



BIULETYN INFORMACYJNY

Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię

NR 2 (57)

LATO 2018

W bieżącym Biuletynie zajmujemy się przeszłością, teraźniejszością i przyszłością leczenia hemofilii. Na początek dwa artykuły mówiące o bliskiej już przyszłości. Dr Joanna Zdziarska prezentuje terapie niesubstytucyjne, tzn. leki, które nie są koncentratami czynnika VIII czy IX, ale skutecznie naśladują działanie tych substancji (s. 1). Radosław Kaczmarek, przekazując informacje uzyskane podczas kolejnego kongresu WFH w Glasgow, opisuje postępy w terapii genowej (s. 3). Aktualne problemy leczenia chorych na hemofilię w Polsce wskazujemy w relacji z konferencji prasowej zorganizowanej w Dniu Chorych na Hemofilię (s. 5). Warto podkreślić, że wspomniany w tym tekście (i w kilku innych w tym numerze) Narodowy Program Leczenia Hemofilii na lata 2019–2023 wciąż czeka na podpis ministra zdrowia, a mamy już połowę lipca.

Zamieszczamy relację z Gali 30-lecia naszego Stowarzyszenia (s. 6), wzbogaconą

o skrócone wersje dwóch prezentacji wygłoszonych podczas tego spotkania: Krzysztof Święcicki wspomina, jakimi metodami leczono hemofilię w Polsce w przeszłości (s. 9), a niżej podpisany podsumowuje działalność Stowarzyszenia od założenia do dnia dzisiejszego (s. 10). Przedstawiamy także bieżące relacje z kórt terenowych (s. 12), natomiast Bernadetta Pieczyńska zwraca uwagę na aspekty życia chorych ze skazami krwotocznymi, które rzadko trafiają do piśmiennictwa (s. 16) i opisuje światową akcję tłumaczeniową, w której uczestniczy (s. 17.).

Na osobną uwagę zasługuje nagroda światowej organizacji WFH dla prezesa naszego Stowarzyszenia, Bogdana Gajewskiego (s. 5).

Jolka ma w tym numerze wolne, ale powróci w kolejnym wydaniu Biuletynu.

Adam Sumera

Nowe możliwości leczenia hemofilii

Stoimy obecnie u progu przełomu w leczeniu wrodzonej hemofilii A. Postęp, który dokonał się w ostatnich dziesięcioleciach, doprowadził do sytuacji, w której w krajach rozwiniętych (w tym w Polsce) chorzy na hemofilię A i B niezależnie od obecności inhibitora mają dostęp do leczenia domowego, leczenia profilaktycznego, immunotolerancji oraz zabezpieczenia wszystkich niezbędnych operacji. Pod tym względem polski Narodowy Program Leczenia Hemofilii od ponad dwóch lat spełnia standardy europejskie. Jednak dostęp do najnowocześniejszych metod terapii substytucyjnej (dostarczającej bezpośrednio brakującego czynnika krzepnięcia), do których należą rekombinowane czynniki krzepnięcia VIII i IX o standardowym oraz o przedłużonym czasie półtrwania, jest w Pol-

sce jeszcze bardzo niewielki – ograniczony jedynie do najmłodszych dzieci. Istnieje realna nadzieja, że w kolejnych latach sytuacja ta będzie się poprawiać.

Od wielu lat trwają badania zarówno nad wyleczeniem hemofilii A i B (terapią genową), nad skuteczniejszymi i mniej uciążliwymi metodami usunięcia inhibitora, jak również nad nowymi metodami zapobiegania krwawieniom u chorych z inhibitorem oraz bez niego. Ideą tych ostatnich badań jest stworzenie syntetycznych cząsteczek wprowadzanych do organizmu inną drogą niż dożylna, podawanych rzadziej niż czynniki krzepnięcia, niewzbudzających inhibitora albo też skutecznych niezależnie od jego obecności. Naukowcy starali się stworzyć cząsteczki, które nie są samym czynnikiem

krzepnięcia ani jego fragmentem, ale naśladują jego funkcję we krwi lub działają w innym miejscu układu hemostazy, powodując taki sam efekt (przywrócenie prawidłowego krzepnięcia). W odróżnieniu od czynników krzepnięcia VIII i IX (terapii substytucyjnych) leki te są nazywane **terapiami niesubstytucyjnymi**.

W listopadzie 2017 r. w USA oraz w marcu 2018 r. w Unii Europejskiej została zarejestrowana pierwsza taka terapia. Wiele lat badań, rozpoczętych w Japonii przez firmę Chugai i kontynuowanych w USA i w Europie przez firmę Roche, doprowadziło do wytworzenia sztucznego przeciwciała, które naśladuje działanie czynnika VIII we krwi: łączy się z czynnikiem IX oraz czynnikiem X, uzupełniając tym samym brakujący element kaskady krzepnięcia. Substancję tę nazwano emicizumab (w badaniach klinicznych: ACE910, nazwa handlowa: Hemlibra). Emicizumab jest podawany podskórnie raz w tygodniu w postaci łatwego do samodzielnego wykonania zastrzyku, ale trwają już badania nad rzadszym schematem profilaktyki (nawet raz na miesiąc). **Hemlibra jest obecnie zarejestrowana tylko do leczenia chorych na hemofilię A powikłaną inhibitorem.** Niedługo powinna nastąpić rejestracja dla chorych na hemofilię A bez inhibitora, ponieważ producent zebrał już dane na temat jej bezpieczeństwa w tej grupie chorych (również u dzieci). Trudno jednak obecnie ocenić, kiedy to nastąpi. Lek jest już stosowany w profilaktyce u chorych z inhibitorem w USA i staje się powoli dostępny w krajach europejskich. Zastępuje profilaktykę preparatami omijającymi inhibitor (NovoSeven i FEIBA), dzięki czemu chorzy na hemofilię A powikłaną inhibitorem zyskują profilaktykę krwawień znacznie skuteczniejszą i nieporównywalnie wygodniejszą w stosowaniu.

Kolejną zaletą Hemlibry jest to, że prawdopodobnie nie wywołuje swoistego inhibitora, czyli przeciwciał niszczących emicizumab (lub wywołuje go bardzo rzadko). W takiej sytuacji pacjent może oczywiście powrócić do poprzedniej terapii (stosowania czynnika VIII lub NovoSeven / FEIBA), ponieważ inhibitor emicizumabu nie będzie niszczył czynnika VIII. Co więcej, skuteczność Hemlibry u chorych z inhibitorem sprawia, że być może w przyszłości nie będzie potrzebne wywoływanie immunotolerancji u chorych na hemofilię A, którzy wytworzyli inhibitor, ponieważ sam fakt posiadania inhibitora przestanie mieć tak ogromne znaczenie (nie

będzie pogarszał jakości życia pacjentów tak, jak ma to miejsce obecnie).

