



BIULETYN INFORMACYJNY

Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię

NR 2 (49)

LATO 2014

Ten Biuletyn musimy zacząć w dość alarmistycznym nastroju, ponieważ wprowadzone przez Ministerstwo Zdrowia cięcia w budżecie przeznaczonym na zakup czynników w ramach Narodowego Programu Leczenia Hemofilii stawiają pod znakiem zapytania możliwość utrzymania dotychczasowego poziomu leczenia dorosłych z hemofilią (od razu uspokajamy: cięcia nie dotyczą programu profilaktycznego dla dzieci). Ministerstwo obiecuje znaleźć pieniądze na czynniki – będziemy bacznie obserwować rozwój sytuacji.

Mamy jednak także dobre wiadomości. Dr Magdalena Górską-Kosicka pisze o postępach badań nad terapią genową w hemofilii (s. 5), a Radosław Kaczmarek relacjonuje doniesienia o badaniach klinicznych nad nowym lekiem dla chorych na hemofilię A (s. 6) i o nadziejach na skuteczniejsze metody leczenia wirusowego zapalenia wątroby typu

C (s. 11).

Miło nam poinformować o prestiżowej nagrodzie dla naszego Stowarzyszenia, wybraniu prof. Jerzego Windygi do władz World Federation of Hemophilia (s. 6) oraz o wyróżnieniach dla opiekujących się nami lekarzy z Krakowa – dr Joanny Zdziarskiej i dr. Jerzego Jaworskiego (s. 7).

Piszemy o tym, co w ostatnich kilku miesiącach wydarzyło się w naszych kołach terenowych (s. 8), podajemy także aktualności dotyczące innych form działalności naszego Stowarzyszenia (s. 7).

Wskutek wprowadzonych ostatnio zmian prawnych, jesienią wielu z nas czeka wymiana kart parkingowych, warto zatem dowiedzieć się nieco więcej na ten temat (s. 10).

Po lekturze przyda się chwila relaksu (jolka na s. 12).

Adam Sumera

Narodowy program leczenia chorych na hemofilię zagrożony

Ministerstwo Zdrowia chce o połowę zmniejszyć budżet przeznaczony na leczenie pacjentów z hemofilią. Opieka nad chorymi na hemofilię w Polsce i tak już jest na dużo niższym poziomie niż w innych krajach europejskich. Obniżenie finansowania o połowę może cofnąć chorych do poziomu leczenia sprzed kilkunastu lat, którego efektem jest to, że większość dorosłych chorych jest kalekami, ma zaawansowane zmiany w stawach, jest na rentach inwalidzkich, wymaga poważnych operacji ortopedycznych.

Poprawę leczenia chorych na hemofilię miał przynieść Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012–18. Po dwóch latach od wprowadzenia programu Ministerstwo Zdrowia ujawniło, że

ogranicza o połowę nakłady na leczenie.

Zmniejszenie budżetu Narodowego Programu zagraża zdrowiu i życiu chorych. Poza tym brakuje jasnych zasad kontynuacji Programu i analiz potwierdzających zasadność proponowanych zmian. Odejście od standardów europejskich może oznaczać dla nas realne niebezpieczeństwo w dostępie do leków i zagrożenie realizacji Narodowego Programu Leczenia.

Celem Narodowego Programu było zapewnienie chorym niezbędnej ilości leków oraz poprawa jakości życia. Program został wypracowany dzięki wspólnym wysiłkom Ministerstwa Zdrowia, Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię oraz Grupy Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów. O planowanych zmianach Ministerstwo nie powia-

domiło ani lekarzy, ani stowarzyszenia pacjentów. O tych zmianach nic nie wiedział także prof. Wiesław Jędrzejczak, do niedawna konsultant krajowy ds. hematologii, który nie krył zaskoczenia i przyznał, że Ministerstwo Zdrowia nie konsultowało z nim żadnych zmian w Narodowym Programie Leczenia Chorych na Hemofilię.

– W trakcie prac nad budżetem państwa minister zdrowia, dysponując ograniczonymi środkami finansowymi na realizację wszystkich programów zdrowotnych, musiał dokonać odpowiedniego ich podziału – zauważa Krzysztof Bąk, rzecznik prasowy Ministerstwa Zdrowia. – Plan finansowy i środki przeznaczone w nim na zakup koncentratów czynników krzepnięcia mogą zostać zmienione, w miarę zaobserwowanych potrzeb.

Ministerstwo Zdrowia nie wyjaśnia, jakie punkty Narodowego Programu nie będą realizowane. Nie wyjaśnia też, w jaki sposób – przy zmniejszeniu finansowania Narodowego Programu o połowę – ma zamiar zapewnić bezpieczeństwo chorym. Wydaje się za to, że Ministerstwo postanowiło „pozbyć się problemu” i przenieść Narodowy Program do NFZ. Chorzy obawiają się, że nie poprawi to ich leczenia, ponieważ w NFZ nie ma pieniędzy, które można by przeznaczyć na leczenie hemofilii. Przeniesienie programu do NFZ stoi też w sprzeczności z założeniami Programu opartymi na zaleceniach Parlamentu Europejskiego oraz z tym, jak wygląda leczenie w innych krajach Europy. Hemofilia jest chorobą rzadką, której leczenie w Europie pozostaje w gestii poszczególnych ministerstw zdrowia.

– Program Leczenia Chorych na Hemofilię zbliżył nasz kraj i polski system opieki zdrowotnej do standardów, jakie od lat panują nie tylko w bogatych krajach Europy Zachodniej, ale także u naszych sąsiadów. Przyjęcie Programu było wielkim sukcesem naszego wspólnego działania. W przypadku rezygnacji z realizacji zapisów Programu cofnęlibyśmy się do poziomu krajów Trzeciego Świata – ostrzega prof. Krystyna Zawilska, przewodnicząca Grupy ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów.

Brak poprawy leczenia chorych na hemofilię: Narodowy Program tylko na papierze

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię nie jest realizowany. Wiele jego zapisów pozostaje tylko na papierze. Zaplanowane na 2014 rok zmniejszenie środków o połowę może oznaczać faktyczną likwidację Programu, do czego nie przyznaje się Ministerstwo Zdrowia.

