



BIULETYN INFORMACYJNY

Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię

NR 3 (37)

JESIEŃ 2010

Numer otwiera obszerny artykuł dotyczący ważnej kwestii – jak przygotować się do porodu, gdy przychodzące na świat dziecko może cierpieć na skazę krwotoczną [1]. Dr Joanna Zdziarska przedstawia sytuację obiektywnie, sygnalizując plusy i minusy poszczególnych rozwiązań. Ze źródeł francuskich zacerpnęliśmy informacje zawarte w materiale o profilaktyce [2]. Towarzyszące artykułowi wykresy poziomu czynników krzepnięcia po wstrzyknięciach profilaktycznych nie mają być jedynie ozdobnikiem. Choć u każdego z nas zmiany poziomu czynnika przebiegają nieco inaczej, to jednak generalna zasada jest taka sama. Warto więc zwrócić uwagę na to, że przez pewien okres przed kolejnym podaniem poziomu może znajdować się poniżej wartości uznawanych za bezpieczne (bez wylewów samoistnych). Do spraw profilaktyki, tym razem zdecydowanie dla dorosłych, wracamy w omówieniu raportu EHC [4].

Cała seria relacji ma przybliżyć najistotniejsze sprawy związane z międzynarodowymi warsztatami EHC na Węgrzech [3], światowym kongresem WFH [5], a także międzynarodową konferencją współorganizowaną przez nasze Stowarzyszenie w Warszawie [6].

Wspominamy kolegę, który odszedł [7], apelujemy o pomoc dla tych, którym może się przydać zbędny już nam sprzęt medyczny [8], a także przedstawiamy pierwszą w Biuletynie bajkę o podtekście dydaktycznym [9].

I jeszcze dodajmy, że po pewnej absencji na łamy Biuletynu wraca jolka [10].

Adam Sumera

[1] PORÓD U NOSICIELEK HEMOFILII – KONTROWERSJE

Od wielu lat trwają dyskusje na temat tego, jak powinien odbywać się poród dziecka, które ma (lub może mieć) skazę krwotoczną – np. hemofilię. Lekarze ginekolodzy, a przede wszystkim same kobiety, mają wątpliwości, jak postępować, aby nie narazić noworodka na niepotrzebne ryzyko. Obawiają się porodu naturalnego, aby nie doprowadzić do urazu dziecka, a jednocześnie chcą uniknąć narażenia kobiet na operację, jaką jest cięcie cesarskie, i jej możliwe niekorzystne następstwa.

Powikłania krwotoczne, które pojawiają się znacznie częściej u noworodków ze skazami krwotocznymi niż u pozostałych dzieci, to: krwawienie ze skóry głowy, różnego rodzaju krwiaki zlokalizowane pod skórą głowy (bezpośrednio pod skórą lub głębiej, w bliskości kości) oraz krwawienie śródczaszkowe, stanowiące największe ryzyko dla życia i zdrowia. W krajach rozwiniętych ok. 2–4% wszystkich chłopców chorych na hemofilię doświadcza krwawień śródczaszkowych w okresie noworodkowym, przy czym ok. jedna trzecia krwawień pozostawia trwałe następstwa neurologiczne. U zdrowych, donoszonych noworodków ryzyko krwawienia śródczaszkowego wynosi jedynie 0,04%. Trzeba zaznaczyć, że w przypadku skaz krwotocznych o łagodnym przebiegu (np. łagodnych postaci choroby von Willebranda) ryzyko poważnych krwawień jest znacznie mniejsze, zbliżone do dzieci zdrowych.

Na decyzję o sposobie porodu wpływają przede wszystkim czynniki położnicze (ułożenie dziecka w macicy, budowa miednicy matki, przebieg ciąży itp.). Podejmując decyzję, lekarz musi wziąć pod uwagę nie tylko dobro dziecka (ryzyko krwawienia), ale również dobro matki – poród naturalny wiąże się z mniejszą utratą krwi niż cięcie cesarskie. W przypadku kobiet,

które same są chore na skazę krwotoczną lub są nosicielkami hemofilii z niskim poziomem czynnika VIII lub IX, trzeba to ryzyko wziąć pod uwagę. Jeżeli wymagają one cięcia cesarskiego, powinny być odpowiednio zabezpieczone przez hematologa oraz uważniej obserwowane przez ginekologa i położne. Mogą one wymagać znacznie dłuższego pobytu w szpitalu niż inne kobiety.

Według polskich zaleceń postępowania w hemofilii, opublikowanych w 2008 r., hemofilia u płodu nie stanowi wskazania do cięcia cesarskiego, należy jednak dołożyć starań, aby zminimalizować uraz noworodka. Zalecenie to pozostaje w zgodności z wytycznymi postępowania obowiązującymi w innych krajach, m.in. w Wielkiej Brytanii. Sytuacje związane z ryzykiem urazu to przede wszystkim konieczność użycia próżnościagu lub kleszczy położniczych. Niepowikłany, fizjologiczny poród siłami natury pozostaje w opinii wielu ekspertów najlepszą i najbezpieczniejszą drogą rozwiązania ciąży również w przypadku, gdy dziecko może mieć hemofilię albo inną skazę krwotoczną. Skąd wiadomo, czy poród będzie niepowikłany? Trudno oczywiście zagwarantować, że nie pojawią się komplikacje. Ocenia to ginekolog prowadzący ciążę na podstawie dokładnego badania kobiety oraz dziecka (USG). Jeżeli nie widzi żadnych niepokojących objawów, może z dużą dozą pewności uznać, że ryzyko powikłań nie jest zwiększone. Odwrotnie, jeżeli zauważy coś niepokojącego (np. trochę zwiększoną masę dziecka), dla bezpieczeństwa może podjąć decyzję o cięciu cesarskim, chociaż w przypadku dziecka bez skazy krwotocznej mógłby uznać, że jeszcze nie ma takiej potrzeby.