Nowa terapia niesie ze sobą jednak również pewne obawy. Emicizumab został przebadany w ramach wymaganych badań klinicznych z udziałem pacjentów, tak jak każdy inny lek dopuszczony do stosowania u ludzi. Nie gwarantuje to jednak całkowitego bezpieczeństwa – dopiero kolejne lata rutynowego stosowania tego preparatu dadzą nam możliwość pełnego poznania jego wad i zalet. Do tej pory wiadomo, że łączenie emicizumabu z dużymi dawkami preparatu FEIBA może doprowadzić do groźnych dla życia powikłań w postaci mikroangiopatii zakrzepowej (ciężkiego powikłania zakrzepowego). Dotychczasowe obserwacje wykazują, że może się tak stać wyłącznie w przypadku połączenia tych dwóch leków, dlatego wszystkie informacje dotyczące Hemlibry (również ulotka dołączona do opakowania) będą zawierały odpowiednie ostrzeżenia. Z założenia lek będzie stosowany pod nadzorem lekarzy doświadczonych w leczeniu hemofilii i dobrze zaznajomionych z mechanizmem działania emicizumabu, co ma kluczowe znaczenie dla bezpieczeństwa leczenia.

W fazie zaawansowanych badań klinicznych znajdują się również inne terapie niesubstytucyjne. Należą do nich między innymi concizumab firmy NovoNordisk (przeciwciało przeciw inhibitorowi szlaku zewnątrzpo pochodnego krzepnięcia, podawane podskórnie lub dożylnie, skuteczne również w hemofilii B, niezależnie od obecności inhibitora), fitusiran (fragment kwasu rybonukleinowego, który zmniejsza aktywność antytrombiny, podawany podskórnie raz na miesiąc, również działa w obu hemofiliach) oraz MEDI8111 (badana u myszy rekombinowana ludzka protrombina, podawana dożylnie, planowane są testy z udziałem ludzi). Coraz bardziej zaawansowane są też próby terapii genowej hemofilii A i B, prowadzone z coraz większymi sukcesami przez pięć dużych koncernów farmaceutycznych. Jest więc bardzo prawdopodobne, że oblicze hemofilii i możliwości jej leczenia (oraz wyleczenia) będą ulegać dalszym, gwałtownym zmianom.

Najpilniejszą potrzebą chorych na hemofilię w Polsce pozostaje obecnie utworzenie siatki wyspecjalizowanych, dedykowanych ośrodków leczenia skaz krwotocznych, w których pacjenci otrzymają kompleksową, fachową opiekę oraz

możliwość uzyskania wszystkich świadczeń gwarantowanych w Narodowym Programie Leczenia Hemofilii. Nadal niestety w niektórych rejonach kraju pacjenci nie mają dostępu do profilaktyki, immunotolerancji oraz – przede wszystkim – hematologów doświadczonych w leczeniu skaz krwotocznych. Jedynie w takich ośrodkach można

będzie liczyć na wdrażanie nowych, pojawiających się na rynku terapii niesubstancyjnych, odpowiednią kwalifikację pacjentów oraz bezpieczne prowadzenie terapii.

dr n. med. Joanna Zdziarska
Klinika Hematologii Szpitala
Uniwersyteckiego w Krakowie

Kongres w Glasgow pod znakiem terapii genowej

W dniach 20–24 maja br. w Glasgow odbył się kolejny kongres Światowej Federacji ds. Hemofilii (World Federation of Hemophilia). Kongres WFH odbywa się co dwa lata i jest dużym wydarzeniem zarówno dla pacjentów, jak i lekarzy oraz innych specjalistów zajmujących się hemofilią.

Każdy kongres WFH ma obszerny program, który obejmuje nie tylko hematologiczne aspekty leczenia, ale cały szereg zagadnień związanych z życiem z hemofilią i jej powikłaniami, innymi skazami krwotocznymi oraz działalnością organizacji pacjentów. Tym razem jednak terapia genowa była wyraźnie dominującym tematem wykładów plenarnych.

O postępach badań nad terapią genową regularnie informujemy na łamach Biuletynu. Dla przypomnienia: rozpoczyna się właśnie III faza (ostatnia przed wprowadzeniem leku na rynek) próby klinicznej terapii genowej hemofilii A i dwóch różnych prób w hemofilii B. U 6 z 7 pacjentów z hemofilią A, którym podano najwyższą dawkę leku, udało się trwale podnieść poziom czynnika VIII we krwi do prawidłowego poziomu (przeciętnie do 77%; zakres prawidłowy: 50–150%), który utrzymuje się już ponad rok. W badaniach terapii genowej hemofilii B na razie udało się podnieść poziom czynnika IX do normy u jednego pacjenta. Grupa badana, do której należał ten pacjent, obejmowała dziesięciu uczestników z ciężką postacią hemofilii B. Po podaniu leku aktywność czynnika IX wzrosła u nich średnio do 33,7% (czyli odpowiadającej łagodnej postaci hemofilii) i stale utrzymuje się na tym poziomie od ponad roku.

Wszystkie trzy badania kliniczne polegają na jednorazowym dożylnym podaniu wektorów wirusowych kodujących czynnik krzepnięcia VIII lub IX. Do wytwarzania wektorów wirusowych stosowanych w terapii genowej wykorzystuje się różne serotypy (odmiany) wirusa towarzyszącego adenowirusom (*adeno-associated virus*, AAV).

Wirusy AAV są niepatogenne (a więc nie niosą ze sobą żadnych chorób). Ponadto lecznicze wektory zawierają gen kodujący czynnik krzepnięcia zamiast genomu wirusowego, dlatego można powiedzieć, że jedynym wirusowym składnikiem wektora do terapii jest białkowa otoczka, której zadaniem jest ochrona przenoszonego genu (transgenu) i wprowadzenie go do komórki docelowej. Wektory stosowane w terapii genowej hemofilii wprowadzają transgen do hepatocytów (komórek wątroby). Transgen nie ulega wbudowaniu do genomu hepatocytu, co jest korzystne, ponieważ wbudowanie transgenu w przypadkowe miejsce w genomie wiąże się z ryzykiem transformacji nowotworowej.

U części pacjentów po kilku tygodniach od podania leku występuje przemijające (trwające kilkanaście tygodni) podwyższenie poziomu aminotransferazy alaninowej i asparaginowej, które są markerami funkcji wątroby. Jest to prawdopodobnie skutek odpowiedzi odpornościowej na białka otoczki wektora wirusowego. Białka te mogą pojawiać się na powierzchni hepatocytu, do którego wektor wprowadził transgen. Z kolei układ odpornościowy odpowiada na ich pojawienie się tak samo jak na zakażenie komórki „zwykłym” wirusem, to znaczy zabija taką komórkę. O ile zabicie komórki zakażonej patogennym wirusem przez układ odpornościowy jest korzystne, ponieważ uniemożliwia jego namnażanie się, zabijanie hepatocytów zawierających transgen może obniżać skuteczność terapii.