Brak ośrodków leczenia

Zgodnie z zapisami Narodowego Programu, w 2012 r. w Polsce miały powstać pierwsze dwa ośrodki referencyjne zapewniające chorym na

hemofilię kompleksową opiekę. Wzorem innych krajów, w ośrodku pacjent miał mieć zapewnioną opiekę lekarza hematologa, ortopedy, fizjoterapeuty, hepatologa, stomatologa. Ani jeden taki ośrodek nie powstał ani w roku 2012, ani w 2013. Nie zanosi się też, żeby powstał w 2014 roku.

Brak ośrodków oznacza, że chorzy nie mają odpowiedniej rehabilitacji, której wymagają po wylewach, nie są objęci opieką ortopedyczną, nie prowadzi się powszechnie badań na obecność wirusów zapalenia wątroby B i C, chorzy nie są kierowani na leczenie przewlekłego zapalenia wirusowego wątroby, które grozi marskością, rakiem wątroby i śmiercią. Ośrodki tworzy się tylko na papierze, zmieniając co roku daty ich powstawania: z 2012 roku na 2013, z 2013 na 2014, a w 2014 mówi się o 2015.

Tworzenie ośrodków kompleksowej terapii zaleca Parlament Europejski, od dawna są one standardem w krajach zachodnich i u naszych sąsiadów. Kompleksowa opieka przynosi znakomite efekty: chorzy są bardziej sprawni, mogą pracować, nie są na rentach, co jednocześnie stanowi oszczędność dla budżetu.

Brak leczenia profilaktycznego

Problem hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych dotyczy w Polsce ponad 4500 osób (połowa to chorzy na hemofilię). Następstwem choroby są krwawienia wewnętrzne, najczęściej do stawów, co powoduje ich zwyrodnienie, a dla chorych oznacza kalectwo. Niektóre krwawienia mogą zagrażać życiu. Hemofilia jest jednak chorobą dobrze poddającą się leczeniu – dzięki dostępowi do nowoczesnych czynników krzepnięcia można szybko zahamować krwawienie, a dzięki leczeniu profilaktycznemu, zapobiec krwawieniom, co umożliwi normalne życie. W Polsce tylko dzieci do 18. roku życia z ciężką postacią hemofilii mają zapewnione leczenie profilaktyczne.

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię zakładał od 2014 roku wprowadzenie profilaktyki dla wszystkich chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, u których jest to wskazane. Z powodu planowanych przez Ministerstwo Zdrowia cięć finansowych wprowadzenie profilaktyki od tego roku jest poważnie zagrożone. Chorzy nadal będą narażeni na kolejne wylewy niszczące stawy.

Konsekwencją ograniczenia finansowania Narodowego Programu może być też dalszy brak profilaktyki dla chorych z inną skazą krwotoczną – ciężką postacią choroby von Willebranda typu 3. Profilaktyki nie mają nawet dzieci, choć jej brak oznacza liczne krwawienia, które w konsekwencji prowadzą do kalectwa.

– Córka w wieku 5 lat miała zagrażające życiu krwawienie do jamy brzusznej. Często ma

krwawienia z nosa, które trudno zahamować, zdarzył się też poważny wylew do oka: zdaniem okulisty, gdyby to był wylew do źrenicy, to córka straciłaby wzrok – mówi mama 11-letniej dziewczynki z chorobą von Willebranda typu 3. – Dlaczego ona i garstka dzieci z chorobą von Willebranda w Polsce jest skazywana na cierpienie?

Brak najbezpieczniejszych leków

O tym, że jesteśmy daleko w tyle w leczeniu chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, świadczy też fakt, że Polska jest jednym z nielicznych krajów Europy, gdzie stosuje się prawie wyłącznie krwiopochodne czynniki krzepnięcia. Wyjątek stanowi niewielka część dzieci

leczonych profilaktycznie.

Rekombinowane czynniki krzepnięcia, uzyskane metodami biotechnologii, są obecnie uważane za najbezpieczniejsze leki. W wielu krajach stanowią standard leczenia, są stosowane także na Litwie (stanowią 53% wszystkich stosowanych tam leków, dostają je też wszystkie dzieci), w Czechach, na Węgrzech. – Choć obecnie uważa się, że żaden z czynników krzepnięcia wytwarzanych z osocza nie niesie ryzyka zakażenia np. wirusowym zapaleniem wątroby typu B i C, nie można przewidzieć, jakie jest ryzyko przeniesienia nowych, nieznanych czynników zakaźnych – mówi prof. Zawilska.

(materiały prasowe PSCH)

Konferencja prasowa PSCH: walka o budżet



dr hab. Anna Klukowska, prof. Krystyna Zawilska, dyr. Joanna Kilkowska, Bogdan Gajewski

17 kwietnia br., w światowym Dniu Chorych na Hemofilię, Polskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię zorganizowało konferencję prasową. Tematem było zmniejszenie przez Ministerstwo Zdrowia o połowę budżetu na leki, który zaplanowano w Narodowym Programie Leczenia Chorych na Hemofilię na 2014 r.

Obecna na konferencji Joanna Kilkowska, dyrektor departamentu polityki zdrowotnej Ministerstwa Zdrowia, potwierdziła, że na 2014 r.

przewidziano połowę środków zapisanych w Narodowym Programie. Poinformowała też, że już ok. 70 proc. pieniędzy zaplanowanych na 2014 r. zostało przez Ministerstwo rozdysponowane.

– Takie plany są bardzo niepokojące. Zmniejszenie o połowę pieniędzy na leki może stanowić zagrożenie dla zdrowia i życia chorych na hemofilię. Mogłoby zabraknąć czynników krzepnięcia do zapobiegania krwawieniom m.in. podczas operacji i rehabilitacji – powiedziała prof. Krystyna Za-



W konferencji wzięło udział wielu dziennikarzy oraz pacjentów z całej Polski

wilska, przewodnicząca Grupy ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów.

– Jeśli Ministerstwo tak drastycznie zmniejszy budżet, szpitale znów zaczną się wypełniać chorymi na hemofilię, powstanie armia inwalidów – mówił Bogdan Gajewski, prezes Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię, tłumacząc, że jeśli pacjenci są dobrze leczeni, to nie wymagają kosztownych operacji wszczepienia endoprotez, mogą być sprawni i samodzielni.