Cięcie cesarskie niestety nie eliminuje całkowicie ryzyka krwawienia śródczaszkowego u noworodka chorego na hemofilię. Głównym argumentem zwolenników cięcia jest jednak fakt, że przebiegu porodu naturalnego nigdy nie da się do końca przewidzieć, a zaplanowane, wykonane w ustalonym miejscu i terminie cięcie cesarskie jest procesem znacznie bardziej przewidywalnym (aczkolwiek nigdy nie całkowicie wolnym od ryzyka powikłań). Wiadomo natomiast, że cięcie cesarskie wykonane w późnym okresie porodu (ze wskazań nagłych, czyli w sytuacji, gdy poród naturalny nie może postępować dalej) znacznie zwiększa ryzyko krwawień u dziecka, w tym krwawień śródczaszkowych.

Zwolennicy porodu naturalnego przypominają natomiast, że nie ma „mocnych” dowodów naukowych na to, że ryzyko krwawień u noworodka jest na tyle mniejsze w przypadku planowego cięcia cesarskiego niż w przypadku spontanicznego porodu naturalnego, aby to uzasadniało jego rutynowe wykonywanie. Być może konieczne jest przeprowadzenie badań klinicznych, które dostarczą bardziej wiarygodnych danych medycznych.

Bardzo często nikt nie ma wpływu na to, jaką drogą urodzi się dziecko chore na skazę krwotoczną, np. hemofilię. W dużej części przypadków takie dziecko rodzi się po prostu w rodzinie nieobciążonej do tej pory chorobą. Często zdarza się również, że rodzice nie mają świadomości, że ich dziecko może być chore, mimo obecności choroby u członków rodziny. Niekiedy biorą pod uwagę taką możliwość, ale nie mówią o tym swojemu ginekologowi. Bywa też, że problem jest bagatelizowany przez lekarzy i położne opiekujące się kobietą.

Jedno jest pewne – jeżeli wiadomo, że u dziecka może pojawić się skaza krwotoczną, poród musi być jak najmniej urazowy i powinien odbyć się w ośrodku, który może szybko wykonać badania poziomów czynników krzepnięcia, aby stwierdzić, czy dziecko rzeczywiście ma skazę krwotoczną. Co więcej, ośrodek musi dysponować doświadczonym oddziałem neonatologicznym (opiekującym się noworodkami), który może zapewnić fachową opiekę na wypadek powikłań.

Niezależnie od wybranego sposobu porodu bardzo istotne znaczenie ma to, aby rodzice mieli zaufanie do lekarzy, którzy się nimi opiekują. Trzeba pamiętać, że powikłania (w tym również krwotoki) zdarzają się też u dzieci, które nie mają skaz krwotocznych. Przed porodem należy wspólnie dołożyć starań, aby to ryzyko zmniejszyć. Co może uczynić w tym celu sama kobieta? Zasięgnąć porady lekarza z ośrodka leczenia skaz krwotocznych, skontaktować z nim swojego ginekologa oraz rozważyć podjęcie decyzji o miejscu porodu (niekiedy wymaga to wiele wysiłku – np. dojeżdżania do odległego szpitala, który dysponuje laboratorium i oddziałem noworodkowym). Powinna również przestrzegać wszystkich zaleceń ginekologa, wykonywać niezbędne badania w czasie ciąży i nie bagatelizować żadnego

z niepokojących objawów. Obawy o zdrowie dziecka są naturalne i trudno ich całkowicie uniknąć, jednak zaufanie do lekarza i pewność, że dołoży on wszelkich starań, aby uniknąć komplikacji, ma kluczowe znaczenie dla ciężarnej kobiety. Zdarza się, że lekarze opiekujący się chorymi na hemofilię (i inne skazy krwotoczne) współpracują z oddziałami ginekologicznymi, które są przez to zaznajomione z tematem skaz krwotocznych. Warto zapytać o taki kontakt.

Postępowanie w przypadku porodu nosicielki ciężkiej hemofilii A lub B w Klinice Hematologii w Krakowie:

- oznaczenie u kobiety aktywności czynnika VIII/IX przed ciążą (nie zawsze wynik dostępny, często kobieta zgłasza się dopiero w zaawansowanej ciąży)
- oznaczenie u kobiety aktywności czynnika w drugiej połowie ciąży (najlepiej w trzecim trymestrze)
- wydanie na piśmie zaleceń dla ginekologa oraz neonatologa opiekującego się dzieckiem, zawierających dokładne informacje o sposobie porodu i możliwym ryzyku oraz niezbędne numery telefonów (hematolog, hematolog dziecięcy, laboratorium, RCKiK)
- doradzenie porodu w ośrodku referencyjnym (Klinika Ginekologii i Położnictwa) lub w jednym z trzech innych współpracujących szpitali; odradzenie porodu poza Krakowem
- poinformowanie o planowanej dacie porodu dziecka, które może mieć ciężką hemofilię:
 - laboratorium wykonującego oznaczenia aktywności czynników krzepnięcia (Pracownia Hemostazy)
 - RCKiK
 - lekarza z ośrodka pediatrycznego leczenia skaz (Szpital Dziecięcy w Prokocimiu)
- zbadanie krwi pępowinowej dziecka w kierunku hemofilii w dniu porodu lub w najbliższym dniu roboczym (badanie w trybie cito, wynik dostępny do 2–3 godzin)