U żadnego uczestnika prób nie pojawiły się przeciwciała neutralizujące (inhibitory) czynników krzepnięcia VIII lub IX, mimo że niektórzy mieli genetyczne predyspozycje do takiej odpowiedzi. Należy pamiętać, że wbrew powszechnym skojarzeniom terapii genowej z całkowitym wyleczeniem, ewentualne wyleczenie dotyczy tutaj tylko działania układu krzepnięcia. Na przykład dla układu odpornościowego osoby z hemofilią poddanej

terapii genowej, czynnik krzepnięcia produkowany przez hepatocyt zawierający transgen jest niemal tak samo obcym białkiem, jak czynnik podawany dożylnie w koncentracji. Dlatego jednym z ważnych pytań, na które miały odpowiedzieć próby kliniczne, była kwestia, czy pacjent poddany terapii genowej może wytworzyć inhibitor. Z kolei pod względem dziedziczenia hemofilii terapia genowa również niczego nie zmienia, to znaczy dzieci osoby poddanej terapii wciąż mogą odziedziczyć gen z mutacją powodującą hemofilię, ponieważ terapia genowa nie obejmuje układu rozrodczego.

W dyskusjach często powraca pytanie o trwałość efektu leczniczego, to znaczy jak długo u pacjentów poddanych terapii będzie się utrzymywał zwiększony poziom czynnika krzepnięcia. Wciąż jest za wcześnie na odpowiedź. U pierwszych pacjentów z hemofilią B poddanych terapii jeszcze w 2010 roku nadal utrzymuje się podwyższony i stały poziom czynnika IX (odpowiadający umiarkowanej lub łagodnej postaci hemofilii). Z drugiej strony, u pacjentów z hemofilią A, którym podano dużą dawkę wektora, po ponad roku od terapii poziom czynnika VIII zmniejszył się. Niektórzy w tej grupie mieli do tej pory utrzymującą się aktywność powyżej górnej granicy normy ($>150\%$). Obecnie poziom czynnika VIII u tych pacjentów jest prawidłowy.

Wiele pytań wiąże się też z dawkami wektorów wirusowych. Dawki stosowane dotąd w próbach znajdują się w zakresie 10^{11} – 10^{14} wektorów/kg masy ciała (100 miliardów–100 bilionów). W próbach terapii w hemofilii B zaobserwowano, że większe dawki wektorów wywołują silniejszą odpowiedź odpornościową na białka otoczki wektora, co może powodować zmniejszenie efektu leczniczego. W związku z tym dużo uwagi poświęcono przygotowaniu wektorów na tyle wydajnych, żeby można było uzyskać oczekiwany wzrost aktywności czynnika IX u pacjenta za pomocą jak najmniejszej dawki wektora. Na przykład zamiast genu kodującego „zwykły” czynnik IX, do wektora wprowadzono gen z mutacją kodującą nadaktywny czynnik IX (tzw. padewski czynnik IX, nazwany tak, ponieważ mutację tę odkryto u pacjenta z zakrzepicą w szpitalu uniwersyteckim w Padwie). Czynnik ten jest prawie 10 razy bardziej aktywny od „zwykłego” czynnika IX, co oznacza, że hepatocyty mogą produkować 10 razy mniej takiego czynnika (i teoretycznie przyjąć w tym celu 10

razy mniej wektorów), a mimo to powodować takie samo zwiększenie aktywności czynnika IX we krwi jak hepatocyty zmodyfikowane przez wektory kodujące normalny czynnik IX.

Ważnym zagadnieniem jest oczekiwany wzrost poziomu czynnika krzepnięcia po terapii. W opiniach na ten temat panuje trochę zaskakujący rozdzźwięk. Można go streścić w ten sposób: pacjenci oczekują pod tym względem najwięcej od terapii („wyleczenie”, prawidłowy poziom czynnika krzepnięcia, $>50\%$ normy), oczekiwania klinicystów są umiarkowane (zmiana postaci ciężkiej w łagodną, poziom około 20–30% jest zadowalający), natomiast wymagania ekspertów z instytucji regulatorowych (EMA, FDA) są minimalistyczne (nie ma dowodów, że poziom 30–60% jest znacząco lepszy niż 10–15%, więc nie ma potrzeby „wyleczenia”). Skąd ta rozbieżność? Skuteczność standardowych terapii oceniano do tej pory na podstawie zmian w liczbie krwawień, które wystąpiły u pacjenta w ciągu roku. Leczenie profilaktyczne (którego celem jest de facto zmiana ciężkiej postaci hemofilii w umiarkowaną, to znaczy utrzymywanie poziomu czynnika krzepnięcia $>1\%$) na ogół zmniejsza liczbę krwawień z kilkudziesięciu do kilku (lub zera) rocznie. Terapia genowa także powoduje, że krwawienia przestają występować, zatem porównanie skuteczności terapii genowej z profilaktyką tylko w oparciu o ten wskaźnik pozornie wskazuje, że terapia genowa nie jest lepsza od leczenia profilaktycznego. Z kolei pacjenci obserwują u siebie nie tylko mniejszą liczbę ostrych krwawień, ale także inne (i trudniejsze do uchwycenia) zmiany w jakości życia związane z wyższym poziomem czynnika krzepnięcia, np. złagodzenie bólu stawów i możliwość podejmowania bardziej intensywnej aktywności fizycznej. Takie odczucia opisują pacjenci, których poddano przeszczepieniu wątroby (co powoduje zwiększenie poziomu czynnika krzepnięcia do prawidłowych wartości). Może to być związane z eliminacją tzw. mikrokrwawień. Istnieją dane wskazujące, że przy nieprawidłowym poziomie czynnika krzepnięcia (nawet w zakresie łagodnej postaci hemofilii: 5–50%) mogą występować mikrokrwawienia bez ostrych objawów i z czasem powodować uszkodzenie stawów. Rozmawiałem z wieloma pacjentami po przeszczepieniu wątroby odczuwającymi

znaczne zmniejszenie dolegliwości, które przypisywali wcześniej artropatii, mimo że przed przeszczepieniem wiele lat byli leczeni profilaktycznie. Szczególnie wiele mówiące były słowa jednego z nich: „Nie zdawałem sobie sprawy, jak bardzo potrzebowałem wyleczenia z hemofilii, do czasu, gdy to nastąpiło”. Innym pośrednim dowodem na to, że w łagodnej postaci hemofilii mogą występować mikrokrwawienia, jest występowanie łagodnej artropatii u nosicieli

hemofilii z poziomem czynnika krzepnięcia zbliżonym do prawidłowego. Podsumowując, zmiany w liczbie krwawień w ciągu roku są dalece niewystarczające do rzetelnej oceny skuteczności terapii genowej. Dokładna ocena wpływu terapii na jakość życia wymaga dodatkowych, czułych narzędzi. Niezależnie od tych kontrowersji, terapia genowa z pewnością będzie kolejną rewolucją w leczeniu hemofilii.