Obecni na konferencji pacjenci wskazywali też na inne mankamenty leczenia, w tym na brak kontynuacji profilaktyki po 18. roku życia, co powoduje, że młodzi ludzie mają trudności z nauką i podejmowaniem pracy, gdyż uniemożliwiają im to bolesne wylewy. Problemem jest też brak rehabilitacji, wydawanie leków w dawkach jak dla dzieci (po 250 jednostek), przez co podawanie czynnika trwa ponad godzinę, a w tym czasie może rozwinąć się wylew. Przede wszystkim brakuje jednak ośrodków kompleksowego leczenia: pierwsze miały powstać już w 2012 r., jednak do tej pory nie utworzono żadnego.

Przypomniano, że dzieci chore na ciężką postać choroby von Willebranda nie mają leczenia profilaktycznego, choć wylewy mogą być

niebezpieczne dla życia. Dyr. Joanna Kilkowska przyznała, że problem pominięcia leczenia profilaktycznego choroby von Willebranda został zauważony przez ministerstwo. Powiedziała, że zrobiono wstępne analizy finansowe wprowadzenia profilaktyki, ale ostateczne decyzje jeszcze nie zapadły.

Dyr. Kilkowska przekazała też informację od wiceministra Cezarego Rzemka, że Ministerstwo zapewni chorym na hemofilię ciągłość leczenia, oraz obietnicę, że na ten rok budżet na leki zostanie zwiększony. Nie podała jednak żadnych konkretnych kwot, kiedy Ministerstwo znajdzie dodatkowe pieniądze i w jakiej wysokości.

– Umowy są po to, by ich dotrzymywać, a Ministerstwo Zdrowia, przyjmując przed dwoma laty Narodowy Program, zobowiązało się do jego przestrzegania – powiedział dr Zdzisław Grzelak, prezes wrocławskiego Koła PSCH, przekazując przedstawicielce ministerstwa protest wrocławskiego koła przeciw ograniczeniom budżetu na hemofilię (piszemy o tym w sekcji poświęconej działalności Kół).

Mimo zapewnień dyr. Kilkowskiej, na razie żadne konkretne decyzje nie zostały przez Ministerstwo Zdrowia podjęte.

(materiały prasowe PSCH)

Terapia genowa w hemofilii

Pierwsze próby terapii genowej w hemofilii rozpoczęto już w latach osiemdziesiątych. Przez ponad 30 lat wykorzystywano wiele metod mających doprowadzić do stałej, terapeutycznej aktywności czynnika VIII/IX w surowicy doświadczalnych zwierząt cierpiących na hemofilię. Udało się uzyskać długotrwałe „wyleczenie” myszy z hemofilią A i B. Opisywano także pojedyncze przypadki trwałego wzrostu aktywności brakującego czynnika krzepnięcia u większych zwierząt. Niestety, w przypadku ludzi nie opracowano jeszcze skutecznej metody terapii genowej.

W 2011 r. opublikowano doniesienie o uzyskaniu długotrwałego wzrostu aktywności czynnika IX po dożylnym podaniu wektora AAV (adeno associated virus) z wszczepionym genem czynnika IX u sześciu mężczyzn z ciężką postacią hemofilii B. W 2013 r. na zjeździe Amerykańskiego Towarzystwa Hematologii ci sami autorzy przedstawili pozytywne wyniki leczenia kolejnych czterech pacjentów cierpiących na hemofilię B. Niestety, efekty terapii genowej są nadal niezadowolające.

Jedną z przyczyn jest obecność u ludzi przeciwciał neutralizujących wektory AAV. Przeciwciała te powstają w wyniku ekspozycji na „dziką” postać wirusa zawierającego wektor wykorzystywany w terapii genowej.

Szacuje się, że występują one u ok. 40% populacji. Kolejnym problemem jest opracowanie wydajnej i bezpiecznej techniki produkcji wektora. Obecnie stosowane metody pozwalają na jednorazowe uzyskanie ilości wektora dla 7–35 pacjentów.

W procesie produkcyjnym wykorzystuje się linie komórek ssaków, najczęściej HEK 293 z trzema plazmidami – pierwszym kodującym geny strukturalne i umożliwiającym replikację wektora AAV, drugim zawierającym geny pomocnicze i trzecim z genem czynnika krzepnięcia. Alternatywą może być wykorzystanie jako wektorów bakulowirusów.

Obecnie prowadzone są trzy badania kliniczne z wykorzystaniem terapii genowej w leczeniu chorych z hemofilią B, a planowane są kolejne dwa. Postęp badań jest powolny, gdyż wielu pacjentów nie spełnia kryteriów nieposiadania przeciwciał neutralizujących wektor AAV.

Odstęp czasowy pomiędzy włączanymi do badania pacjentami jest wydłużony z uwagi na konieczność obserwacji każdego chorego pod kątem występowania objawów niepożądanych. Pacjenci mają także obawy przed poddaniem się takiej terapii i nie zawsze są chętni do

uczestniczenia w takich próbach klinicznych. Wątpliwości te mogą zostać rozwiane dopiero wtedy, gdy dostępne będą dane z długoterminowej obserwacji chorych leczonych tą metodą.

Wiele prowadzonych badań dotyczyło także hemofilii A. Próbowano wprowadzać gen czynnika VIII do fibroblastów, wykorzystywano wektory retrowirusowe i adenowirusowe. Nie udało się jednak uzyskać trwałego wzrostu aktywności czynnika VIII. Obecnie trwają próby na zwierzętach laboratoryjnych z zastosowaniem wektorów lentiwirusowych.

Badania prowadzone w ośrodku autora skupiają się na wykorzystaniu wektorów AAV, cechujących się potwierdzonym bezpieczeństwem. Jednorazowe dożylne podanie wektora AAV chorym z hemofilią B powoduje utrzymujący się powyżej 36 miesięcy wzrost aktywności czynnika IX wynoszący od 1 do 6%. Prowadzi to do zmiany ciężkiej postaci hemofilii na umiarkowaną lub łagodną. Więcej niż dwie trzecie chorych, którzy przed terapią genową stosowali profilaktykę, po zastosowanym leczeniu zaprzestało jej. W okresie obserwacji nie występowały u nich żadne samoistne wylewy. Pozostali zmniejszyli częstość profilaktycznych podań czynnika IX.