Joanna Zdziarska, Klinika Hematologii w Krakowie,
joannaz@patio.strefa.pl

[2] PROFILAKTYKA – LECZENIE ZALECANE W HEMOFILII

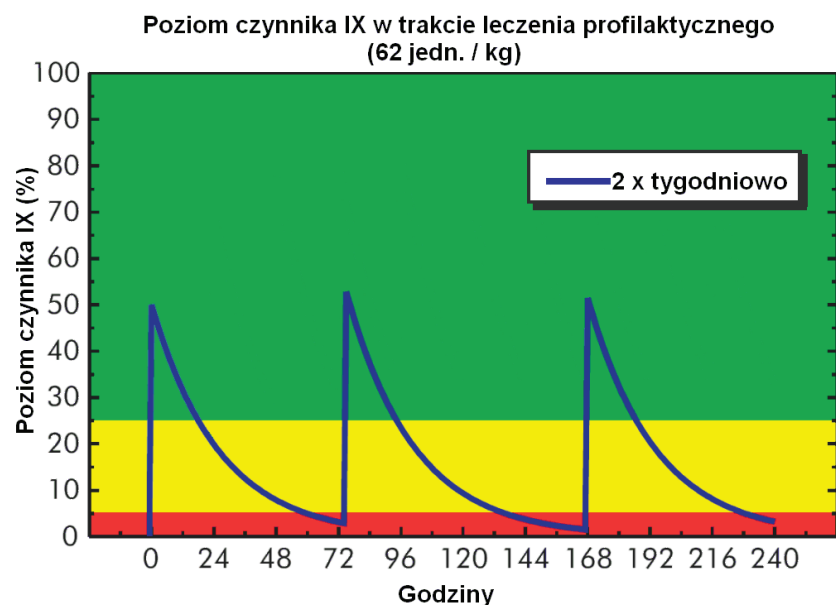
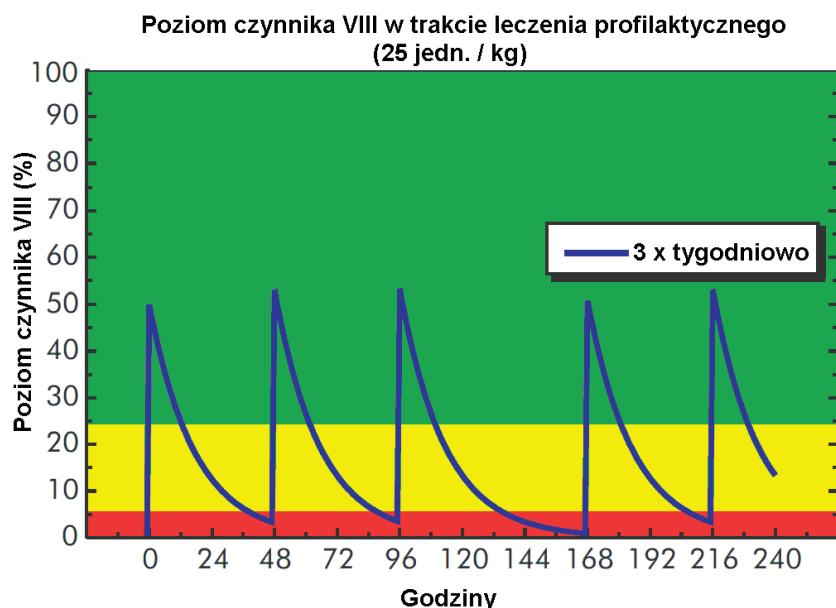
Analizując przypadki leczenia ciężkiej postaci hemofilii na świecie, prof. Hervé Chambost z Centrum Leczenia Hemofilii w Marsylii podkreśla, że profilaktyka wcześnie, regularnie i nieprzerwanie stosowana u dzieci od pierwszego krwawienia przed 2 rokiem życia przynosi bardzo pozytywne efekty. Na podstawie przeprowadzonych badań agenda ds. skaz krwotocznych Światowej Organizacji Zdrowia – World Federation of Hemophilia (Światowa Federacja ds. Hemofilii) zaleca stosowanie profilaktyki pierwotnej nieprzerwanie przez cały okres dzieciństwa.

Prekursorami we wprowadzeniu profilaktyki były kraje północne, głównie Szwecja i Holandia. Zarówno we Francji, jak i większości krajów Europy, a także w Ameryce Północnej profilaktykę wdrożono z opóźnieniem (w Polsce stosuje się ją od 2008 r.). Wśród czynników hamujących stosowanie profilaktyki była między innymi częstotliwość – trzy podania tygodniowo wydawały się utrudniać realizację profilaktyki długoterminowej ze względu na problem regularnego dostępu do żył. Licząc się z niepowodzeniami przy regularnych wkłuciach, zaproponowano profilaktykę progresywną, przystosowaną do indywidualnych potrzeb pacjenta. Ten typ profilaktyki uwzględnia przede wszystkim indywidualny przebieg objawów choroby (profil chorobowy), trudności z dostępem do żył, wiek pacjenta, lęk przed iniekcją, świadomość konieczności profilaktyki w odczuciu pacjenta, dostępność czynnika krzepnięcia, a także aktywność i tryb życia.

Gdy z różnych względów nie stosowano regularnej profilaktyki pierwotnej, u dorosłych i starszych dzieci proponuje się pacjentom profilaktykę wtórną. Pozwala ona zredukować liczbę krwawień i zmniejszyć ich skutki. Jednakże jej skuteczność jest zależna od stanu pacjenta przed podjęciem profilaktyki (od częstotliwości i rozległości wcześniejszych krwawień, stopnia artropatii itp.). W połączeniu z podjętą rehabilitacją takie leczenie może zapobiec bólom i zmniejszyć okresy ograniczeń ruchowych, a tym samym ułatwić codzienne funkcjonowanie. Aktualnie prowadzone są badania nad celowością wprowadzenia profilaktyki dłu-

goterminowej u seniorów. W zależności od stopnia skłonności pacjenta do krwawień i jego indywidualnej aktywności schemat profilaktyki (częstotliwość podań i dawka) może się zmieniać.

W przypadku chorób przewlekłych zdarza się często, że pacjenci nie przestrzegają ściśle zaleceń lekarza. Nie chodzi tu tylko o „posłuszeństwo” pacjenta, w grę wchodzi wiele zachowań i czynników związanych z przeżywaniem choroby, chociażby takich, jak respektowanie terminów wizyt czy higiena życia pacjenta. Istotną rolę odgrywa w tym przypadku edukacja terapeutyczna, a jakość relacji pacjent – lekarz w sposób bezpośredni rzutuje na współpracę pacjenta z lekarzem i przestrzeganie jego wskazówek.



Opór wobec profilaktyki to także problem istniejący od dawna. Najczęstszym powodem odstępstwa od profilaktyki jest dostęp do żył czy też długotrwałość leczenia. Dostęp do żył ułatwia się m.in. stosując dojście centralne. Wpływ na postrzeganie potrzeby leczenia dziecka ma także historia rodziny, komplikacje wynikłe z krwawień, relacje z personelem medycznym, warunki dostępu do leczenia (odległość od centrum leczenia, stosunek rodziców dziecka do jego leczenia, leczenie domowe), udział w programach, dostęp do informacji (centrum leczenia hemofilii, stowarzyszenia). W efekcie świadomość terapeutyczna, wsparcie psychologiczne, zachęcanie rodziców i dziecka do profilaktyki długoterminowej są czyn-

nikami wzmacniającymi leczenie. Leczenie domowe, zostawiając w rękach pacjentów odpowiedzialność za podjętą terapię, sprzyja pewnym odstępstwom od zaleceń lekarskich. Niezależnie od wieku pacjenta pewne epizody zniechęcenia czy zwątpienia w celowość profilaktyki się zdarzają i należy je wziąć pod uwagę. Bardzo istotnym elementem w edukacji terapeutycznej jest wewnętrzna zgoda pacjenta na podjęte leczenie. Pacjent powinien czuć się pierwszoplanowym aktorem w swoim leczeniu.