Radosław Kaczmarek

Nagroda WFH dla Bogdana Gajewskiego

Bezsprzecznie najważniejszym dla nas wydarzeniem podczas tegorocznego światowego kongresu WFH odbywającego się w Glasgow było przyznanie naszemu prezesowi Bogdanowi Gajewskiemu nagrody prezydenta WFH. Warto podkreślić, że to prestiżowe wyróżnienie, przyznawane osobom indywidualnym lub organizacjom za długoletnie zaangażowanie oraz działalność, która doprowadziła do znaczących zmian dla środowiska osób chorych na hemofilię w danym kraju, wręczono po raz pierwszy w historii WFH. Prezes Gajewski skomentował to wydarzenie następująco: „Nagroda była dla mnie dużym zaskoczeniem. Oprócz mnie dostały ją dwie osoby: jedna z Hondurasu, druga z Nigerii. Cesar Garrido, ojciec chłopca chorego na hemofilię z Wenezueli, opowiadał, że byłem jednym z czterech



kandydatów z całego świata, który został przyjęty bezapelacyjnie przez wszystkich. WFH dostrzega naszą nieugiętość i stałe starania o lepsze leczenie chorych w ciągu wielu lat. Jestem bardzo wzruszony i obiecuję starać się jeszcze więcej”.

(bp, as)

Dzień Chorych na Hemofilię

Jak co roku, 17 kwietnia nasze Stowarzyszenie zorganizowało w Warszawie konferencję prasową poświęconą problemom leczenia hemofilii w Polsce. Podkreślano, że w tym roku kończy się Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne i że ten program musi być kontynuowany, bo tylko wtedy chorzy będą mieli szansę na właściwą opiekę, której w naszym kraju wciąż brakuje. Konieczne jest utworzenie ośrodków kompleksowej terapii, w których chorzy mogliby uzyskać pomoc specjalistów – nie tylko hematologa, lecz również chirurga, ortopedy, hepatologa, stomatologa, psychologa, genetyka, a także rehabilitantów; w przypadku kobiet z chorobą von Willebranda i pokrewnymi skazami krwotocznymi konieczna jest też opieka ginekologa. Aby takie ośrodki powstały,

trzeba doprowadzić do zmiany wyceny procedur leczenia chorych na hemofilię w poradniach ambulatoryjnych.

Kolejny problem to wciąż nieuregulowana kwestia procedur ratowniczych na SOR i w szpitalnych izbach przyjęć. W przypadku urazu chorzy na hemofilię powinni jak najszybciej otrzymać czynnik krzepnięcia. Niestety, wciąż zdarzają się przypadki nieprawidłowego udzielania pomocy chorym na hemofilię: zwleknięcia lub wręcz odmowy podania czynnika. Powoduje to zagrożenie zdrowia i życia chorych na hemofilię. Polskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię już od kilku lat występuje o uznanie karty chorego „Najpierw czynnik” za oficjalny dokument, który byłby respektowany przez służby ratownicze. Niestety, apele Stowarzyszenia wciąż pozostają bez echa.

W Polsce poziom zużycia czynnika VIII na mieszkańca w 2016 r. wyniósł 6,38. To sporo, choć daleko nam jeszcze do Irlandii, gdzie wynosi on 10,84, czy do Węgier. Problemem jest jednak rodzaj stosowanych czynników krzepnięcia. Zdecydowana większość dostępnych w Polsce leków to czynniki osoczo pochodne, wytwarzane z osocza pozyskiwanego od wielu dawców, uważane przez większość ekspertów za mniej bezpieczne. W leczeniu dorosłych chorych tylko 3–5% wykorzystywanych leków to nowoczesne czynniki rekombinowane. Jak oceniła to prof. Krystyna Zawilska: „Czynniki rekombinowane to nie tylko większe bezpieczeństwo, ale też lepsza skuteczność. Modyfikacja cząsteczki pomaga uzyskać dodatkowe efekty, np. powstają czynniki o przedłużonym działaniu. Dziś pacjent z hemofilią A musi przyjmować 150 zastrzyków dożylnych rocznie. Dzięki lekom długo działającym liczna zastrzyków mogłaby zmniejszyć się do 100, a w hemofilii B – jeszcze bardziej. Pojawiają się też nowe leki, które całkowicie zmieniają leczenie chorych – można je podawać podskórnie, raz w tygodniu. Chcielibyśmy, by polscy chorzy też mieli do nich dostęp”.

Również nie wszystkie dzieci mają szansę na leczenie czynnikami rekombinowanymi. W programie leczenia profilaktycznego dzieci wciąż istnieje archaiczny zapis, nieoparty wiedzą medyczną, zgodnie z którym tylko dzieci, które nigdy nie były leczone lekami osoczo pochodnymi, mogą stosować w leczeniu czynniki rekombinowane.

Jak dobrze zorganizować opiekę nad chorymi na hemofilię, pokazuje przykład Węgier. Organizacja opieki nad chorymi ze

skazami krwotocznymi na Węgrzech jest na bardzo wysokim poziomie. Chorzy mają zapewnioną kompleksową opiekę medyczną, szeroki dostęp do rekombinowanych czynników krzepnięcia oraz możliwość korzystania z nowoczesnych terapii. David Lencses z węgierskiego Stowarzyszenia Chorych ujął to tak: „W moim kraju jest wyspecjalizowany ośrodek kompleksowej opieki dla chorych na hemofilię, który współpracuje z lekarzami i podmiotami leczniczymi, co zapewnia nam zindywidualizowaną, interdyscyplinarną opiekę. Państwo zapewnia nam sprawdzony w wielu krajach i zalecany przez Parlament Europejski efektywny model leczenia. Dzięki temu możemy prowadzić aktywne zawodowo i rodzinie życie, zapominając o chorobie”. Na Węgrzech 43% stosowanych czynników krzepnięcia to leki rekombinowane. Jeszcze raz zacytujmy Davida Lencsesa: „Od urodzenia jestem leczony profilaktycznie, zawsze byłem osobą aktywną, grałem w piłkę nożną, siatkówkę, koszykówkę, nigdy nie czułem się poszkodowany przez to, że mam hemofilię, m.in. dlatego, że państwo zapewnia mi dobry dostęp do leków i dobrą organizację leczenia”.

Prezes PSCH Bogdan Gajewski podsumował to następująco: „Mamy nadzieję, że Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, do której trafiła teraz nowa edycja Narodowego Programu, poprze go. Realizacja nowej edycji Programu może spowodować, że Polska dorówna do standardów europejskich, jeśli chodzi o leczenie hemofilii. Z nadzieją czekamy na dobry Program”.

(oprac. as)

Gala 30-lecia naszego Stowarzyszenia

16 maja br. odbyło się w Warszawie uroczyste spotkanie, podczas którego świętowano jubileusz trzydziestolecia Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię. W obecności przedstawicieli kół terenowych oraz zaproszonych gości miały miejsce trzy wystąpienia: Krzysztof Świącicki opowiedział, jak wyglądało leczenie hemofilii w okresie od końca drugiej wojny światowej do powstania Stowarzyszenia. Adam Sumera przedstawił bilans dokonań w ciągu trzydziestu lat istnienia PSCH, a prezes Bogdan Gajewski wskazał najważniejsze wyzwania, jakie stoją przed naszą organizacją w nadchodzących latach.