Terapia genowa w hemofilii A z powodu bardziej skomplikowanej budowy czynnika VIII oraz dużego rozmiaru genu pozostaje o wiele większym wyzwaniem niż w hemofilii B. Prowadzone są liczne badania nad modyfikacją cząsteczki, która ułatwiłaby wprowadzenie genu do wektora AAV. Usunięcie domeny B z cząsteczki czynnika VIII powoduje zmniejszenie jej rozmiaru bez wpływu na efekt leczniczy. Koncentrat czynnika VIII pozbawiony domeny B jest już stosowany w leczeniu chorych na hemofilię. Istnieją również obiecujące wyniki stosowania terapii genowej z użyciem wektora AAV, do którego wszczepiono gen pozbawionego domeny B czynnika VIII.

Próbowano też jednoczesnego podawania dwóch wektorów AAV, z których jeden zawierał gen dla lekkiego łańcucha, a drugi dla ciężkiego łańcucha czynnika VIII. Wewnątrzkomórkowe połączenie obu łańcuchów powadziło do powstania czynnej cząsteczki czynnika VIII. Prowadzone są także badania nad umieszczaniem różnych części genu czynnika w dwóch wektorach AAV.

W ośrodku autora stworzono wektor AAV ze zmodyfikowaną, pozbawioną domeny B cząsteczką czynnika VIII (AAV-HLP-codop-hFVIII-v3), który wykazał się skutecznością na modelach zwierzęcych. W 2015 r. planowane jest rozpo-

częście badania klinicznego z zastosowaniem tego wektora u ludzi.

Na etapie badań przedklinicznych pozostaje także wykorzystywanie w hemofilii A rekombinowanych wektorów retrowirusowych.

dr n. med. Magdalena Górską-Kosicka

oprac. na podst.: High KH, Nathwani A, Spencer T, Lillicrap D, Current status of haemophilia gene therapy, „Haemophilia” 2014, 20 ((Suppl. 4) 43-49.

przedruk z portalu hematoonkologia.pl za zgodą autorki i wydawcy

Obiecujące wyniki fazy I/II badania klinicznego nowego leku na hemofilię A

Pewnego rodzaju wadą VIII czynnika krzepnięcia w porównaniu z czynnikiem IX jest ścisła zależność jego okresu półtrwania od czynnika von Willebranda. W związku z tym żaden z dłużej działających rekombinowanych czynników VIII, które wkrótce pojawią się na rynku, nie ma okresu półtrwania wydłużonego o więcej niż 1,6 raza. Być może jako pierwszy przełamie ten impas lek o nazwie ACE910. Substancją czynną ACE910 jest przeprojektowane metodami biologii molekularnej przeciwciało, które naśladuje swoją budową przestrzenną i funkcją czynnika VIII krzepnięcia, tzn. pozwala czynnikowi IX na aktywację czynnika X. ACE910 jest przy tym niezależny od czynnika von Willebranda, dzięki czemu jego okres półtrwania może być wystarczająco długi, aby jedno podanie tygodniowo pozwalało zapobiegać krwawieniom.

Lek ten można będzie prawdopodobnie podawać podskórnie. Ponadto będzie on mógł być podawany zarówno pacjentom z niepowikłaną hemofilią A, jak i u chorych z hemofilią A powikłaną inhibitorem, ponieważ mimo podobieństwa do czynnika VIII ACE910 na tyle różni się pojedynczymi elementami swojej struktury, że nie jest rozpoznawany przez inhibitory czynnika VIII. Jak dotąd, w badaniach z udziałem zdrowych osób nie zaobserwowano istotnych klinicznie działań niepożądanych leku. Badania z udziałem chorych na hemofilię wciąż trwają. Szczegóły nie są znane, ale można przypuszczać, że wszystko idzie w dobrym kierunku, ponieważ producent z rozmachem nawiązuje strategiczne relacje partnerskie i zapoznaje się z rynkiem leków stosowanych w hemofilii.

Radosław Kaczmarek

Światowe uznanie dla naszego Stowarzyszenia



Podczas tegorocznego kongresu odbywającego się w dniach 11–15 maja w Melbourne, Światowa Federacja Hemofilii (World Federation of Hemophilia, WFH) przyznała Polskiemu Stowarzyszeniu Chorych na Hemofilię prestiżowe wyróżnienie Advocacy Recognition Award w uznaniu starań stowarzyszenia o poprawę leczenia chorych na hemofilię w Polsce, w tym o zwiększenie dostępu do leczenia profilaktycznego.

Wyróżnienie Advocacy Recognition Award przyznawane jest organizacjom pacjentów z hemofilią, których działalność wybitnie przyczynia się do poprawy jakości życia chorych.

Wyróżnienie odebrał w imieniu PSCH profesor Jerzy Windyga z Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie, który podczas tego samego kongresu większością głosów został wybrany przez Walne Zgromadzenie WFH do władz tej organizacji. Gratulujemy!

Wyróżnienie naszego Stowarzyszenia tak prestiżową nagrodą oraz wybranie prof. Windygi do władz WFH to dowód docenienia wspólnych starań pacjentów i lekarzy, by nadal poprawiać poziom leczenia hemofilii w Polsce.

Radosław Kaczmarek, as

Wyróżnieni lekarze z Krakowa

Z ogromną satysfakcją i przyjemnością informujemy, że podczas III edycji Gali Wyróżnień, która miała miejsce 14 czerwca br. w Sali Obrad Rady Miasta Krakowa im. Stanisława Wyspiańskiego, prestiżowy tytuł „Mecenasa Zdrowia” otrzymała dr Joanna Zdziarska z Kliniki Hematologii CM UJ. Tytuł ten nadano za wysoki poziom świadczonych usług medycznych i za piękne realizowanie swojej misji ratowania zdrowia.

Tytuł mecenasa zdrowia jest przyznawany wybitnym specjalistom medycyny naukowej za szczególne osiągnięcia i wkład naukowy w medycynę, za rzetelność, niezawodność i ofiarność. Otrzymują go ci lekarze, którzy dzięki zaangażowaniu się całym sercem w proces leczenia i powrót pacjentów do aktywnego życia zyskali wielkie uznanie swoich pacjentów.