Zdaniem profesora Chambosta ocena przebiegu profilaktyki nie polega tylko na prześledzeniu dawek w konkretnych dniach i częstotliwości podań. Istotne jest także, by dawka i dzień podania korespondowały z potrzebami zabezpieczenia. Czynnikiem wspomagającym leczenie profilaktyczne jest rehabilitacja, jak i wszelka aktywność fizyczna sprzyjająca wzmocnieniu mięśni.

Nade wszystko jednak elementami kluczowymi leczenia profilaktycznego są przestrzeganie zaleceń lekarskich oraz udział w programach edukacji terapeutycznej przez całe życie.

Tekst powstał na podstawie artykułu prof. Hervé Chambosta *La prophylaxie, traitement de référence pour l'hémophilie sévère: particularités et difficultés selon les périodes de la vie*, „Hémophilie et Maladie de Willebrand”, nr 190, czerwiec 2010.

Przekład i opracowanie: Bernadetta Pieczyńska

Warto zwrócić uwagę, że przy podawaniu czynnika dwa (cz. IX) lub trzy (cz. VIII) razy w tygodniu poziom czynnika w siódmym dniu zbliża się do zera. Wykres podaje oczywiście wartości uśrednione, u każdego z nas organizm reaguje nieco inaczej.

[3] WARSZTATY EHC NA WĘGRZECH

W dniach 4–6 czerwca 2010 r. delegacja Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię w składzie: Zdzisław Grzelak (wiceprezes PSCH i Prezes Koła Terenowego PSCH we Wrocławiu) oraz Radosław Kaczmarek z Wrocławia uczestniczyła w warsztatach zorganizowanych i prowadzonych przez Briana O'Mahony (byłego prezydenta Światowej Federacji ds. Hemofilii w latach 1994–2004, a obecnie prezesa Zarządu Irlandzkiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię), Jurija Żuljowa (prezesa Rosyjskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię), Davida Wattersa (dyrektora wykonawczego Międzynarodowej Organizacji Pacjentów Chorych na Pierwotne Niedobory Immunologiczne) i dra Paula Giangrande (specjalisty hematologa z Centrum Leczenia Hemofilii i Zakrzepic Szpitala Uniwersyteckiego w Oxfordzie), które odbyły się w Budapeszcie. Oprócz delegatów z Polski w spotkaniu uczestniczyli przedstawiciele narodowych stowarzyszeń chorych na hemofilię z Węgier, Rosji i Bułgarii. Ponadto wzięli w nim udział reprezentanci narodowych stowarzyszeń chorych na pierwotne niedobory odpornościowe (PID), w tym delegaci z Polski, Węgier, Serbii, Grecji i Cypru.

Było to drugie z cyklu planowanych szkoleń dotyczących rzecznictwa w imieniu narodowych stowarzyszeń chorych. Ich celem jest zapoznanie uczestników z zagadnieniami kontaktów z decydentami i mediami. Pierwsze tego typu spotkanie odbyło się w lutym tego roku w Amsterdamie i uczestniczyły w nim kraje Europy Zachodniej. Następne szkolenie planowane jest na październik i tym razem zaproszeni zostaną przedstawiciele krajów Europy Południowej.

Warsztaty, w których wzięliśmy udział, składały się z wykładów i zajęć praktycznych. Jako pierwsi wystąpili Jurij Żuljow i David Watters, którzy podzielili uczestników na grupy mające za zadanie określenie najważniejszych szans i wyzwań stojących przed ich stowarzyszeniami. Celem tej części zajęć było zdefiniowanie wspólnych problemów pacjentów z hemofilią i tych z PID. Pacjenci cierpiący na PID to wyraźnie odmienna od hemofilików grupa chorych. PID występują znacznie rzadziej niż hemofilia, przy tym termin ten obejmuje znacznie większą liczbę jednostek chorobowych (ponad 200), a zatem jest to bardzo niejednorodna grupa chorych.

Jednak zarówno pacjentów z PID, jak i wielu hemofilików leczy się produktami osoczopochodnymi, ponieważ najważniejszym lekiem dla chorych z PID są immunoglobuliny, które

uzyskuje się wyłącznie z osocza. Co prawda w wielu krajach hemofilicy od lat mają dostęp do rekombinowanych czynników krzepnięcia, które są lekiem z wyboru w leczeniu hemofilii, a w krajach takich jak Irlandia stanowią nawet 100% zaopatrzenia, jednak czynniki krzepnięcia uzyskiwane z osocza nadal stanowią na świecie istotny element leczenia krwawień. Okazało się, że oprócz rodzaju stosowanych leków pacjentów z hemofilią i chorych na PID łączą również problemy związane z aktywnością organizacji pacjentów, takie jak m. in. niedostateczna aktywność członków, czy też lekceważenie ze strony resortów rządowych, jeśli chodzi o udział pacjentów w decyzjach dotyczących leczenia.

W dalszej części warsztatów dr Paul Giangrande i David Watters przedstawili prezentacje na temat Europejskich Standardów Leczenia Hemofilii, a także zaleceń w leczeniu PID. W dużej mierze celem prezentacji było wskazanie danych, jakimi warto posługiwać się w działaniach na rzecz poprawy leczenia.

