim czasie wiele problemów, nie wynikających wcale z powodów natury medycznej. Sporo uwagi poświęcono również roli rehabilitacji i sportu w życiu osób chorych na hemofilię.

Ważną częścią konferencji była uroczystość wręczenia Orderu Uśmiechu kol. Bogdanowi Gajewskiemu. Szerzej piszemy o tym poniżej.

(as)

[2] ORDER UŚMIECHU DLA BOGDANA GAJEWSKIEGO

Podczas konferencji prasowej z okazji światowego Dnia Chorych na Hemofilię, która odbyła się w Warszawie 18 maja 2010 r., Bogdan Gajewski, prezes Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię, otrzymał Order Uśmiechu.

Order Uśmiechu to jedyne na świecie odznaczenie nadawane dorosłym przez dzieci – za okazywane im serce, przyjaźń, dobroć i cierpliwość.

Kandydaturę Bogdana Gajewskiego zgłosiły dzieci i młodzież chore na hemofilię, które napisały do Kapituły Orderu Uśmiechu listy w tej sprawie. Dzięki staraniom Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię od 2008 r. dzieci w Polsce od 0 do 18 roku życia zostały objęte leczeniem profilaktycznym, dzięki czemu diametralnie zmieniła się jakość ich życia. Unikają większości powikłań hemofilii, które były i wciąż są codziennością dla dorosłych chorych w Polsce: bolesnych krwawień do mięśni i stawów oraz nieodwracalnego ich niszczenia.

„To dzięki panu Bogdanowi Gajewskiemu nareszcie mamy wprowadzoną profilaktykę. Muszę często robić sobie zastrzyki, ale dzięki temu mogę grać w piłkę, jeździć na rowerze. Bez obaw, że mama będzie się martwić, że coś mi się stanie. Zapominam, że jestem chory i czuję się, jak inni moi koledzy – czyli zdrowy. (...) Bogdan Gajewski jest dla mnie autorytetem. Chciałbym być kiedyś taki, jak On” – napisał w jednym z listów dziesięcioletni Konstanty

Bogdan Gajewski jest jednym z założycieli Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię, a od 2007 r. pełni funkcję prezesa. Wcześniej założył m.in. forum internetowe dla chorych na hemofilię w Polsce, na którym jest zarejestrowanych ponad 600 osób, a także forum dla krajów Europy środkowej i Wschodniej. Prowadzi stronę internetową (www.hemofilia.of.pl), tłumaczy na język polski i publikuje materiały edukacyjne poświęcone hemofilii – książki i płyty DVD. Są one adresowane zarówno do dzieci, jak ich rodziców oraz dorosłych chorych. Do tej pory zostało wydanych ponad 20 publikacji, a kolejne są w przygotowaniu. Dzięki działalności PSCH, pisaniu licznych listów oraz petycji adresowanych do Ministerstwa Zdrowia, posłów, senatorów, w ostatnich latach bardzo poprawił się standard leczenia hemofilii w Polsce.

Order Uśmiechu jest odznaczeniem niezwiązanym z żadną organizacją społeczną czy polityczną. Wśród Kawalerów Orderu Uśmiechu są m.in.: Ojciec Święty Jan Paweł II, Dalajlama, Matka Teresa z Kalkuty, ks. Jan Twardowski, Anna Dymna, Ewa Błaszczyk, prof. Zbigniew Religa, ks. Arkadiusz Nowak, prof. Anna Chybicka, Marek Kotański

Kawalerami Orderu Uśmiechu są również dwaj inni członkowie Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię: Zbigniew Sendułka (poprzedni prezes PSCH) oraz Zdzisław Grzelak (obecny wiceprezes PSCH).

– Bardzo się cieszę, bo Order Uśmiechu został przyznany przez dzieci chore na hemofilię. Wiem, co czują, z jakimi kłopotami się borykają, bo sam przez to przeszedłem. Dzięki leczeniu profilaktycznemu mogą żyć bez cierpienia i kul, tego wszystkiego, co dla dorosłych chorych na hemofilię w Polsce wciąż było i jest codziennością – mówi Bogdan Gajewski. – Nie wszystko jednak wygląda jeszcze tak, jak powinno. Będziemy walczyć, by leczeniem profilaktycznym zostali objęci młodzi ludzie do 25. roku życia, a w przyszłości także dorośli. Chcemy też, by w Polsce wreszcie pojawiły się najbezpieczniejsze leki, nieprodukowane z krwi, a także by właściwą opieką zostali otoczeni chorzy z hemofilią powikłaną inhibitorem.

Katarzyna Pinkosz

[3] O HEMOFILII W MEDIACH

Konferencja z okazji Dnia Chorych na Hemofilię przyniosła owoce w postaci zainteresowania mediów problemami leczenia hemofilii. W sobotni wieczór 22 maja, przez blisko godzinę w I programie Polskiego Radia o wielu sprawach związanych z hemofilią, m.in. o leczeniu profilaktycznym dzieci, o bezpieczeństwie czynników krzepnięcia, o perspektywach leczenia – a nawet może wyleczenia – hemofilii mówili Bogdan Gajewski i doc. Jerzy Windyga. Natomiast w niedzielny poranek 23 maja, o godz. 9.45, telewizyjna stacja Polsat News

przeprowadziła piętnastominutową rozmowę z rodzicami małego Kazika Zdrodowskiego, chłopca chorego na hemofilię, który jeszcze nie rozpoczął leczenia profilaktycznego, ale ma już za sobą pierwsze wylewy. Rodzice Kazika walczą o zapewnienie mu profilaktyki przy zastosowaniu czynników rekombinowanych.