Na tej samej uroczystości tytuł „As Skalpela” otrzymał dr Jerzy M. Jaworski z Krakowskiego Centrum Rehabilitacji i Ortopedii. Jest to tytuł nadawany przez pacjentów chirurgom różnych specjalności medycznych, którzy zostali uznani za wybitne osobowości medyczne, godne naj-

wyższego zaufania i stanowiące wzór dla adeptów chirurgii.

Jak napisano w prezentacji na stronie organizatora tej imprezy, Gala Wyróżnień wypełnia „niszę, która – dotąd pomijana – uświadamia nam, że są wśród nas jednostki wybitne. One to swoją pasją zawodową połączoną z empatią i ciągłą chęcią czynienia dobra sprawiają, że nasze życie nabiera sensu i staje się ciekawsze, miłsze i wartościowsze. Dlaczego? Bo od tych właśnie osób uczymy się. Rozwijamy. Mając je za wzór, sami chcemy się stać lepszymi ludźmi. Ale oni sami – bohaterowie Gali Wyróżnień – na co dzień, to »zwykli« ludzie, cisi, skromni, służebni. Na pozór, nie wyróżniający się. Ktoś kiedyś powiedział: »Są wśród nas święci, o których świętości nikt nigdy się nie dowie«. I coś w tym jest...”

Gratulując naszym Wspaniałym Wyróżnionym Lekarzom, życzymy im dalszych sukcesów i wszelkiej pomyślności w pełnieniu pięknej misji ratowania życia i zdrowia pacjentów.

na podstawie materiałów
z krakowskiego Koła PSCH

Pomoc braciom krwi w Mołdawii (WFH Twinning Program)

Rok 2013 był jednocześnie ostatnim dla oficjalnej współpracy Polskiego i Mołdawskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię w ramach programu Światowej Federacji Hemofilii (World Federation of Hemophilia, WFH) pod nazwą *Twinning*. Z tej okazji WFH przysłała nam podziękowania za nasz wkład do tego programu. Nie jest to jednak koniec współpracy w ogóle, ponieważ cztery lata wspólnych działań sprawiły, że jak nikt inny rozumiemy bolączki mołdawskich kolegów i możemy im pomóc w rozwiązywaniu wciąż istniejących problemów.

W trakcie naszej współpracy nastąpiło wiele zmian. Wspólnym wysiłkiem m.in. wdrożyliśmy w Mołdawii elektroniczny rejestr chorych, wydaliśmy materiały edukacyjne i przeszkoliliśmy licznych pacjentów i ich rodziny w zakresie dzia-

łalności organizacji pacjentów na rzecz poprawy opieki nad chorymi na hemofilię; istotnie zwiększyło się zaopatrzenie w koncentraty czynników krzepnięcia. Jednym z przełomowych momentów było zeszłoroczne spotkanie delegacji WFH, prezesa Mołdawskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię, wiceprezes Rosyjskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię i niżej podpisanego z mołdawskim Ministrem Zdrowia. Pan minister wykazał duże zrozumienie i zobowiązał się jeszcze bardziej zbliżyć jakość leczenia w Mołdawii do standardów europejskich w kolejnych latach. Dziś wiadomo, że częściowo już dotrzymał tych obietnic. Jeśli tamtejsi urzędnicy nie spoczną na laurach, to mołdawskich kolegów czeka rewolucja w jakości leczenia, czego gorąco im życzymy.

Radosław Kaczmarek

Jubileusz EHC

W tym roku mija 25 lat od powstania European Haemophilia Consortium (EHC), organizacji, która skupia stowarzyszenia chorych na hemofilię z 44 krajów Europy, w tym ze wszystkich 28 państw wchodzących w skład Unii Europejskiej.

EHC aktywnie działa na rzecz poprawy jakości życia osób chorych na hemofilię i inne skazy krwotoczne. Organizowane przez tę organizację konferencje i warsztaty przyczyniają się do upowszechniania wiedzy o hemofilii wśród

pacjentów i w opinii publicznej, a także przynoszą wiele aktualnych informacji o nowych sposobach leczenia skaz krwotocznych. Nasz Biuletyn wielokrotnie korzystał z materiałów przygotowywanych przez EHC, m.in. z publikowanego przez tę organizację periodyku, EHC Newsletter.

Nasze Stowarzyszenie czynnie uczestniczy w działaniach EHC. Warto także przypomnieć, że od 2012 r. we władzach EHC zasiada nasz kolega, Radosław Kaczmarek. (as)

Wytyczne leczenia hemofilii

W drugiej połowie br. ukaże się kolejna książka wydana przez nasze Stowarzyszenie, zatytułowana *Wytyczne leczenia hemofilii*. Opracowane przez Światową Federację Hemofilii (WFH) *Wytyczne*, w odróżnieniu od innych naszych publikacji, są pozycją skierowaną do lekarzy, szczególnie do tych, którzy rzadko stykają się ze skazami krwotocznymi, a potrzebują wskazówek, by móc skutecznie nieść pomoc, zwłaszcza w nagłych wypadkach. Dlatego też będziemy wysyłać tę książkę do szpitali, szczególnie do Szpitalnych Oddziałów Ratunkowych (SOR).

Jak głosi tekst na okładce: „Wytyczne leczenia hemofilii zawierają rekomendacje dotyczące klinicznego prowadzenia chorych na hemofilię. Wszystkie zalecenia poparte są najlepszymi dostępnymi w literaturze dowodami. Znalazły się tu m.in. zagadnienia dotyczące leczenia różnego rodzaju krwawień, postępowania w przypadku pojawienia się inhibitora czynnika krzepnięcia, leczenia artropatii hemofilowej, poradnictwa genetycznego, kompleksowej opieki nad chorymi”.