Sobotnie zajęcia rozpoczęły się wykładem Briana O'Mahony, jak skutecznie oddziaływać na decydentów, by uzyskać poprawę leczenia i opieki nad chorymi. Były to bardzo cenne wskazówki, zwłaszcza, że wyływały z wieloletniego doświadczenia Briana jako prezesa irlandzkiego stowarzyszenia chorych na hemofilię, które przez ostatnie 30 lat przeszło niebywałą drogę od czasu, kiedy leczenie hemofilii w Irlandii znajdowało się na bardzo niskim poziomie, do chwili obecnej, kiedy pod względem opieki nad pacjentami z hemofilią Irlandia plasuje się wśród najlepszych krajów na świecie. Jednak jeszcze większe znaczenie ma doświadczenie Briana z okresu przewodniczenia Światowej Federacji ds. Hemofilii. W czasie swojej prezydentury w latach 1994–2004 Brian O'Mahony odwiedził 76 krajów, przyczyniając się w wielu przypadkach do istotnych zmian w jakości lub organizacji leczenia m. in. w Nowej Zelandii, Iranie, Argentynie, a także w Polsce. Warto w tym miejscu wspomnieć, że w swojej prezentacji Brian wskazywał Polskę jako kraj, który odniósł w ostatnich latach znaczące sukcesy, jeśli chodzi o rozwój leczenia hemofilii, co było bardzo miłym akcentem tego wystąpienia.

Następnie Jurij Żuljow przedstawił prezentację na temat przygotowań do spotkania z rządzącymi w sprawie leczenia. Jurij od 16 lat przewodniczy Rosyjskiemu Stowarzyszeniu Chorych na Hemofilię, a zmiany, jakie zaszły w tym czasie w Rosji pod względem leczenia hemofilii, przypominają wydarzenia, jakie miały miejsce w ciągu ostatnich kilku lat w Polsce. W Rosji, podobnie jak w naszym kraju, jeszcze kilka lat temu poziom zaopatrzenia znajdował się daleko poniżej tak zwanego minimum ratowania życia, to znaczy zalecanego przez WFH minimalnego poziomu zaopatrzenia na poziomie 2 jednostek międzynarodowych czynnika krzepnięcia w przeliczeniu na mieszkańca kraju na rok. Dziś ten wskaźnik w Rosji przekracza 3 jednostki. Zmiany te wynikały między innymi z dużej aktywności rosyjskiej społeczności hemofilowej, toteż prezentacja Jurija była bardzo wartościowa.

Następnie odbyły się zajęcia praktyczne, w czasie których uczestnicy mieli za zadanie obrać dla swojej organizacji cel na najbliższy rok, przygotować odpowiedni plan działania, po czym go zaprezentować.

W sesji popołudniowej uczestnicy zostali podzieleni na cztery grupy, dwie hemofilowe i dwie składające się z pacjentów z PID. Każda dostała za zadanie przygotowanie szczegółowego planu działania w odpowiedzi na fikcyjny problem dotyczący hemofilii lub PID. Na przykład jedna z grup hemofilowych miała przygotować plan działania w związku z pojawieniem się w mediach zmanipulowanej informacji o bardzo wysokich kosztach leczenia hemofilii, na którą krytycznie zareagowali rządzący i pacjenci z nowotworami, wskazując nadmierne finansowanie leczenia hemofilii w porównaniu do innych jednostek chorobowych. Natomiast druga grupa miała przygotować plan działania w odpowiedzi na obcięcie funduszy na zaopatrzenie w czynniki krzepnięcia. Następnie jedna grupa wzięła udział w fikcyjnym spotkaniu z przedstawicielami resortu zdrowia, w rolę których doskonale wcielili się organizatorzy warsztatów, a następnego dnia druga grupa spotkała się z dziennikarzami na fikcyjnej konferencji prasowej, przy czym w rolę dziennikarzy ponownie świetnie wcielili się organizatorzy. Według takiego samego schematu odbyła się realizacja zadań w przypadku grup PID. Było to pouczające ćwiczenie, które znacznie lepiej niż prezentacje uświadomiło uczestnikom, jak wielkie znaczenie ma przygotowanie do takich spotkań. Sobotniego wieczora odbył się jeszcze jeden bardzo cenny wykład Briana O'Mahony na temat kontaktów z mediami.

W niedzielnej sesji porannej Brian przedstawił aspekty ekonomiczne leczenia hemofilii, w tym wartościowe dane i źródła, z których warto korzystać przygotowując argumenty na rzecz wprowadzenia określonej zmiany w leczeniu hemofilii. Brian poruszył też zagadnienie problemów związanych z orzeczeniami odpowiedników polskiej Agencji Oceny Technologii Medycznych. Następnie odbyły się wspomniane wyżej fikcyjne konferencje prasowe. Każdy z członków poszczególnych grup zadaniowych otrzymał nagranie wystąpienia swojej grupy przed urzędnikami ministerialnymi lub mediami. Następnie organizatorzy dokonali zamknięcia warsztatów.

Spotkanie w Budapeszcie było bardzo cennym doświadczeniem. Takie inicjatywy są ważne dla utrzymania świadomości członków narodowych organizacji pacjentów, jeśli chodzi o znaczenie aktywności i przemyślanych działań społeczności chorych w staraniach o prawidłowe leczenie. Wielu pacjentów nie zdaje sobie z tego sprawy, tymczasem doświadczenia z różnych krajów, w tym Polski, pokazują, że działalność stowarzyszeń może odegrać pod tym względem niebagatelną rolę.

Zdzisław Grzelak i Radosław Kaczmarek

[4] POSTULAT: PROFILAKTYKA DLA DOROSŁYCH

2 czerwca br. odbyła się w Brukseli kolejna, już dziesiąta konferencja Okrągłego Stołu organizowana przez EHC – ciało zrzeszające organizacje chorych na hemofilię z całej Europy. W konferencji uczestniczyli lekarze, pacjenci, przedstawiciele komisji zdrowia Parlamentu Europejskiego oraz przedstawiciele producentów. Tym razem tematem obrad była kwestia profilaktyki dla dorosłych.

Dr Antonio Coppola ze szpitala uniwersyteckiego w Neapolu podkreślił, że profilaktyka radykalnie zmieniła historię hemofilii, w znacznym stopniu zapobiegając artropatii hemofilowej będącej skutkiem wylewów dostawowych. Światowa Federacja Zdrowia (WHO) i Światowa Federacja ds. Hemofilii (WFH) zalecają tę metodę leczenia dzieci już od 1994 r.

Dr Karin Berger z Monachium zwróciła uwagę na konieczność zebrania konkretnych danych, które przekonałyby decydentów o korzyściach ekonomicznych płynących z leczenia zapobiegawczego dorosłych chorych na hemofilię.