Materiały o leczeniu profilaktycznym dzieci chorych na hemofilię wyemitowano także 29 maja w telewizyjnej Panoramie i Teleexpressie.

Ten numer Biuletynu zamykamy na samym początku czerwca, więc lista bezpośrednich efektów majowej konferencji zapewne nie jest jeszcze kompletna.

(as)

[4] CZY MOŻNA UNIKNĄĆ POWSTANIA INHIBITORA?

Najbardziej problematyczną komplikacją hemofilii A jest powstanie inhibitora czynnika VIII. W odpowiedzi na podawany dożylnie czynnik krzepnięcia, organizm zaczyna produkować przeciwciała, które wiążą się z nim i neutralizują jego działanie. U takich chorych podanie koncentratu nie zatrzymuje krwawienia, dlatego muszą otrzymywać inne leki, które omijają klasyczną kaskadę krzepnięcia. Niestety, te leki często słabiej wzmacniają skrzep, przez to chorym trudniej wyleczyć wylew i są oni bardziej narażeni na pogłębienie artropatii. Należy również podkreślić, że leki omijające są kilkakrotnie droższe od klasycznych.

Inhibitor rozwija się u 20–50% chorych z ciężką postacią hemofilii. Mechanizmy jego powstawania są dopiero poznawane. Według aktualnego stanu wiedzy można je podzielić na dwie grupy: niemodyfikowalne oraz modyfikowalne. Do pierwszej należą: czynniki dziedziczne – predyspozycja do wytworzenia inhibitora u członków rodziny; ciężka, rzadziej umiarkowana postać przede wszystkim hemofilii A; rasa czarna; niektóre mutacje genu czynnika (duże delecje, inwersje, zwłaszcza intronu 22 i stop mutacje). W drugiej należy wymienić czynniki immunologiczne: charakterystyka i oddziaływanie między limfocytami T i B; duże dawki czynnika krzepnięcia podawane w czasie zabiegów chirurgicznych i poważnych krwawień; stan zapalny i duże urazy; pierwsze 20–50 dni ekspozycji na czynnik. Wymieniane są tu również szczepienia ochronne wykonywane w tym samym dniu, co podanie czynnika. Rodzaj stosowanego koncentratu (rekombinowany, osoczopochodny, wysokooczyszczony, zawierający czynnik von Willebranda) wydaje się nie mieć istotnego znaczenia, jednakże doniesienia te wymagają dalszych badań. Z pewnością regularna profilaktyka zmniejsza ryzyko inhibitora.

Najwyższe ryzyko jego powstania występuje w ciągu pierwszych 20 dni ekspozycji u dziecka (czyli 20 wstrzyknięć). Jeśli pacjenta można przeprowadzić przez ten ryzykowny okres bez rozwinięcia inhibitora, to prawdopodobieństwo jego ujawnienia się w późniejszym czasie jest mniejsze.

W pilotażowym programie przeprowadzonym w Klinice Uniwersyteckiej w Monachium i innych klinikach na terenie Niemiec i Austrii pod kierownictwem Karin Kurnik, w ciągu 20–50 dni ekspozycji zastosowano model profilaktyki **z uwzględnieniem unikania niebezpiecznych sygnałów immunologicznych**. Jego celem była indukcja tolerancji na podawany czynnik VIII i zmniejszenie ryzyka ujawnienia się inhibitora.

W badaniu wzięło udział 26 dotychczas nieleczonych pacjentów (PUPs) z ciężką postacią hemofilii, u których zastosowano nowy schemat profilaktyki i porównano z grupą kontrolną 30 PUPs leczonych standardową profilaktyką (40–50 jedn./kg masy ciała 3 razy w tygodniu). Nie było istotnych różnic między grupą badaną i kontrolną (ta sama rasa – kaukaska, postać hemofilii, ciężkość mutacji genu czynnika VIII oraz rodzaj koncentratu i wiek pierwszej ekspozycji, a także model szczepień i zabiegów chirurgiczne).

W grupie badanej podawano 25jedn./kg masy ciała (ok. 250 jedn.) raz w tygodniu w momencie pojawienia się tendencji do siniaków, nawet niewielkich krwawień do tkanek miękkich, mięśni. Średnio pierwsze wstrzyknięcie wykonywano ok. 10 miesięcy życia. Nie implantowano portu naczyniowego. Stopniowo zwiększano częstość podań i wielkość dawek wraz ze zwiększaniem intensywności krwawień, to jest do 2 razy w tygodniu po 250 jedn.

i docelowo w momencie pojawienia się krwawień śródstawowych do 25–50 jedn./kg masy ciała 3 razy w tygodniu.