(as)

Wiadomości z Kół

Koło Kujawsko-Pomorskie

10 maja br. w Bydgoszczy odbyło się zebranie edukacyjne, w którym wzięło udział 34 członków. Oto autorzy oraz tematy prezentacji: dr Andrzej Kołtan: „Nowe spojrzenie na profilaktykę w hemofilii”; dr Danuta Błońska: „Hemofilia powikłana inhibitorem – aktualny stan wiedzy”; dr Katarzyna Gągola: „Zasady dystrybucji czynników krzepnięcia i desmopresyny dostępne w RCKiK w Bydgoszczy”; dr Anna Adamczyk: „Leczenie bólu u pacjenta z hemofilią”.

Ewa Szyborska

Łódź

W Łodzi Światowy Dzień Chorego na Hemofilię był okazją do zorganizowania warsztatów o charakterze praktycznym. Na spotkaniu, jakie miało miejsce 6 kwietnia, najpierw wysłuchaliśmy prezentacji prof. Krzysztofa Chojnowskiego z Kliniki Hematologii, który omówił plusy i minusy różnych grup leków stosowanych w leczeniu bólu towarzyszącego życiu wielu osób z hemofilią. Potem odbył się warsztat psychologiczny „Świadome życie w chorobie przewlekłej: pacjent–rodzina jako system wzajemnych powiązań”. Poprowadziła go dr Mariola Kosowicz, psycholog kliniczny i psychoterapeuta, kierownik Poradni Psychoonkologii w Centrum Onkologii w Warszawie. W blisko dwugodzinnej prelekcji, przedstawionej w bardzo komunikatywny sposób, pani doktor poruszyła wiele problemów psychologicznych towarzyszących chorobom przewlekłym, istotnych nie tylko dla pacjentów, ale także dla ich bliskich.

Pierwszy raz zapraszaliśmy na warsztaty nie tylko samych pacjentów, lecz także osobę towarzyszącą (najczęściej była to żona). Pomysł okazał się strzałem w dziesiątkę – dzięki temu mieliśmy okazję lepiej się poznać i zintegrować. Każdy z uczestników otrzymał interesujące i praktyczne upominki – stażę i żel do zamrażania (lepszy od tradycyjnego lodu, bo dopasowujący się do kształtu ciała).

Nie wszyscy zaproszeni skorzystali z możli-

wości uczestniczenia w warsztatach. W imieniu obecnych mogę śmiało powiedzieć: moi drodzy, jest czego żałować!

Adam Sumera

Poznań

Tegoroczny Dzień Chorego na Hemofilię obchodziliśmy w Poznaniu nieco wcześniej, ale dzięki temu wykorzystaliśmy tę okazję podwójnie – i w Warszawie, i w Poznaniu.

W stolicy Wielkopolski już pod koniec marca sympatycy naszego Koła i jego członkowie spotkali się, by omówić aktualną sytuację polskich chorych na hemofilię z perspektywy ogólnoświatowej.

Oprócz niezwykle ciekawych wykładów naszych niezastąpionych lekarzy – prof. Krystyny Zawilskiej, dr Haliny Bobrowskiej, dr. Witolda Krügera i dr Lucyny Malendowicz-Potali – mieliśmy także gości informujących o tym, jak hemofilia leczona jest poza Polską: Radek Kaczmarek pokazał z brukselskiej perspektywy to, do czego powinniśmy w leczeniu hemofilii dążyć, a przybyły z Indii Yogesh Kumar – od czego udało nam się z powodzeniem uciec.

W części medycznej naszego spotkania bardzo na czasie okazał się wykład pani prof. Zawilskiej traktujący o nosicielkach hemofilii i ich niespodziewanych problemach, a także o kobietach, u których zdiagnozowano chorobę von Willebranda. Wykład ten zbiegł się w czasie z porodem jednej z członkiń naszego Koła, szczęśliwie zakończonym dzięki wsparciu wspomnianej pani Profesor. Doktor Bobrowska wyjaśniała nam natomiast specyfikę zindywidualizowanej terapii pacjentów chorych na hemofilię. Doktor Krüger zaprezentował tajniki terapii pacjentów z inhibitorem, podczas gdy doktor Malendowicz-Potala zwróciła swą prelekcją uwagę na sposoby leczenia bólu w hemofilii.

W części pacjenckiej powiało nieco egzotyką, a to za sprawą naszego hinduskiego gościa – Yogesha Kumara, którego relację o (nie)leczeniu hemofilii w Indiach bardzo sprawnie tłumaczył

z angielskiego przybyły z Wrocławia Radek Kaczmarek, prezentujący chwilę później zupełnie inne oblicze panny hemofilii w poskromionej najnowocześniejszymi lekami postaci. Pisząca te

słowa przedstawiła pokrótce problem migracji zdrowotnych polskich hemofilików i fragmenty ich relacji cytowane w biuletynie francuskiego stowarzyszenia chorych na hemofilię.



Yogesh Kumar i Radosław Kaczmarek

Zarówno to poznańskie spotkanie, jak i konferencja w Warszawie zorganizowana właśnie z okazji światowego Dnia Chorych na Hemofilię pokazały, jak wiele w obszarze polskiej hemofilii się dzieje i jak wiele pozostało jeszcze do zrobienia.

Poniżej przedstawiamy jeszcze dwa zdjęcia z naszego spotkania.

Autorką fotografii jest Alicja Przybył, mama Konstantego - dziękujemy!

Bernadetta Pieczyńska



Wrocław

12 kwietnia br. w hotelu Mercure we Wrocławiu odbyło się spotkanie edukacyjne dla członków wrocławskiego koła PSCH połączone z Walnym Sprawozdawczym Zebraniem naszego koła. Nie muszę chyba dodawać, że spotkanie to odbyło się akurat w kwietniu, bo zbliżał się właśnie kolejny Światowy Dzień Chorych na Hemofilię (17 kwietnia).

Podczas warsztatów edukacyjnych dr Grzegorz Dobaczewski z Kliniki Hematologii Dziecięcej wygłosił wykład „Indywidualizacja terapii u chorych na hemofilię”, a piszący te słowa lek. med. Z. Grzelak, reprezentujący RCKiK we Wrocławiu,

przedstawił prezentację „Profilaktyka – jaka, kiedy, dlaczego?”