Potem nastąpiło wręczenie okolicznościowych statuetek, będących wyrazem uznania dla osób, które położyły istotne zasługi dla chorych na hemofilię w okresie istnienia Stowarzyszenia. Prowadząca tę część Gali Bernadetta Pieczyńska w sympatyczny sposób przybliżyła sylwetkę każdego z wyróżnionych. Statuetki otrzymali lekarze, przedstawiciele ministerstwa zdrowia oraz dziennikarze.

Jako pierwszą statuetkę otrzymała profesor Krystyna Zawilska – lekarz, który potrafi pacjentom przywracać wiarę w realność poprawy ich leczenia, pokazując, na podstawie swojego międzynarodowego

doświadczenia naukowego, jak niewiele dzieli nas od rzeczywistości bez bólu i bez lęku o dostęp do najbezpieczniejszego leczenia. Przede wszystkim jednak wspiera nas w urzędowej walce o dostęp do najnowocześniejszych leków. Pani profesor Zawilska odebrała również drugą statuetkę, jako Przewodnicząca Grupy ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów, przyznanej za zaangażowanie wszystkich członków wspomnianej Grupy w poprawę jakości leczenia chorych na hemofilię i inne skazy krwotoczne. Za wieloletnią opiekę medyczną nad chorymi na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne statuetki otrzymali także profesor Jerzy Windyga i docent Anna Klukowska. Za szczególną pomoc, opiekę i zaangażowanie w jakość leczenia chorych na hemofilię i inne skazy krwotoczne statuetki wręczono profesorowi Wiesławowi Jędrzejczakowi, docentowi Pawłowi Łagunie i doktorowi Andrzejowi Misiakowi. Za przygotowanie programu profilaktycznego dla dzieci chorych na hemofilię, a także za zaangażowanie na

rzecz chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne statuetkę odebrał Piotr Marusza. Nagrodzono również ministra Marka Balickiego, dzięki któremu stało się możliwe przyjęcie w 2005 r. Narodowego Programu. Wreszcie wyrazem wdzięczności i uznania za medialną pomoc, bez której wszelkie starania o poprawę naszego leczenia byłyby tylko głosem wołającego na pustyni, były nagrody przyznane paniom dziennikarkom: red. Joannie Mordze, red. Katarzynie Pinkosz, red. Małgorzacie Wiśniewskiej i red. Monice Zalewskiej. Bez ich wsparcia i dziennikarskiej determinacji świadomość społeczna w zakresie hemofilii niewiele różniłaby się od tej sprzed lat. Nagrodą – niespodzianką było wręczenie statuetki naszemu prezesowi, Bogdanowi Gajewskiemu za niezmiernie zaangażowanie w formalną stronę poprawy naszego leczenia, porównywalne z ostrym dyżurem pełnionym dwadzieścia cztery godziny na dobę przez siedem dni w tygodniu.

Przy okazji wręczania statuetek prowadząca całą Galę red. Iwona Schymalla



Laureaci z otrzymanymi statuetkami (brakuje jedynie red. Małgorzaty Wiśniewskiej, która z przyczyn obiektywnych dotarła na Galę dopiero po zrobieniu tego zdjęcia).



Prezentacje podczas pierwszej części Gali. Adam Sumera, Krzysztof Święcicki, Bogdan Gajewski, Iwona Schymalla.

zadawała laureatom pytania o ich wspomnienia dotyczące kontaktów z chorymi na hemofilię. Warto przytoczyć tu słowa pani docent Klukowskiej, która wspominała pierwszy obóz rehabilitacyjny dla dzieci w Spa-le. Nie było wtedy jeszcze mowy o leczeniu profilaktycznym. Krioprecypitat lub osocze trzymano w lodówce i podawano w razie wylewu. Do pływania wykorzystywano Pilicę, bo nie było dostępu do basenu. Niektórych młodych pacjentów lekarze musieli nosić nad rzekę na własnych plecach.



Dr Andrzej Misiak odpowiada na pytania red. Iwony Schymalli.

Po wręczeniu statuetek pojawił się tort urodzinowy, z logo Stowarzyszenia na wierzchu. Prezes Gajewski uroczyście ukroił pierwszy kawałek. Potem jeszcze była okazja do długich rozmów kulturalowych.

Jubileusz spotkał się ze znaczącą uwagą mediów, fragmenty relacji z Gali znaleźć można na kanale YouTube i w archiwum Forum Stowarzyszenia.

Na następnych stronach przytaczamy dwa materiały opracowane na podstawie wystąpień podczas Gali.

(as, bp)



Bogdan Gajewski ze statuetką.



Jubileuszowy tort – palce lizać.

Trochę prehistorii czyli jak to było, zanim powstało PSCH

Skrót referatu wygłoszonego na Gali z okazji 30-lecia PSCH.

Pierwszą odnotowaną w świadomej pamięci transfuzję krwi dostałem w wieku około trzech i pół roku w szpitalu wojskowym w Toruniu. Był to rok 1948. Na sali zabiegowej oprócz mnie, krwiodawcy i trzech osób bezpośrednio wykonujących przetaczanie krwi (pierwsza pobierała strzykawką krew od dawcy i przekazywała napełnioną strzykawkę drugiej, która wstrzykiwała mi pobraną krew, trzecia przepłukiwała opróżnioną strzykawkę i podawała ją pierwszej osobie) asystowała jeszcze grupa kilku lekarzy ciekawie obserwujących ten nadzwyczajny zabieg. Stan badań laboratoryjnych przetaczanej krwi był w owych czasach na tyle niedoskonały, że w dwa dni zapadłem na malarię; dopiero wtedy okazało się, że dawca w czasie wojny był w Afryce, gdzie chorował na malarię.

Wiedza o istocie hemofilii była dawniej, delikatnie mówiąc, bardzo umiarkowana. Gdy miałem pięć lat, we wrocławskiej klinice usiłowano mnie wyleczyć z hemofilii, podając co drugi-trzeci dzień dożylnie wapno. Jak na szczupłe dziecko były to duże dawki – za każdym razem po kilka strzykawek. W trakcie tej dożylniej iniekcji robiło mi się bardzo gorąco, chociaż pielęgniarka zabiegowa podawała to bardzo wolno.

Gdy skończyłem siedem lat i po serii wylewów do stawów kolanowych miałem duże kłopoty z chodzeniem, zaniecono mnie do ordynatora oddziału ortopedycznego w Bydgoszczy, lekarza z tytułami naukowymi doktora habilitowanego. Dowiedziawszy się, że w mojej rodzinie hemofilia pojawia się od szeregu pokoleń, zawołał nade mną, że to zbrodnia, iż moja mama mnie urodziła.