Wyniki badania wskazują, iż minimalizacja niebezpiecznych sygnałów immunologicznych w czasie 20 pierwszych dni ekspozycji może zredukować pojawienie się ryzyka inhibitora. W grupie kontrolnej inhibitor powstał u 14 z 30 chorych, natomiast w **grupie badanej tylko u jednego pacjenta na 26.**

To wstępne doniesienie wymaga dalszych szerszych badań, które – jeśli się potwierdzą – mogą istotnie zmodyfikować dotychczasowe modele profilaktyki i uchronić dużą grupę chorych przed tym groźnym powikłaniem leczenia.

Dwie poniższe tabele przedstawiają w zwięzłej formie najważniejsze tezy artykułu.

Czynniki ryzyka wystąpienia inhibitora

Niemodyfikowalne	Modyfikowalne
<ol style="list-style-type: none"> 1. Ciężka postać hemofilii, zwłaszcza A 2. Predyspozycja rodzinna 3. Rasa czarna 4. Mutacje genu czynnika (duże delecje, inwersje, zwłaszcza intronu 22 i stop mutacje) 	<ul style="list-style-type: none"> • Oddziaływanie między limfocytami T i B • Duże dawki czynnika krzepnięcia podawane w czasie zabiegów chirurgicznych i poważnych krwawień • Burza i stres immunologiczny związany z zabiegiem chirurgicznym (np. implantacja portu naczyniowego) • Pierwsze 20–50 dni ekspozycji na czynnik • Duży uraz, stan zapalny

Czynniki zmniejszające ryzyko wystąpienia inhibitora

<ul style="list-style-type: none"> • Unikanie zabiegów chirurgicznych (w tym implantacji portu naczyniowego) w czasie pierwszych 20 dni ekspozycji • Unikanie podawania szczepionki w dniu wstrzyknięcia koncentratu czynnika krzepnięcia • Podawanie szczepionki tylko podskórnie • Wczesne leczenie krwawienia właściwą dawką czynnika, w celu uniknięcia podawania dużych dawek przez długi okres • Unikanie podawania pierwszej dawki czynnika w czasie dużego krwawienia i infekcji 	<ul style="list-style-type: none"> • Mała liczba podań na żądanie przed rozpoczęciem profilaktyki? • Małe dawki/częstotliwość wstrzyknięć w ramach profilaktyki? • Młody wiek rozpoczęcia profilaktyki?
---	--

Na podstawie: New early prophylaxis regimen that avoids immunological danger signals can reduce FVIII inhibitor development. K. Kurnik, C. Bidlingmaier, W. Engl, H. Chehadeh, B. Reipert and G. Auerswald. „Haemophilia” (2009), 1–7

lek. med. Michał Jamrozik

[5] ZASADY PODAWANIA I PRZECHOWYWANIA CZYNNIKÓW KRZEPNIĘCIA

Pielęgniarka pracująca w ośrodku leczenia skaz krwotocznych odgrywa ważną rolę w opiece nad pacjentem chorym na hemofilię. Opieka ta polega głównie na:

- podawaniu czynników krzepnięcia (doraźnie w czasie wylewu lub profilaktycznie);
- pobieraniu krwi do badań (wizyty kontrolne w poradni hematologicznej);
- wykonywaniu opatrunków w razie skaleczeń, urazów;
- stałej współpracy z lekarzem hematologiem;
- sprowadzaniu na oddział/do poradni czynników krzepnięcia (oraz ich odpowiednim przechowywaniu);
- sprawowaniu nadzoru nad tym, aby w ośrodku stale był odpowiedni zapas czynnika oraz istniała możliwość jego podania (w razie nagłych wypadków, również poza godzinami pracy poradni);

- edukowaniu pacjentów (nauka samoiniekcji, wydawanie broszur itp.);
- zapewnieniu możliwości kontaktu telefonicznego lub mailowego w nagłych wypadkach;
- prowadzeniu dokumentacji szpitalnej (książka przetoczeń oraz książka infuzji) i indywidualnej pacjenta (uzupełnianie zeszytu przetoczeń);
- uczestnictwie w spotkaniach z pacjentami;
- uczestnictwie w szkoleniach doskonalących.

Pielęgniarka z ośrodka leczenia skaz krwotocznych pełni niezwykle istotną rolę w zakresie edukacji pacjentów i ich rodzin. Powinna ona nie tylko posiadać dużą wiedzę na temat hemofilii, ale również umieć ją przekazać choremu. Odpowiednia edukacja pacjentów ma fundamentalne znaczenie dla skuteczności leczenia, ponieważ chorzy zazwyczaj samodzielnie podają sobie czynnik w warunkach domowych.

Koncentraty czynników krzepnięcia należy transportować i przechowywać w temperaturze zalecanej przez producenta (zwykle 2–8°C). Przed podaniem ogrzewa się je do temperatury pokojowej bądź wyjmuje z lodówki na godzinę przed podaniem. Należy pamiętać o tym, że leków tych nie można rozpuszczać w roztworze soli fizjologicznej, tylko w rozpuszczalniku dołączonym do opakowania z lekiem, tj. w wodzie do wstrzyknięć. Rozpuszczony czynnik krzepnięcia należy nabrać do strzykawki za pomocą igły z filtrem (dołączonej do opakowania) i podawać **powoli** z maksymalną prędkością 2–3 ml/min.