W drugiej części spotkania, podczas Walnego Zebrania Członków Koła, prezes Z. Grzelak przedstawił zebrany projekt protestu, jaki planował wysłać do Ministerstwa Zdrowia w związku z zapowiadanymi cięciami finansowymi środków przeznaczonych na zakup koncentratów czynników krzepnięcia w 2014 r. Walne Zebranie podjęło jednogłośnie uchwałę o konieczności wystosowania tego protestu do Ministerstwa Zdrowia. Wszyscy uczestnicy Walnego Zebrania złożyli swoje podpisy.

Treść protestu – na następnej stronie.

PROTEST

My, niżej podpisani członkowie Wrocławskiego Koła Terenowego Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię zebrani w dniu 12 kwietnia 2014 roku na Walnym Zebraniu Członków protestujemy przeciwko nieoczekiwanemu cięciu wydatków na leczenie hemofilii.

Dowiadujemy się oto, że nakłady na zakup koncentratów czynników krzepnięcia na rok bieżący zostaną obcięte o połowę z ok. 250 mln zł do ok. 125 mln zł. Jest to w najwyższym stopniu groźne nie tylko dla zdrowia, ale i dla naszego życia!!!

Przypominamy, że kwota 250 mln zł na zakup naszych leków w roku 2014 została zapisana i zagwarantowana w Narodowym Programie Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012–2018 podpisanym przez ówczesną panią Minister Zdrowia Ewę Kopacz w dniu 26 września 2011 roku.

Obawiamy się, że takie nieprzemyślane i wręcz bezprawne działania będą tragiczne dla zdrowia, a nawet życia wielu z nas, ludzi chorych na hemofilię.

Domagamy się dotrzymania zawartej w ww. Programie Leczenia umowy pomiędzy państwem a grupą ludzi dotkniętych przez los tą ciężką, nieuleczalną chorobą. Umów należy dotrzymywać.

Nie godzi się oszczędzać na krzywdzie i życiu najsłabszych!!!

W kilka dni później, 17 kwietnia, prezes Koła zawiązał ten protest do Warszawy na konferencję prasową zorganizowaną przez PSCH z okazji obchodzonego właśnie Światowego Dnia Chorych na Hemofilię i po odczytaniu wręczył go przedstawicielce Ministerstwa Zdrowia obecnej na konferencji.

Zdzisław Grzelak

Zmiany w wydawaniu kart parkingowych

W ubiegłym roku Sejm zmienił przepisy dotyczące kart parkingowych. Od 1 lipca 2014 r., na mocy przepisów ustawy z 23 października 2013 r. o zmianie ustawy „Prawo o ruchu drogowym” oraz niektórych innych ustaw (**Dz. U. z 2013 r. poz. 1446**), zmianie ulegają zasady wydawania kart parkingowych dla osób niepełnosprawnych i placówek zajmujących się opieką, rehabilitacją lub edukacją osób niepełnosprawnych. Skupimy się tu jedynie na najważniejszych zmianach dotyczących osób fizycznych posiadających uprawnienie do otrzymania ww. karty.

Otóż od 1 lipca 2014 r. organem wydającym kartę parkingową staje się przewodniczący **powiatowego zespołu do spraw orzekania o niepełnosprawności** właściwego ze względu na miejsce stałego pobytu osoby niepełnosprawnej. Tam też należy się udać (lub skontaktować telefonicznie) w celu uzyskania dokładniejszych informacji lub pobrania wniosku o jej wydanie.

Karty parkingowe wydane na podstawie dotychczasowych przepisów, zachowują swoją ważność do dnia określonego jako data ważności karty, nie dłużej jednak niż do **30 listopada 2014 r.**

Poniżej zamieszczam kilka najważniejszych zmian dotyczących zasad wydawania kart parkingowych:

1.* Kartę parkingową, uprawniającą do parkowania na tzw. kopertach, będą mogły otrzymać osoby ze znacznym i umiarkowanym stopniem niepełnosprawności, a jednocześnie z ograniczonymi możliwościami poruszania się. Osoby z umiarkowanym stopniem niepełnosprawności

będą mogły otrzymać kartę parkingową tylko w przypadku ustalenia przyczyny niepełnosprawności oznaczonej symbolem **04-O** (choroby narządu wzroku), **05-R** (upośledzenie narządu ruchu) lub **10-N** (choroba neurologiczna).

2. Dla osób do 16 roku życia, które nie mają w orzeczeniu określonego stopnia niepełnosprawności, warunkiem otrzymania karty parkingowej będzie ograniczona możliwość poruszania się.

3. Osoby ze stopniem lekkim nie otrzymają karty parkingowej.

4. Karta parkingowa dla prywatnej osoby będzie wydawana na czas określony, w oparciu o okres ważności orzeczenia o niepełnosprawności, ale nie dłużej niż na **5 lat**.

5. Opłata za wydanie karty parkingowej wynosić będzie 21 zł. Ponadto (ale dopiero od 4 stycznia 2016 r., czyli za mniej więcej półtora roku) wraz z opłatą za kartę parkingową będzie pobierana opłata ewidencyjna, stosunkowo niewielka.

6. Karty będą zewidencjonowane w Centralnej Ewidencji Pojazdów i Kierowców (tzw. CEPiK).

7. Została wprowadzona kara w wysokości do 2 tys. zł dla osób, które bezprawnie posługują się kartą parkingową (np. używają karty na osobę zmarłą lub nieuprawnioną).

* *Pełniejsze interpretacje zmienionych przepisów można znaleźć na stronie Biura Pełnomocnika Rządu do Spraw Osób Niepełnosprawnych (zachęcam do wejścia na tę stronę):*

<http://www.niepelnosprawni.gov.pl/aktualnosci/art384,nowe-zasady-wydawania-kart-parkingowych.html>

(rp)

Leczenie wirusowego zapalenia wątroby typu C jest bardzo łatwe

Tymi prowokacyjnymi słowami rozpoczął swój wykład prof. Jean-Michel Pawlowsky ze Szpitala Henri Mondor w Créteil pod Paryżem podczas konferencji zorganizowanej wspólnie przez Międzynarodowe Stowarzyszenie Przetwórstwa Osocza i Instytut Paula Ehrlicha w Rzymie, w dniach 8–10 maja tego roku.