Brian O'Mahony (członek Komisji Koordynującej EHC) przedstawił zestawienie, ile dni w roku wynosi średnia absencja chorobowa w pracy chorego na hemofilię w czterech wybranych krajach. Okazało się, że w Szwecji, gdzie profilaktyką objętych jest 97% (!) ogółu hemofilików, ten wskaźnik wynosi zaledwie 0,46 dnia, podczas gdy w Irlandii jest to 5 dni, w Wielkiej Brytanii 6,6, a we Francji 15 dni.

Na podstawie wypowiedzi uczestników dyskusji EHC wzywa do

- **uznania korzyści leczenia profilaktycznego u dorosłych chorych na hemofilię;**
- **zebrania i opracowania danych dotyczących profilaktyki dla dorosłych;**
- **wypracowania metodologii zbierania danych i oceniania efektywności ekonomicznej profilaktyki dla dorosłych;**
- **przyjęcia wspólnych dla krajów europejskich ogólnych zasad leczenia chorób przewlekłych.**

Następne posiedzenie Okrągłego Stołu odbędzie się 17 listopada w Brukseli i będzie poświęcone standardom leczenia hemofilii.

na podst. EHC Meeting Report oprac. as

[5] ŚWIATOWY KONGRES WFH

Od 10 do 14 lipca br. trwał w Buenos Aires kolejny kongres Światowej Federacji ds. Hemofilii (WFH), tym razem niestety bez udziału naszych przedstawicieli. Z materiałów konferencyjnych dostępnych na stronie WFH wynika, że jak zwykle wygłaszane podczas kongresu prezentacje medyczne przyniosły wiele istotnych informacji dotyczących leczenia hemofilii dziś i jutro. Poniżej przedstawiamy krótką rekapitulację najważniejszych punktów.

Ciekawe informacje przyniosła prezentacja dr. Claude'a Negrier ze szpitala w Lyonie (Francja). Zapewne już wkrótce chorzy na hemofilię będą wymagać przetoczenia czynnika raz na tydzień, a nawet rzadziej – dzięki nowym metodom leczenia wydłużającym czas półtrwania czynnika. Rozwój produkcji czynników rekombinowanych zapewni poprawę jakości życia, a jednocześnie obniży koszty leczenia.

Dzięki metodzie pegylacji cząsteczki czynnika VIII są wolniej usuwane z organizmu. Obecne czynniki rekombinowane to produkty trzeciej generacji, w znacznej mierze pozbawione śladów białka ludzkiego czy zwierzęcego. Jednakże opracowywane są produkty czwartej i piątej generacji, o lepszych cechach farmakokinetycznych, wyższej produktywności i niższych kosztach. Warto tu wspomnieć o transgenicznym królikach, kozach i świniami, w których mleku zawarte są duże ilości czynnika krzepnięcia; taki czynnik można by potem oczyścić. Trwają także prace nad wydłużeniem czasu półtrwania cząsteczki czynnika VII – obecnie dla czynnika rFVIIa ten czas wynosi 2,5 godziny, ale w badaniach udało się go wydłużyć do ok. 15 godzin.

Oczywiście konieczne będzie potwierdzenie bezpieczeństwa i skuteczności tych metod w badaniach klinicznych. Niektóre z tych badań już się rozpoczęły.

Wydłużający się średni wiek chorych na hemofilię powoduje, że coraz częściej lekarze muszą mierzyć się z nowymi wyzwaniami. Dr Gerry Dolan z centrum leczenia hemofilii w Nottingham (Wielka Brytania) podkreślił, że częstość występowania takich schorzeń jak choroby serca, nowotwory, niewydolność nerek czy osteoporoza wzrasta z wiekiem. 77% osób powyżej 65 roku życia cierpi przynajmniej na dwie choroby przewlekłe, a my „nadal mamy bardzo mało doświadczenia w leczeniu współistniejących schorzeń u chorych na hemofilię w podeszłym wieku”. Brak jednoznacznych danych, ale wydaje się, że u chorych na hemofilię prawdopodobieństwo miażdżycy jest najwyżej niewiele mniejsze niż u reszty populacji. Jeśli dojdzie do tego nadciśnienie, istnieje duże ryzyko zawału serca. U starszych pacjentów należy zwracać szczególną uwagę na możliwość zatoru przy masywnych przetoczeniach czynnika po zabiegu chirurgicznym; być może należy rozważyć stosowanie w takich przypadkach ciągłego wlewu, żeby uniknąć bardzo wysokich poziomów czynnika.

Terapia genowa wciąż jeszcze nie spełnia pokładanych w niej nadziei. Na kongresie przedstawiono jednak doniesienia o nowatorskich poczynaniach w tej dziedzinie. Dr Paul Monahan z USA poinformował o badaniach nad wprowadzaniem terapeutycznych genów odpowiedzialnych za produkcję czynnika IX bezpośrednio do stawów nękanymi powtarzającymi się wylewami. Nie dawało to podniesienia poziomu czynnika w krwi obwodowej, ale wylewy ustawały. Metoda okazała się skuteczna także u myszy, u których sztucznie wywołano inhibitor o wysokim mianie (ok. 100 jedn. Bethesda).

na podst. „Hemophilia News: The official newspaper of the 2010 WFH World Congress”

oprac. as

[6] LECZENIE HEMOFILII W POLSCE

7 września br. odbyła się w Warszawie międzynarodowa konferencja „Leczenie hemofilii w Polsce – bieżąca sytuacja”. Konferencję zorganizowały wspólnie Polskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię i Europejskie Konsorcjum Hemofilowe (EHC), a patronat honorowy objęła pani minister zdrowia Ewa Kopacz. Głos zabierali m.in. dr Paul Giangrande, konsultant ds. hematologii w Oxford Radcliffe Hospital; Brian O'Mahony, prezes Irlandzkiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię i wiceprzewodniczący Komisji Przetargowej rządu irlandzkiego ds. zakupu koncentratów czynników krzepnięcia; dr Joanna Zdziarska, lekarz hematolog z Kliniki Hematologii Szpitala Uniwersyteckiego w Krakowie, oraz Bogdan Gajewski, prezes Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię. Nie zabrakło także wypowiedzi chorych oraz rodziców dzieci chorych na hemofilię. Sprawny przebieg debaty zapewniła prowadząca dyskusję red. Małgorzata Wiśniewska.