Latem 1952 r. złamałem nogę, kość udową, i od sierpnia do połowy października leżałem w Klinice AM przy ulicy Litewskiej. W czasie tej hospitalizacji wielokrotnie dostawałem transfuzję krwi bezpośrednio od dawców podobną techniką, jaką opisałem powyżej, tyle że był to już zabieg rutynowy wykonywany przez trzy pielęgniarki, zazwyczaj pod nadzorem jednego lekarza. Krwiodawcy przychodzili ze Stacji Krwiodawstwa przy ul. Chocimskiej 5, przy Instytucie Hematologii i Transfuzjologii, i byli znacznie lepiej sprawdzeni niż ten pierwszy, który mnie „poczęstował” malarią. Ale i tak

w jednej z transfuzji dostałem z krwią bakcyla gorączki maltańskiej. Innych niespodzianek na szczęście nie miałem.

Od czternastego roku życia byłem częstym pacjentem już bezpośrednio Instytutu Hematologii. W końcu lat 50. ubiegłego wieku krew podawano w formie kroplówki z butelki. Oczywiście była to krew świeżo pobrana. Na początku lat 60. zaczęto stosować przetaczanie osocza krwi, które można było przechowywać w stanie głębokiego zamrożenia bez straty aktywności czynników krzepnięcia. To był znaczny postęp, który wkrótce umożliwił ambulatoryjne stosowanie leczenia substytucyjnego. Pacjent z krwawieniem niewymagającym hospitalizacji spędzał kilka godzin na fotelu w korytarzu kliniki wewnętrznej Instytutu, cierpliwie czekając na rozmrożenie przepisanej przez dyżurnego lekarza dawki, a potem przyjmując kroplą po kropli zawartość wszystkich butelek osocza. Po przetoczeniu trzeba było jeszcze odczekać około godziny dla sprawdzenia, czy nie wystąpi odczyn uczuleniowy, co czasami się zdarzało, no i można było wrócić do domu. Wkrótce powstała przychodnia i pracownia pod kierownictwem docenta (później profesora) Stanisława Łopaciuka, z własną salą przetoczeń i pielęgniarką oraz drugim lekarzem. Tutaj również wykonywano zabiegi pobrań, przetoczeń i wstrzyknięć innych leków dla niewymagających hospitalizacji pacjentów niebędących hemofilikami. Przetaczanie osocza i krioprecypitatu nie wymagało uprzedniego zrobienia krzyżówki krwi, co skróciło przygotowania, ubyłoby także dodatkowe klucie na pobranie próbki krwi do krzyżówki.

Możliwość leczenia bez kładzenia się do szpitala umożliwiła wielu hemofilikom prawie normalne funkcjonowanie, ukończenie szkoły, a potem studiów i podjęcie samodzielnego funkcjonowania w społeczeństwie. Warunkiem była możliwość dostatecznie łatwego dotarcia do Instytutu. Za przykładem Instytutu w Warszawie inne ośrodki hematologiczne też zaczęły stosować podobną organizację leczenia chorych na hemofilię i inne skazy krwotoczne.

Opóźnienie w szerszym wdrożeniu leczenia czynnikami liofilizowanymi, które można przechowywać w temperaturze kilku stopni, czyli np. w domowej lodówce, oraz bardzo pragmatyczna procedura karencji zamrożonego osocza zaowocowały uniknięciem

powszechnego zakażenia polskich pacjentów wirusem HIV. Procedura wdrożona przez Polską Służbę Krwi polegała na tym, że pobrane i zamrożone osocze trafiało do magazynu-chłodni i zostawało przekazywane do terapii dopiero wtedy, gdy dawca zgłosił się drugi raz do Stacji Krwiodawstwa, a powtórne badanie nie wykazało obecności wirusa. W ten sposób polscy pacjenci uniknęli losu chorych otrzymujących czynniki antyhemofilowe produkowane masowo przez niektóre koncerny farmaceutyczne z osocza trafiającego od wszystkich dawców do „wspólnego kotła”.

Dziś jako emeryt czasem żartobliwie mówię, że wszystko w moim życiu stało się przez ten Instytut Hematologii. Gdyby nie Instytut, to już od ponad sześćdziesięciu lat spokojnie wachałbym kwiatki od spodu, zamiast się męczyć – uczyć się, pracować, jeździć po świecie, zakładać rodzinę,

wychowywać dzieci i wnuki, a latem żeglować z nimi po Mazurach.

Krzysztof M. Święcicki



Autor artykułu z Ksawerym, najmłodszym wnukiem, na jachcie.

Bilans trzydziestolecia

Wszystko zaczęło się od pisma wystosowanego 30 listopada 1987 r. do naczelnika dzielnicy Warszawa-Mokotów przez trzyosobową grupę inicjatywną, którą tworzyli Ludwik Kochowski, Witold Gajewski i Marek Sławek. W piśmie znalazła się prośba o zgodę na zorganizowanie spotkania w celu założenia stowarzyszenia pod nazwą „Polskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię i Skazy Krwotoczne”. Zebranie założycielskie, w którym uczestniczyło 17 osób, odbyło się 21 stycznia 1988 r., a 19 maja 1988 r. Polskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię zostało wpisane do rejestru stowarzyszeń i związków Wydziału Społeczno-Administracyjnego Urzędu m. st. Warszawy.

Pierwszym prezesem Stowarzyszenia został Marek Sławek, który sprawował tę funkcję do końca lutego 1990 r.; musiał zrezygnować ze względu na stan zdrowia. Drugi prezes, Zbigniew Sendułka, odznaczony z inicjatywy dzieci chorych na hemofilię Orderem Uśmiechu, pełnił tę funkcję od 1990 r. do 2007 r., a wspierała go w tym jego żona, Elżbieta. Od października 2007 r. prezesem jest Bogdan Gajewski.

Stowarzyszenie ma obecnie 14 kół terenowych i zrzesza ponad 1750 członków. Od 2008 r. ma status Organizacji Pożytku Publicznego, co pozwala być beneficjentem wpłat z tytułu 1 procenta przy rozliczaniu PIT.

Zgodnie ze statutem celem Stowarzysze-

nia jest pomoc chorym na hemofilię i inne wrodzone skazy krwotoczne, bez względu na przynależność tych osób do stowarzyszenia, w szczególności w zakresie opieki medycznej, rehabilitacji, pomocy socjalnej i pomocy prawnej.

Nie byłoby tylu sukcesów Stowarzyszenia, gdyby nie nasi lekarze. Ten familiarny zaimek jest w pełni uzasadniony – działania Stowarzyszenia były wspierane przez wielu lekarzy oddanych idei niesienia pomocy chorym na hemofilię. Wspomagali nas oni także przez uczestnictwo w Radzie Medycznej naszego Stowarzyszenia. Niektórych z nich nie ma już wśród nas. Należy tu wspomnieć profesora Stanisława Łopaciuka, doktor Halinę Cetnarowicz, profesora Marka Ziemskiego.