Trudno jednak byłoby dyskutować z tym stwierdzeniem po wysłuchaniu całego wystąpienia, ponieważ o możliwościach i perspektywach, które roztoczył prof. Pawlowsky, jeszcze pięć lat temu mogliśmy tylko marzyć. Tylko w tym roku zatwierdzone zostały trzy nowe leki do stosowania w przewlekłym WZW C: sofosbuvir (niezależnie od genotypu wirusa), simeprewir (genotypy 1 i 4) oraz deklataswir (genotypy 1, 3, 4, 5, 6). Obecnie leki te można stosować w sześciu różnych kombinacjach dwulekowych i trójlekowych w zależności od genotypu wirusa, a odsetki trwałych wyleczeń zakażenia sięgają nawet 100% (rzadko spotykane

w Europie genotypy 5 i 6). W przypadku najczęściej występującego na naszym obszarze genotypu 1 wirusa, odsetek trwałych wyleczeń to 89%. A to nie koniec. W 2015 r. może pojawić się na rynku nawet siedem (!) nowych leków, które w próbach klinicznych spisywały się jeszcze lepiej. Leki te wykazują dużą skuteczność nawet u pacjentów, u których wcześniejsze próby usunięcia wirusa nie powiodły się, oraz u osób z zaawansowanym zwłóknieniem wątroby, także z marskością. Nowe leki powodują mniej uciążliwe skutki uboczne, a w dodatku czas trwania leczenia będzie można skrócić nawet do sześciu tygodni.

Pacjenci, którzy mieli dotąd nikłe szanse na trwałe wyleczenie lub nie mieli żadnych szans, mogą na nowo spoglądać w przyszłość z nadzieją. Jeśli to tempo zmian uda się utrzymać, to wkrótce leczenie zakażenia HCV może stać się niewiele trudniejsze od leczenia grypy.

Radosław Kaczmarek

Przypominamy o naszych publikacjach

Nakładem naszego Stowarzyszenia ukazało się już ponad dwadzieścia pozycji książkowych oraz siedem płyt DVD. Wiele z nich jest nadal dostępnych w kołach terenowych. Dokładniejszy opis każdej z tych publikacji można znaleźć na stronie internetowej:

www.hemofilia.org.pl

Wszystkie pozycje wydawane przez nasze Stowarzyszenie są BEZPŁATNE. Od pewnego czasu mamy możliwość pozyskiwania funduszy na ich publikację dzięki jednemu procentowi podatku PIT. Prosimy nie zapominać o takiej szansie przekazania wsparcia finansowego dla akcji informacyjnej prowadzonej przez PSCH. Nawet niewielkie kwoty od poszczególnych osób tworzą w ostatecznym rozrachunku sumy, które pozwalają wydać kolejną książkę.

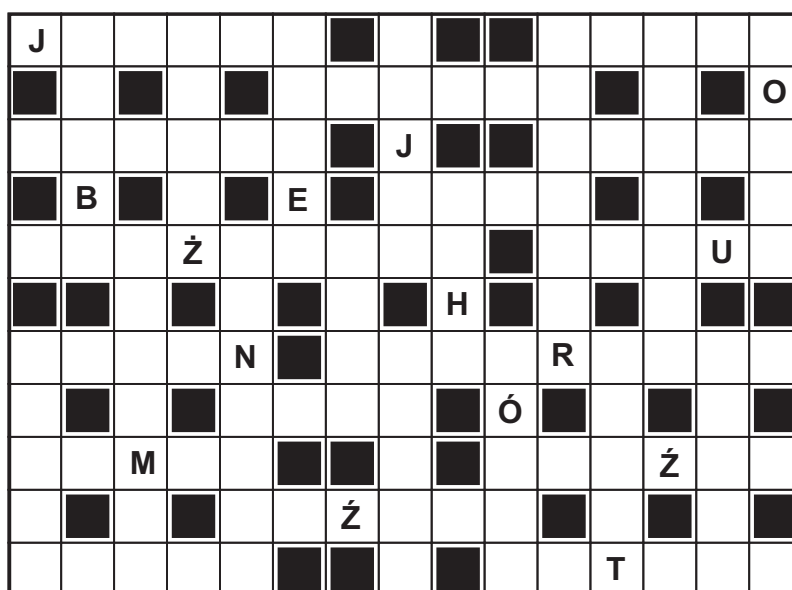


Oto kilkanaście wybranych tytułów książkowych:

- *Praktyczne rady dla chorych na hemofilię i ich rodziców*
- *Hemofilia w ilustracjach*
- *Wsparcie emocjonalne w hemofilii*
- *Samodzielne podawanie czynnika*
- *Jak wybrać opiekunkę i przedszkole.*
- *Co to są inhibitory*
- *Okres dojrzewania. Poradnik dla rodziców dzieci chorych na hemofilię*
- *Wszystko o chorobie von Willebranda*
- *Wszystko o hemofilii: poradnik dla rodziny*
- *Operacje ortopedyczne u chorych na hemofilię*
- *Ćwiczenia dla osób z hemofilią*
- *Hemofilia w wieku dojrzałym*

(as)

Jolka



Określenia wyrazów podano w zmienionej kolejności.

- mieszkaniec Zakopanego
- nauka o kwasach i zasadach
- państwo z Bagdadem
- dzieło sztuki wykonane dłutem
- lina łącząca statek z brzegiem
- naczynie na kwiaty
- lokum dla auta
- ... 007, czyli James Bond
- ani wygrana, ani przegrana
- przyda się podejrzanemu
- mieszanina głośnych dźwięków
- do kierowania koniem
- miejsce pracy kowala
- jest nim matura
- niejedna w alfabecie
- kolor pogodnego nieba
- miasto na Pomorzu, nad Wisłą
- był nim Sokrates
- okuta skrzynia na bagaże
- wydawany przez sędziego
- obrazek na ekranie monitora
- rachunek bankowy
- ... przyjęć (w szpitalu)
- młodszy od damy
- jeszcze nie ma żony
- opis życia znanej osoby
- wirnik
- bardzo wysoki budynek
- płonie w harcerskiej piosence
- dzieło poety
- narząd z bębenkiem
- przyprawa kuchenna

Adam Sumera

BIULETYN INFORMACYJNY Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię.

Do użytku wewnętrznego.

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

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 Stowarzyszenia: www.hemofilia.org.pl