W wypowiedziach podkreślano, że wprowadzenie leczenia profilaktycznego dla dzieci stanowiło bardzo istotny skok jakościowy w opiece nad chorymi na hemofilię w Polsce. Nadal jednak pozostaje sporo problemów do rozwiązania. Jako najważniejsze wskazano:

- brak kompleksowej opieki nad chorymi na hemofilię, w tym także problemy z dostępem do rehabilitacji
- brak leczenia profilaktycznego dla dorosłych z poważnymi zmianami stawowymi
- złą wycenę procedur medycznych przez NFZ, co powoduje, że szpitalom często po prostu nie opłaca się leczyć chorych na hemofilię
- konieczność zapewnienia kompleksowego leczenia chorym z inhibitorem
- kontynuację dotychczasowego Narodowego Programu Leczenia Hemofilii, który wygasa w 2011 r.
- brak dostępu do rekombinowanych czynników krzepnięcia.

Nawiązując do tego ostatniego punktu, dr Giangrande podkreślił, że ceny czynników z osocza i rekombinowanych są bardzo zbliżone, a w ostatnim przetargu organizowanym w Wielkiej Brytanii czynniki z osocza (kupowane tam z myślą jedynie o pacjentach cierpiących na chorobę von Willebranda) były **droższe** od rekombinantów.

Dr Giangrande uspokajał też, że przejście z czynnika wytwarzanego z osocza na czynnik rekombinowany nie powoduje zwiększenia częstotliwości występowania inhibitora.

Chwaląc dotychczasowe osiągnięcia Polski, Brian O'Mahony dodał: „Pozostaje jednak jeszcze wiele do zrobienia, by można było zrealizować zalecenia Parlamentu Europejskiego. Pacjenci powinni mieć możliwość dostępu do wszystkich rodzajów leków, również tych najbezpieczniejszych, rekombinowanych. W Irlandii stanowią one 100% leków na hemofilię, na Węgrzech 40%. Pacjenci powinni mieć możliwość uczestnictwa w podejmowaniu decyzji dotyczących polityki zdrowotnej państwa w zakresie hemofilii. To może poprawić ich leczenie”.

W trakcie debaty padały także pytania pod adresem obecnych na konferencji przedstawicieli Ministerstwa Zdrowia i NFZ, m.in. o opóźnienia w realizacji programu profilaktycznego dla dzieci. Dyrektor Departamentu Leków w NFZ, p. Barbara Wójcik-Klikiewicz, tłumaczyła, że zwłoka we wprowadzaniu programu profilaktycznego wynika z problemów organizacyjnych, i obiecała, że w najbliższym czasie nowa wersja programu zacznie obowiązywać. Pani doc. Anna Klukowska uzupełniła, że podawany przez p. Dyrektora termin przetargu na czynnik do programu odbędzie się zapewne nie 14 września, lecz nieco później – ze względu na pytania firm.

Podczas konferencji oczywiście obecni byli dziennikarze. Materiały o leczeniu hemofilii pojawiły się w TVP oraz w kilku czasopismach, a także w portalach internetowych.

(as)

[7] POŻEGNANIE

Wrocławskie Koło PSCH z wielkim żalem powiadamia o odejściu naszego kolegi. 26 sierpnia 2010 r. odszedł od nas członek naszego koła, Brat Krwi – Ryszard Mazur. Zmarł nagle we śnie. Przeżył 57 lat.

Był z nami od początku istnienia wrocławskiego Koła PSCH. Był prawnikiem. Służył nam zawsze mądrą radą i pomocą prawną. Będziemy go pamiętali jako dobrego i zawsze uśmiechniętego przyjaciela.

W imieniu Zarządu wrocławskiego Koła PSCH składam wyrazy głębokiego żalu i współczucia dla jego małżonki i córek.

Cześć jego pamięci!

Zdzisław Grzelak
Prezes PSCH-Wrocław

I jeszcze kilka słów osobistych od kolegi szkolnego:

Ryśka Mazura poznałem w pierwszej klasie szkoły średniej. Podejrzewam, że był to ewenement na salę światową – dwóch hemofilików w jednej klasie. Zналиśmy się przeszło 40 lat. Szmata czasu. Jeszcze niedawno udzielał mi porady jako prawnik.

Zapamiętałem go jako człowieka łagodnego, spokojnego i bardzo otwartego na potrzeby ludzi. Ciepły, serdeczny, rodzinny (miał żonę i dwie córki), zawsze uśmiechnięty, chociaż

przez ostatnie lata zmiany zwyrodnieniowe stawów dały mu zdrowo popalić. Ja byłem (i jestem) zwolennikiem ruchu, a Rysia nie mogłem przekonać do tego rodzaju rehabilitacji, bo, jak mówił: wyleje do stawu i tak w kółko. W szkole średniej byliśmy tego samego wzrostu, ale gdy go ostatnio widziałem, to patrzyłem na niego z góry. Taki był przykurczony. Namawiałem go na endoplastykę stawów. Nie zdążył...

Ale był przystojny. Zawsze elegancki, ogolony, z laseczką. Z wiekiem stał się szpakowaty, ale szyku nie stracił. W wielu kwestiach był dla mnie wzorcem. Zawsze go szanowałem i tak będzie już zawsze.

Zdzisław Muszyński

[8] POMÓŻMY SOMALII

Zdarza się, że podczas leczenia domowego podajemy sobie kilka opakowań czynnika na jeden raz. Pozostają nam wtedy zbędne motylki. Czasami, gdy dla wygody kupimy w aptece większe strzykawki, pozostają także małe strzykawki (np. 5 ml) załączone w pudełku. Żal wyrzucić, ale co z tym zrobić?

Część kolegów przekazuje ten zbędny sprzęt jako dary dla hospicjum. To z pewnością dobre wyjście. Jest jednak także inna możliwość. Takie dary chętnie przyjmuje Fundacja Dla Somalii.

Od 1991 r. Somalia jest pogrążona w stanie wojny domowej. W tym afrykańskim kraju:

- co czwarte dziecko umiera na skutek choroby i braku pomocy medycznej
- co trzy sekundy z głodu i choroby umiera człowiek
- 98% dzieci nie potrafi czytać i pisać.