Działania niepożądane po podaniu koncentratu czynnika występują bardzo rzadko. Możliwe objawy to: pokrzywka, rumień skóry, świąd, duszność, ból i zawroty głowy, ból w klatce piersiowej, gorączka, wzmożona potliwość oraz zaburzenia rytmu serca. Należy wtedy niezwłocznie skontaktować się z lekarzem hematologiem.

Załączone do Biuletynu tabele (patrz wkładka) przedstawiają dane na temat podawania i przechowywania czynników krzepnięcia.

piel. mgr Halina Jończyk,
Katedra i Klinika Hematologii CM UJ w Krakowie

[6] STAROŚĆ Z HEMOFILIĄ

Wszyscy ludzie żyją teraz dłużej i cieszą się lepszym zdrowiem. W większości krajów odsetek osób powyżej 60 roku życia rośnie szybciej niż w przypadku innych grup wiekowych; w rezultacie wzrasta średnia długość życia, a zmniejsza się przyrost naturalny. W 2006 r. na świecie było pół miliarda osób powyżej 65 roku życia. Przewiduje się, że do 2030 r. ta liczba się podwoi.

Dobra wiadomość brzmi: ta tendencja dotyczy też osób ze skazami krwotocznymi – wielu chorych na hemofilię wchodzi obecnie w zaawansowany wiek. Postępy w leczeniu hemofilii rozpoczęte w latach pięćdziesiątych przyczyniły się do wydłużenia się średniej długości życia i do poprawy jakości życia. Wcześniejsze pokolenia chorych na hemofilię A lub B umierały przedwcześnie wskutek komplikacji związanych z wylewami i krwotokami, ponieważ nie było jeszcze koncentratów czynników krzepnięcia; później pojawiły się też komplikacje związane z zakażeniem HIV i HCV.

Chociaż długość życia chorych na ciężką postać hemofilii nadal jest mniejsza niż wśród zdrowych osób, to jednak coraz bardziej zbliża się do średniej wartości dla ogółu mężczyzn (badania Dolana i in., 2009). W rezultacie należy się spodziewać, że chorzy na hemofilię będą mieć problemy wynikające z zaawansowanego wieku, do tej pory nie obserwowane w tej grupie pacjentów; pojawią się także odległe skutki istniejących schorzeń, np. kłopoty z wątrobą będące konsekwencją wirusowego zapalenia wątroby, a także problemy z poruszeniem spowodowane artropatią hemofilową.

Wydłużenie długości życia stawia nowe wyzwania przed lekarzami opiekującymi się chorymi na hemofilię. Ważne jest, by to wydłużone trwanie życia brać pod uwagę już na początku opieki nad takim pacjentem. Być może leczenie profilaktyczne zyska nowe znaczenie, jeśli pacjent zda sobie sprawę z tego, że stawy będą musiały sprawnie mu służyć i po osiemdziesiątce. W przypadku pewnych schorzeń do tej pory nie pojawiających się w tej grupie chorych może nie być jeszcze stosownych wytycznych postępowania. Konieczna bę-

dzie współpraca specjalistów z różnych ośrodków, żeby stworzyć bazę danych pozwalającą na oparcie leczenia na konkretnych dowodach medycznych (*evidence-based*). Musimy nadal wspierać naszych pacjentów w ich staraniach o uzyskanie jak najlepszej opieki medycznej i socjalnej. Powinniśmy dążyć do edukowania specjalistów w takich dziedzinach, jak gerontologia, onkologia, kardiologia i opieka pielęgniarska w domu pacjenta, ponieważ specyfika skaz krwotocznych może być im jeszcze nieznana. Pewna pacjentka opisuje to tak: „Ponieważ mam 72 lata i jestem kobietą cierpiącą na rzadki niedobór czynnika V, razem z opiekującymi się mną lekarzami starannie rozważam ryzyko i korzyści związane z możliwościami leczenia niedawno zdiagnozowanego u mnie schorzenia kardiologicznego. Przy wyborze leczenia należało uwzględnić skutki uboczne niektórych leków mogące prowadzić do zwiększonego krwawienia”.

Musimy wspólnie stawić czoło tym nowym problemom i pomóc pacjentom ze skazami krwotocznym osiągnąć starość w dobrym zdrowiu. A pamiętajmy, że starzenie zaczyna się przy urodzeniu!

Lucie Lacasse,
pielęgniarka w Regionalnym Centrum Leczenia Hemofilii w Ottawie
(„Hemophilia Today”, marzec 2010, tłum. as)

[7] PERSPEKTYWY LECZENIA HEMOFILII

Wielką zmianą w leczeniu hemofilii w poprzednim dziesięcioleciu była rosnąca świadomość, że jesteśmy w stanie zapobiegać przewlekłemu niszczeniu układu mięśniowo-stawowego przez profilaktyczne podawanie koncentratu czynnika krzepnięcia. To z kolei wpłynęło na rozwój poszukiwań, jak zapewnić utrzymanie odpowiedniego poziomu czynnika we krwi bez konieczności częstych przetoczeń. Taki cel można osiągnąć na dwa sposoby: dzięki wytworzeniu czynnika o przedłużonym czasie półtrwania albo przez wprowadzenie do organizmu genu odpowiedzialnego za produkcję czynnika na odpowiednim poziomie przez dłuższy czas.