Stowarzyszenie jest aktywne nie tylko w kraju. PSCH jest członkiem dwóch ważnych organizacji międzynarodowych: EHC (organizacji zrzeszającej organizacje chorych na hemofilię praktycznie z całej Europy) i WFH (Światowej Federacji ds. Hemofilii, stowarzyszenia organizacji chorych na hemofilię ze 113 krajów, będącego agendą WHO i mającego silnie rozbudowaną radę medyczną). Nasze Stowarzyszenie ściśle współpracuje z nimi, uczestnicząc w przedsięwzięciach organizowanych przez te organizacje (np. służąc wiedzą i pomocą dopiero rozpoczynającym działalność stowarzyszeniom chorych na hemofilię w Mołdawii i Albanii). Na

podkreślenie zasługuje fakt, że dr Radosław Kaczmarek, członek Zarządu Głównego PSCH, od 2012 r. zasiada we władzach EHC. Warto dodać, że z rekomendacji PSCH prof. Jerzy Windyga jest członkiem Rady Medycznej WFH.

Wśród osiągnięć Stowarzyszenia należy zwrócić uwagę na intensywność działań edukacyjno-informacyjnych. Do tej pory Stowarzyszenie wydało 34 książeczki i 7 płyt DVD, w istotny sposób poszerzając dzięki nim wiedzę o hemofilii wśród chorych, ich rodzin, a także lekarzy pierwszego kontaktu, nauczycieli czy opiekunów małych dzieci. Ta działalność wydawnicza była możliwa dzięki 1% z PIT przekazywanemu przez wiele osób z całej Polski.

Od 1998 r. ukazuje się Biuletyn Informacyjny naszego Stowarzyszenia. Można w nim znaleźć materiały przydatne dla chorych na hemofilię i członków ich rodzin – nie tylko na temat hemofilii i jej leczenia czy aktualnego zaopatrzenia w czynnik; poruszane są także kwestie psychologiczne, porady praktyczne (np. dotyczące podawania czynnika), sprawy socjalno-prawne. Rozpoczęliśmy od kolportażu Biuletynu na papierze, obecnie dominuje wersja elektroniczna rozsyłana przez Internet i dostępna także na stronie internetowej Stowarzyszenia. Do tej pory ukazało się już 56 numerów, a archiwum Biuletynu jest kopalnią materiałów dla osób, które dopiero niedawno dołączyły do naszego grona, zwłaszcza młodych rodziców dzieci z hemofilią.

Od pewnego czasu jesteśmy także na Facebooku – można tam znaleźć nie tylko Biuletyny, ale także aktualności i archiwalne dokumenty Stowarzyszenia.

Od 2001 r. działa specjalna grupa dyskusyjna – forum internetowe poświęcone hemofilii (forum_psch). Jest otwarte dla wszystkich chętnych, ale jednocześnie niedostępne dla przypadkowych osób z zewnątrz, co zapewnia pewną prywatność. Jest to świetne miejsce do wymiany doświadczeń, uzyskiwania informacji, wyrażania opinii. Z forum korzysta obecnie ponad 930 uczestników.

Dużą część pracy Stowarzyszenia odbywa się w poszczególnych kołach terenowych. Koła te zorganizowały dziesiątki szkoleń i warsztatów poświęconych hemofilii, skierowanych do pacjentów i ich rodzin. Oprócz informacji o różnych problemach bezpośrednio związanych z hemofilią były prezentowane także treści psychologiczne. Odbywały

się także warsztaty praktyczne poświęcone zdobyciu umiejętności iniekcji i autoiniekcji, prowadzone przez pielęgniarki. Warto wspomnieć o akcji ogólnopolskich warsztatów fizjoterapeutycznych. W ubiegłym roku odbyły się cztery takie spotkania: w Warszawie (26–30 czerwca 2017 r.), w Zielonej Górze (23 sierpnia 2017 r.), w Gdańsku (25–29 września 2017 r.) i w Lublinie (4–8 grudnia 2017 r.).

Mało kto pamięta, że w początkach swojej działalności Stowarzyszenie czynnie uczestniczyło w pozyskiwaniu czynników krzepnięcia – nawiązując współpracę z organizacją AmeriCares i ze Szwajcarskim Czerwonym Krzyżem, które na zasadzie darów przez sześć lat (1993–1999) dostarczały pierwsze duże partie czynników w ramach „dochożenia do samowystarczalności Polski w zaopatrzeniu w czynniki krzepnięcia”.

Ważną formą działalności Stowarzyszenia było organizowanie obozów rehabilitacyjnych dla dzieci – sprawa szczególnie istotna w okresach, kiedy czynniki krzepnięcia były mało dostępne. Do tej pory wiele osób wspomina obozy w Spale, które poza rehabilitacją przynosiły także integrację z rówieśnikami.

Z informacjami dotyczącymi hemofilii, problemów jej leczenia oraz potrzeb chorych zmagających się z chorobą docieraliśmy do mediów – do prasy, radia, telewizji oraz Internetu. Poza programami informacyjnymi trafialiśmy także do audycji o charakterze bardziej ogólnym, np. do programu Anny Dymnej „Spotkajmy się”.

Osobnym osiągnięciem była zorganizowana w 2008 r. wystawa zdjęć chorych na hemofilię przygotowana przez Krzysztofa Millera. Renomowany fotograf, jeden z jurorów konkursu World Press Photo 2000, dziennikarz, który fotografował wszystkie najważniejsze wydarzenia i konflikty polityczne w Europie, Azji i Afryce, m.in. rozpad krajów byłej Jugosławii, rozpad ZSRR, wojnę w Czeczenii, stworzył niezwykłą wystawę. Każdemu ze swoich bohaterów poświęcił cały dzień, starając się, by to jedno zdjęcie na wystawę było syntezą pasji i marzeń danej osoby.

Przypomnijmy, że Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne, regulujący leczenie dorosłych pacjentów, funkcjonuje od 2005 r. Obecna edycja (2012–2018) kończy się w grudniu br. Wciąż trwają intensywne starania o przyjęcie przez Ministra Zdrowia kolejnego Narodowego Programu, na lata 2019–2023.

Program lekowy „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”, obowiązujący od 2008 r., zapewnia profilaktyczne podawanie czynnika krzepnięcia praktycznie wszystkim dzieciom z ciężką postacią hemofilii.

Na zakończenie kilka słów o jednym z osiągnięć naszego Stowarzyszenia. Jeszcze około roku 2000 trwała walka, by uzyskać wskaźnik zużycia czynnika VIII na głowę statystycznego mieszkańca Polski na poziomie 2,0 jednostek. Obecnie ma on wartość 6,67 jednostek. Choć nadal daleko nam do poziomu np. Węgier, gdzie ten wskaźnik przekracza już 10 jednostek, to możemy mówić o dużej poprawie sytuacji chorych na hemofilię w Polsce.