Kraj i jego obywatele wołają o międzynarodową pomoc. Taką pomoc próbuje zapewnić Fundacja, prosząc o wsparcie finansowe, jak i o dary rzeczowe w postaci np. materacy, koców, suchego jedzenia (cukier, mleko w proszku, makaron, ryż). My naszymi darami możemy pomóc szpitalowi w Adado, który jest jedyną placówką medyczną w promieniu 450 km.

Fundacja działa od 2007 r. Można ją znaleźć w internecie na stronie www.fundacjadlasomalii.org.pl. Twarzą Fundacji w mediach jest znany aktor Krzysztof Pieczyński.

Dary można przesłać pod następujący adres: Fundacja Dla Somalii, ul. Filtrowa 71a/3, 02-055 Warszawa. Dodatkowe informacje można uzyskać pod numerem telefonu (jest to zarazem faks): 22 658 04 87.

Pamiętajmy tylko, że motylki czy strzykawki muszą być w nienaruszonych opakowaniach, by można je było bezpiecznie wykorzystać.

Współzałożycielka i animatorka Fundacji, p. Jolanta Opalińska, upoważniła mnie do przekazania podziękowań wszystkim, którzy do tej pory przekazali już sprzęt, a podobno jest tego niemało.

(as)

[9] BAJKA O JEŻYKU IGIEŁCE I KOMARZE KŁUJACZKU

Był sobie raz mały Jeżyk Igiełka. Mieszkał na skraju zielonego lasu z siostrzyczką, braciszkiem i rodzicami. Bardzo lubił baraszkować z rodzeństwem i innymi zwierzątkami. Lecz pewnego dnia okazało się, że nasz Jeżyk, choć bardzo szybko biega, to równie szybko... staje się niebieski. A to dlatego, że gdy się choć odrobinę uderzy i nie weźmie lekarstwa, to zaraz robią mu się siniaczki. Na dodatek, niestety, nasz Jeżyk bardzo nie lubi swojego lekarstwa, bo trzeba je podawać igiełką. I mimo że nasz Jeżyk, jak na jeża przystało, sam ma kolce, to na widok igiełki zwija się w kuleczkę.

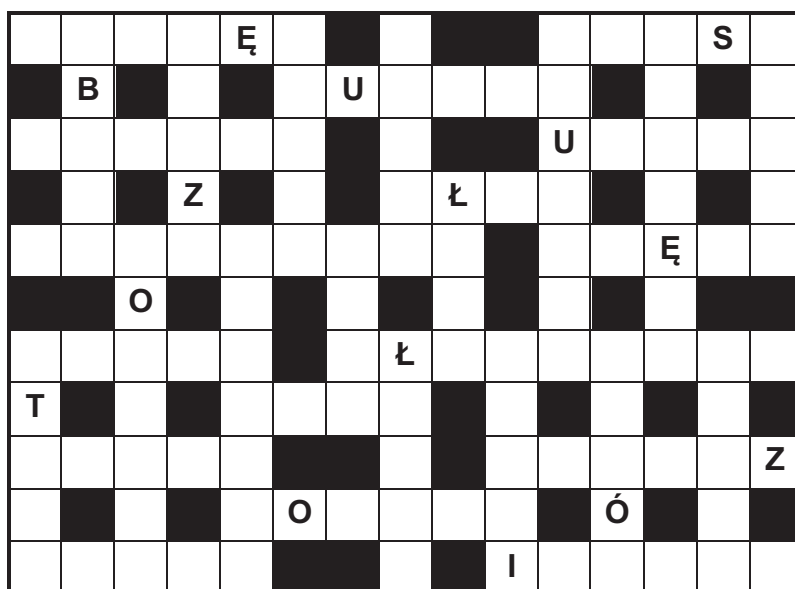
Na nic tłumaczenia, próby i starania. – *Jeżyku, to naprawdę nie boli! Zobacz, twoje kolce są przecież dużo większe!* – wyjaśniają mama, tato i rodzeństwo. A Jeżyk ciągle swoje. Gdy tylko igiełka z lekarstwem pojawia się na horyzoncie, Jeżyk hop w kuleczkę i kolce do

góry! – Nie dam się ukłuć, nie dam! Ja kłuję! A sam ma kolce tak ostre, jak niedźwiedź pazury.

Aż pewnego dnia nadleciał Komar Kłujaczek i woła: *Jeżyku, jakiś ty słodki, a dziabnę cię tu i tam, no chodź, a masz!* I nim się Jeżyk w kuleczkę zwinął, Komar myk – w sam czubek nosa. *Aj! Aj, aj!* – zapiszczał Jeżyk. – *To ja już wolę moje lekarstwo! Igielka z moim zastrzykiem nie swędzi, mama zawsze mnie uprzedza, gdzie mnie ukłuje, i na dodatek przestają się robić niebieski. A teraz co? Mam bąbla na nosie, swędzi i puchnie, ale najgorsze jest to, że ten komar nawet mnie nie zapytał, czy można...* Od tej pory Jeżyk sam chodzi do mamy po lekarstwo, gdy tylko poczuje, że zaraz zrobi się znów niebieski. I bardzo nie lubi komarów.

Bernadetta Pieczyńska

[10] JOLKA



Określenia wyrazów podano w zmienionej kolejności.

- profesja
- na nim grają piłkarze
- wzmożone napięcie nerwowe
- niejedna na Nilu
- rezultat
- studencka książeczka z ocenami
- rozwój, doskonalenie się
- mieszkanie Krasuli
- królowa albo caryca
- wykonywane kredkami
- trunek z gwiazdkami
- ogólnie o cennym metalu
- podpowiada aktorom
- noga psa
- Pacyfik lub Atlantyk
- ceremonie religijne
- zwięzony koniec buta
- zmierzwiona sierść
- budka z gazetami
- wystrzeliwana pod wodą
- U w skrócie UE
- potocznie o nartach
- Wit, sławny rzeźbiarz
- owoc lub nietalający ptak
- wrzątek
- samica jelenia
- nie oryginał
- barwny ptak o melodyjnym głosie
- duża u otyłego
- figiel
- kwiatostan żyta lub pszenicy
- spokojnie znosi przeciwności losu

Adam Sumera

BIULETYN INFORMACYJNY Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię.

Do użytku wewnętrznego.

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

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: rprencel@gmail.com; psch_lodz@interia.pl;