Czas półtrwania to okres, po którym połowa podanego czynnika zostaje usunięta z krwiobiegu. Czas półtrwania czynnika VIII u chorych na hemofilię A wynosi średnio 12 godzin; w przypadku czynnika IX u chorych na hemofilię B ten czas jest zbliżony do 24 godzin.

Obecnie trwają intensywne prace nad wytworzeniem czynników krzepnięcia o przedłużonym czasie półtrwania. Kilka firm farmaceutycznych w USA i w Europie już zaczęło lub wkrótce zacznie badania kliniczne z dłużej działającym czynnikiem VIII, IX i VIIa. Jeśli te badania okażą się pomyślne, można będzie zmniejszyć częstość profilaktycznego podawania czynnika, np. w przypadku hemofilii A z trzech wstrzyknięć tygodniowo do jednego w tym samym okresie.

Jak na razie wygląda na to, że w wyścigu prowadzi czynnik o przedłużonym działaniu. Nie należy jednak zapominać o próbach z inżynierią genetyczną. Choć na razie sukcesy osiągnięto jedynie w próbach na myszach i psach, trwają badania kliniczne z udziałem ludzi. Terapia genowa przyniosła już dramatyczny przełom w leczeniu pewnych innych chorób przewlekłych, choć nie zawsze obeszło się bez poważnych komplikacji.

David Page
(„Hemophilia Today”, marzec 2010, tłum. i oprac. as)

W uzupełnieniu tego artykułu warto przytoczyć niezbyt pomyślną informację z 25 stycznia br.: Firma Bayer ogłosiła wstrzymanie międzynarodowej drugiej fazy badania klinicznego mającego na celu porównanie eksperymentalnego rekombinowanego czynnika VIII o przedłużonym działaniu BAY 79-4980 ze stosowanym obecnie czynnikiem rekombinowanym Kogenate FS. Firma stwierdziła, że wczesne wyniki wskazują, iż leczenie okazało się mniej skuteczne niż oczekiwano.

(as na podst. „Hemophilia Today”, marzec 2010)

[8] ZABIEGI ORTOPEDYCZNE W KRAKOWIE

Dzięki nawiązanej niedawno współpracy między Kliniką Hematologii Szpitala Uniwersyteckiego a Krakowskim Centrum Rehabilitacji (www.krc.pl) chorzy na hemofilię i inne wrodzone skazy krwotoczne zyskali szansę na profesjonalną opiekę ortopedyczną w Krakowie. Z inicjatywy dr. Jerzego Mirosława Jaworskiego, Dyrektora ds. Lecznictwa KCR, który wykażal zainteresowanie i zrozumienie dla szczególnych problemów ortopedycznych tej grupy chorych, w najbliższym czasie zostaną wykonane pierwsze zabiegi endoprotezowania stawów u chorych na hemofilię.

7 maja br. odbyło się spotkanie Kierownika Kliniki Hematologii, prof. Aleksandra B. Skotnickiego z dyrekcją KCR oraz ordynatorami oddziałów (Ortopedyczno-Urazowego, Rehabilitacji oraz Działu Anestezjologii), podczas którego omówiono wszystkie istotne kwestie związane z kwalifikacją do operacji, przebiegiem zabiegu, opieką w okresie pooperacyjnym oraz zabezpieczeniem hematologicznym.

Pracownicy KCR z ogromnym zaangażowaniem przygotowują się do planowanej współpracy. 28 kwietnia br. odbyło się szkolenie zespołu pielęgniarskiego; w trakcie szkolenia poza częścią teoretyczną (wykład lekarza i pielęgniarki z Kliniki Hematologii) miały miejsce warsztaty praktyczne, podczas których trzech chorych na ciężką hemofilię A podało sobie samodzielnie koncentrat czynnika VIII. Panie pielęgniarki wykazały bardzo duże zainteresowanie problemami chorych, szybko zaznałomiły się z techniką podawania czynników, zagadnieniami związanymi z opieką nad chorymi w okresie pooperacyjnym i w czasie rehabilitacji.

Zabezpieczenie planowanych zabiegów w odpowiednie preparaty czynników krzepnięcia zostało uzgodnione z dyrekcją RCKiK w Krakowie. Zabiegi będą również prowadzone w ścisłej współpracy z Pracownią Hemostazy II Katedry Chorób Wewnętrznych, kierowanej przez prof. Jacka Musiała. W Pracowni wszystkie niezbędne oznaczenia aktywności czynników oraz testy w kierunku inhibitora będą wykonywane przez dr Teresę Iwaniec w trybie cito (bezpośrednio po dostarczeniu próbki do laboratorium), co jest niezbędnym warunkiem do tego, aby zapewnić bezpieczeństwo pacjentom poddawanył tak rozległym i skomplikowanym zabiegom operacyjnym.

Obecnie w Poradni Ortopedycznej KCR zakwalifikowanych do zabiegu endoprotezowania stawu jest siedmiu chorych na hemofilię. Pierwsze trzy zabiegi odbędą się pod koniec czerwca br.

dr Joanna Zdziarska oraz mgr Halina Jończyk,
Klinika Hematologii CMUJ w Krakowie

[9] JUBILEUSZ KLINIKI HEMATOLOGII W KRAKOWIE

W dniach 21 i 22 maja br. Klinika Hematologii Collegium Medicum UJ świętowała swoje 60-lecie. Kierownik Kliniki, prof. Aleksander Skotnicki zaprosił do udziału w uroczystościach wszystkie Stowarzyszenia działające przy Klinice, w tym nasze, Polskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię.

Tu trzeba powiedzieć, że Koło Kraków, które powstało w 1991 r., zawsze miało w osobie pana Profesora gorącego orędownika. Do tej pory wspiera wszelkie nasze działania i inicjatywy.

Piątek 21 maja rozpoczął się przed południem spotkaniem pacjentów po przeszczepieniu szpiku kostnego. Było to już trzynaste spotkanie tej grupy chorych. Na część oficjalną w Teatrze Słowackiego zostali zaproszeni przedstawiciele wszystkich grup chorych i fundacji, lekarze, pielęgniarki i goście z kraju i zagranicy. Rozpoczęła ją sesja naukowo-wspomnieniowa. Piękna sceneria Teatru Słowackiego, z kurtyną Henryka Siemiradzkiego w tle, dodawała majestatu podniosłej uroczystości. A poprzedził ją hejnał odegrany przez hejnalistę. Profesor Skotnicki, organizator obchodów, powitał zaproszonych gości, wśród których byli: Anna Kamińska – Dyrektor Departamentu Polityki Zdrowotnej w Ministerstwie Zdrowia, prof. Wiesław Jędrzejczak – Krajowy Konsultant ds. Hematologii, prof. Wojciech

Nowak – Prorektor CM UJ, Kazimierz Bujakowski – wiceprezydent Krakowa, prof. Jerzy Hołowiecki oraz goście z Ukrainy.

Profesor Aleksander Skotnicki w swojej prelekcji „Postęp w leczeniu pacjentów z chorobami krwi w ciągu ostatnich dwudziestu lat” sporo miejsca poświęcił chorym na hemofilię i działającemu w Krakowie Polskiemu Stowarzyszeniu Chorych na Hemofilię. Dzięki prezentacji wszyscy goście mogli zobaczyć zdjęcia z turnusów rehabilitacyjnych i fotografie z wernisażu zdjęć, a także zapoznać się z tytułami broszur i publikacji wydanych przez PSCH.

Profesor odebrał mnóstwo zasłużonych gratulacji. Głos zabierali kolejno zaproszeni goście i pacjenci. Pani Anna Kamińska wręczyła odznaki „Dawca Przeszczepu”. Część oficjalną zakończyło zrobienie wspólnego zdjęcia, na którym znalazły się osoby po przeszczepie ze swoimi Dawcami. Była to bardzo wzruszająca chwila. Bohaterów publiczność nagrodziła owacją na stojąco.

Następnie po poczęstunku w foyer Teatru odbył się koncert pod nazwą „Leopold Kozłowski (Ostatni Klezmer Galicji) i jego przyjaciele: Rodzynki z migdałami”. Koncert prowadził Jacek Cygan.

W sobotę 22 maja miejscem uroczystości był Mały Rynek w Krakowie. Po odegranym hejnale, teraz z Wieży Mariackiej, „Dzień krwi” zainaugurowała krótka prelekcja prof. Skotnickiego o roli i znaczeniu krwi w organizmie człowieka. Potem na scenie królowała muzyka. Przerwy między występami ubogacał gospodarz obchodów prelekcjami na temat wskazań do leczenia preparatami krwiopochodnymi oraz roli transplantacji szpiku w leczeniu chorób szpiku kostnego. Sporo miejsca poświęcił też hemofilii. Po tej prelekcji, piszący te słowa w imieniu wszystkich chorych podziękowali i złożyli gratulacje Panu Profesorowi.

Wszyscy chorzy obecni w tym dniu na uroczystościach, w koszulkach z okolicznościowym nadrukiem przemaszerowali przez Mały Rynek. „Pochód” prowadził Profesor. (krótka relacja była transmitowana w „Kronice krakowskiej” o godz. 21:45).

Podczas gdy na scenie odbywały się koncerty różnych zespołów, wszyscy chętni mieli możliwość zrobienia bezpłatnego badania morfologii krwi. W namiocie RCKiK przeprowadzono akcję honorowego oddawania krwi. Krew oddało w tym dniu około 140 osób. Natomiast do namiotu pozyskiwania dawców szpiku zgłosiło się ponad 200 osób.

Koło Kraków w namiocie RCKiK zaprezentowało plakat o działalności Stowarzyszenia i o istocie choroby.

Na zakończenie odbył się koncert Jacka Wójcickiego i Anny Szałapak.

Cały dzień towarzyszył nam Lajkonik, który kogo trzeba zdzielił na szczęście buławą. A i szczęście dopisało, bo ładna pogoda wytrzymała prawie do końca uroczystości. Zresztą nawet deszcz podczas ostatniego w tym dniu koncertu nie wystraszył zgromadzonych tłumów, bo czyż coś może przeszkodzić, gdy na scenie występują Jacek Wójcicki i Anna Szałapak?

Całość obchodów prowadziła pani Lidia Jazgar.

Anna i Andrzej Zdziarscy – Koło Kraków
Joanna Zdziarska – Klinika Hematologii CM UJ

[10] ODSZKODOWANIA W KANADZIE

Parlament kanadyjskiej prowincji Quebec (poszczególne prowincje mają tam sporą autonomię) przyjął ważną ustawę przewidującą odszkodowania dla osób poszkodowanych za sprawą leków rozprowadzanych przez Hema-Quebec, organizację non-profit odpowiedzialną w tej prowincji za dystrybucję krwi i leków krwiopochodnych. Co istotne, ustawa nie wymaga od poszkodowanego udowodnienia winy dystrybutora. Akt prawny wzywa ministra zdrowia do zapewnienia odszkodowania „niezależnie od stwierdzenia winy, wszystkim osobom, które doznały uszczerbku na zdrowiu wskutek zakażenia patogenem, wcześniej znanym lub nowo ujawnionym, obecnym w produkcie dystrybuowanym przez Hema- -Quebec”. Ustawa jest oparta na sugestjach zawartych w raporcie tzw. Komisji Krevera, która badała stan służby krwi w Kanadzie. Sędzia Krever stwierdził m.in., że zgodnie z obowiązującym systemem

prawnym na poszkodowanym ciąży obowiązek udowodnienia winy sprawcy, lecz jest to układ niezadawalający, zwłaszcza jeśli poszkodowany jest poważnie chory lub umierający. W konkluzji sędziego Krever napisał: „Przesunięcie akcentu z udowodnienia winy na zapewnienie odszkodowania dla poszkodowanej strony nie wpłynie negatywnie na bezpieczeństwo krwi. Przeciwnie, bezpieczeństwo dostarczanej krwi najlepiej zapewnić dzięki wymagającemu prawu”.

(oprac. as na podst. „Hemophilia World”, marzec 2010)

[11] „KRÓLEWSKA CHOROBA” TO HEMOFILIA B

Naukowcy z uniwersytetu moskiewskiego i uniwersytetu w Massachusetts zidentyfikowali przyczynę „królewskiej choroby”, którą brytyjska królowa Wiktorja (1819–1901) przekazała królewskim rodom w Wielkiej Brytanii, Rosji, Niemczech i Hiszpanii.

Badania niedawno odkrytych fragmentów kości członków rodziny Romanowów, zamordowanych podczas rewolucji w Rosji, wykazały, że carewicz Aleksy cierpiał na hemofilię B, a jego matka, Aleksandra, oraz jego siostra, Anastazja, były nosicielkami.

Analiza DNA udowodniła, że u członków rodzin królewskich związanych z królową Wiktorją występowała mutacja A>G w obrębie intronu genu czynnika IX, zlokalizowana w odległości 3 par zasad od eksonu 7 (granica intron/ekson IVS3-3A>G). Taka mutacja jest niezwykle rzadka. W światowej bazie danych mutacji czynnika IX zarejestrowane są tylko trzy takie przypadki.

Do tej pory powszechnie przypuszczano, że „królewska choroba” to hemofilia A, ponieważ występuje ona o wiele częściej.

(as na podst. „Hemophilia Today”, marzec 2010)

[12] A W KANADZIE...

Od stycznia br. w Kanadzie preparat Advate (rekombinowany czynnik VIII trzeciej generacji) będzie dystrybuowany również w buteleczkach zawierających 3000 jednostek. Dzięki temu lek będzie dostępny w sześciu rodzajach opakowań – po 250, 500, 1000, 1500, 2000 i 3000 jednostek.

Do rekombinantów nam jeszcze – niestety – daleko. Myślę jednak, że ta informacja może zainteresować kolegów, którym przyszło podawać sobie 2000 lub 2500 jednostek czynnika w opakowaniach po 250 jednostek...

(as)

BIULETYN INFORMACYJNY Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię.

Do użytku wewnętrznego.

Opracował Adam Sumera. Współpraca: Zdzisław Grzelak, Robert Prenel.

Korespondencję prosimy kierować pod następujący adres: Łódzkie Koło Terenowe Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię przy Klinice Hematologii UM, Szpital im. M. Kopernika, ul. Pabianicka 62, 93-513 Łódź.

Nasz kontakt internetowy: rpren2@gmail.com; psch_lodz@interia.pl;

Strona koła łódzkiego: www.pschlodz.prv.pl

Tabele do artykułu piel. mgr Haliny Jończyk „Zasady podawania i przechowywania czynników krzepnięcia”, Biuletyn Informacyjny PSCH nr 2/2010

Nazwa czynnika krzepnięcia Hemofilia A (czynnik VIII)	Szybkość podania	Okres ważności	Przechowywanie
<p>OCTANATE 250: 250 j.m. OCTANATE 500: 500 j.m. OCTANATE1000:1000 j.m. Postać farmaceutyczna: proszek i rozpuszczalnik do sporządzenia roztworu do infuzji dożylnych</p>	<p>- powoli dożylnie z szybkością 2-3 ml/min</p>	<p>- 2 lata - po rozpuszczeniu użyć natychmiast</p>	<p>- lodówka (2°C–8°C) - nie zamrażać - chronić od światła - w miejscu niedostępnym dla dzieci</p>
<p>IMMUNATE Baxter 250 j.m. IMMUNATE Baxter 500 j.m. IMMUNATE Baxter 1000 j.m. Postać farmaceutyczna: proszek i rozpuszczalnik do sporządzenia roztworu do infuzji dożylnych</p>	<p>- powoli dożylnie z szybkością 2 ml/min</p>	<p>- 2 lata - po rozpuszczeniu użyć natychmiast - wykazano stabilność fiz. i chem. roztworu po sporządzeniu przez 3 godz. w temp. pokojowej (wówczas podanie na odpowiedzialność użytkownika) - przygotowanego produktu nie umieszczać ponownie w lodówce</p>	<p>- lodówka (2°C–8°C) - nie zamrażać - chronić od światła - w miejscu niedostępnym dla dzieci - w okresie ważności produkt można przechowywać w temp. pokojowej (do 25°C) przez okres do 6 mies. (zanotować na opakowaniu produktu czas przechowywania, pod koniec tego okresu nie wolno ponownie umieszczać produktu w lodówce, należy go użyć lub wyrzucić)</p>
<p>FANHDI 250 j.m. FANHDI 500 j.m. FANHDI 1000 j.m. Postać farmaceutyczna: proszek i rozpuszczalnik (w ampułko-strzykawce) do sporządzenia roztworu do infuzji dożylnych</p>	<p>- powoli dożylnie z szybkością 3 ml/min, nigdy nie przekraczając 10 ml/min.</p>	<p>- 3 lata - po rozpuszczeniu użyć natychmiast - wykazano stabilność fiz. i chem. roztworu po sporządzeniu przez 12 godz. w temp. 25°C - jeśli po rozpuszczeniu produkt nie został użyty natychmiast, może być przechowywany nie dłużej niż 24 godz. w temp. 2°C–8°C (podanie na odpowiedzialność użytkownika, roztwór musi być przygotowany w sposób jałowy)</p>	<p>- nie przechowywać w temp. powyżej 30°C - nie zamrażać</p>

Nazwa czynnika krzepnięcia Hemofilia B (czynnik IX)	Szybkość podania	Okres ważności	Przechowywanie
OCTANINE F500: 500 j.m. OCTANINE F1000: 1000 j.m. Postać farmaceutyczna: proszek i rozpuszczalnik do sporządzenia roztworu do infuzji dożylnych	- powoli dożylnie z szybkością nie przekraczającą 2-3 ml/min	- 2 lata - po rozpuszczeniu zużyć natychmiast	- temp. 2°C–8°C (w lodówce) - nie zamrażać, - chronić od światła
IMMUNINE 600 j.m. Postać farmaceutyczna: proszek i rozpuszczalnik do sporządzenia roztworu do infuzji dożylnych	- podawać powoli dożylnie poprzez wstrzyknięcie lub wlew - nie podawać szybciej niż 2 ml/min	- 2 lata - po rozpuszczeniu zużyć natychmiast - wykazuje stabilność chemiczną i fizyczną do 3 godz. w temp. 20°C–25°C - jeżeli nie zostanie natychmiast zużyty, za przechowywanie do momentu użycia odpowiada podający lek - gotowego roztworu nie umieszczać ponownie w lodówce	- temp. 2°C–8°C (w lodówce) - nie zamrażać, - można przechowywać przez okres 3 miesięcy w temp. poniżej 25°C - okres przechowywania w temp. pokojowej należy odnotować poniżej daty ważności podanej na opakowaniu produktu - po przechowywaniu leku w temp. pokojowej nie należy ponownie umieszczać go w lodówce (lek zużyć lub wyrzucić)

Preparat	Wskazania	Okres trwałości	Przechowywanie
FEIBA TIM 4 IMMUNO - 500 j. - 1000 j.	- hemofilia A powikłana inhibitorem czynnika VIII - hemofilia B powikłana inhibitorem czynnika IX - nabyta hemofilia	- 2 lata - po rozpuszczeniu podać natychmiast	- 2°C–8°C (lodówka) - nie zamrażać - po rozpuszczeniu nie traci właściwości fiz. i chem., może być przechowywany do 3 godz. w temp. 20°C–25°C (podanie na odpowiedzialność użytkownika) - w ciągu okresu ważności lek może być przechowywany przez 6 mies. w temp. pokojowej (15°C–25°C) , na opakowaniu napisać datę, od której lek był przechowywany poza lodówką
NovoSeven - 1 mg - 2 mg - 5 mg	- hemofilia A powikłana inhibitorem czynnika VIII - hemofilia B powikłana inhibitorem czynnika IX - nabyta hemofilia - wrodzony niedobór czynnika VII - trombastenia Glanzmanna w przypadku oporności na koncentrat płytek	- 2 lata - po rozpuszczeniu podać natychmiast , jeżeli nie jest zużyty natychmiast, czas i warunki przechowywania przed kolejnym użyciem są odpowiedzialnością użytkownika, i nie powinny przekraczać 24 godz. w temp. 2°C–8°C	- proszek i rozpuszczalnik przechowywać w temp. poniżej 25°C - proszek i rozpuszczalnik chronić przed światłem - nie zamrażać - roztwór po rozpuszczeniu wykazuje stabilność pod względem chemicznym i fizycznym przez 6 godz. w temp. 25°C i 24 godz. w temp. 5°C - nie należy przechowywać rozpuszczonego produktu w plastikowych strzykawkach