Wciąż nierozwiązanym problemem jest utworzenie sieci Ośrodków Leczenia Hemofilii (HTC) i Ośrodków Kompleksowej Opieki nad Chorymi na Hemofilię (HCCC), zgodnie z zaleceniami Parlamentu Europejskiego. Dla utworzenia Ośrodków konieczna jest prawidłowa wycena procedur

medycznych dotyczących chorych ze skazami krwotocznymi (ich leczenie jest dużo droższe i zwykle dłuższe). Brakuje takiej wyceny dla leczenia ambulatoryjnego oraz dla procedur szpitalnych innych niż hematologiczne.

Nadal czekamy na przyjęcie przez Ministerstwo procedur ratunkowych, które zapewnią chorym ze skazami krwotocznymi większe bezpieczeństwo po wypadku.

Przed nami wiele pracy, ale z satysfakcją możemy patrzeć na to, co Stowarzyszeniu udało się dokonać przez minione trzydzieści lat.

Adam Sumera

Przy okazji jubileuszu PSCH chciałbym skierować apel do tych, którzy w Stowarzyszeniu działają od początku, o nadsyłanie informacji i wspomnień o tych pionierskich czasach. Ja z PSCH jestem związany od 1998 r., wcześniejsze działania znam jedynie z dokumentów i opowiadań kolegów. (as)

Informacje z kół

Gdańsk

Jak zwykle co roku, Zarząd Koła Terenowego w Gdańsku zorganizował w dniu 22 kwietnia br. wiosenne spotkanie członków Koła. Tym razem tematyka dotyczyła uszkodzeń stawów oraz ich rehabilitacji.

Pierwszym zaproszonym prelegentem był dr Dawid Jaskólski, chirurg-ortopeda z UCK w Gdańsku. Wygłosił wykład „Przychodzi pacjent z hemofilią do lekarza ortopedy. A ortopeda wystraszony... co robić?”. Dr Jaskólski w bardzo ciekawy i przystępny sposób omówił rodzaje problemów, z jakimi borykają się zgłaszający się do niego pacjenci chorzy na hemofilię. Przedstawił obrazy zniekształconych artropatią hemofilową stawów łokciowych, kolanowych, biodrowych. Zgromadzeni słuchacze zapoznali się z różnymi rodzajami zabiegów, których celem jest poprawa sprawności zniszczonych stawów lub chociażby komfortu życia. W trakcie wykładu chorzy i ich rodziny zadawali liczne pytania, na które dr Jaskólski udzielał fachowych i wyczerpujących odpowiedzi.

Jako drugi głos zabrał fizjoterapeuta, Tomasz Marciniak. W czasie długiego wykładu, który był ilustrowany licznymi przykładami ćwiczeń, pan Marciniak podkreślał olbrzymią wartość ćwiczeń fizycznych w życiu każdego człowieka, zwłaszcza zaś takiego z proble-

mami narządów ruchu. Przedstawił kilka podstawowych zasad, którymi muszą kierować się chorzy na hemofilię, podejmując trud ćwiczeń usprawniających. Wskazywał, że rehabilitacja może być prowadzona jedynie pod osłoną czynnika i nie może powodować bólu. Pan Marciniak stwierdził, że same zabiegi fizykoterapeutyczne bez ćwiczeń fizycznych nie przyniosą efektu – lub efekty będą niewielkie. Wskazał również na wielkie znaczenie stylu życia, odżywiania i utrzymywania codziennej aktywności fizycznej. W czasie prelekcji fizjoterapeuta pokazywał podstawowe ćwiczenia, które każdy chory może wykonywać w domu przy użyciu ogólnie dostępnych przyrządów. Podkreślił wagę systematyczności i wszechstronności indywidualnie dobranych ćwiczeń.

Na zakończenie zebrania wystąpił niżej podpisany, prezes Koła Terenowego w Gdańsku. Wystąpienie dotyczyło bieżącej działalności Koła, zachęcało także do odpisu 1% na rzecz PSCH. Podkreślono również wielkie starania Prezesa Zarządu Głównego PSCH, Bogdana Gajewskiego o utrzymanie standardów leczenia chorych na skazy krwotoczne w Polsce w ramach tworzonego Narodowego Programu.

Ryszard Jurczyk

Lublin

16 czerwca br. odbyło się w Lublinie spotkanie chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne oraz ich rodzin, połączone z warsztatami. Spotkanie przebiegało dwutorowo – w jednej sali dla dorosłych chorych, w drugiej – dla chorych dzieci i ich rodziców. Warsztaty psychologiczne w obydwu grupach przeprowadziła Sylwia Barsow z Gdańska. W trakcie rozmowy z panią psycholog uczestnicy mieli okazję nie tylko poznać istotę problemów, z którymi się zmagają, lecz również lepiej się wzajemnie zaznajomić. Prelegentkami w grupie dorosłych chorych były ponadto dr Anna Maria Buczma z IHiT w Warszawie, dr Justyna Kozińska z SP Szpitala Klinicznego nr 1 w Lublinie oraz dr Dorota Kosińska z Banku Krwi tegoż szpitala. Poruszane tematy dotyczyły organizacji IHiT, chorób wieku dojrzalego u hemofilików oraz realizacji Narodowego Programu Leczenia Hemofilii i Pokrewnych Skaz Krwotocznych. Ostatnie zagadnienie miało szczególne znaczenie, biorąc pod uwagę wygasający obecnie Program i brak ostatecznej akceptacji nowego Programu przez rządzących. Sytuacja ta wzbudza najgłębsze zaniepokojenie środowiska chorych na

hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, czemu wyraz dano na zebraniu, wystosowując do Ministra Zdrowia petycję zawierającą postulat przyspieszenia prac nad definitywnym przyjęciem Programu na kolejne lata. Apel do Ministra podpisali wszyscy uczestnicy spotkania, licząc na zapewnienie przez Ministerstwo ciągłości leczenia, którego brak oznaczałoby zagrożenie zdrowia, jak również życia chorych. Grupa rodziców i chorych dzieci wzięła udział w warsztatach psychologicznych, a także wysłuchała prelekcji, które przedstawiły dr Irena Woźnica-Karczmarz z USD w Lublinie, wymieniona już wyżej dr Justyna Kozińska oraz pani Joanna Niecypor z firmy Shire. Prezentacje dotyczyły wyzwań związanych z przejściem chorych z opieki pediatrycznej do internistycznej, typowych i specyficznych dylematów rodzicielskich występujących na różnych etapach rozwoju chorego dziecka oraz prowadzenia w trakcie leczenia dzienniczka elektronicznego „Zero bleeds”. Po spotkaniu uczestnicy mieli czas na spokojną wymianę doświadczeń w trakcie lunchu.

Łukasz Brzana

Poznań

Zgodnie z tradycją Poznańskiego Koła Terenowego PSCH także w tym roku członkowie naszego koła spotkali się z okazji Światowego Dnia Chorych na Hemofilię, tym razem obchodzonego pod hasłem „Sharing knowledge makes us stronger” (co można przełożyć jako „Dzielenie się wiedzą czyni nas silniejszymi”).

Ponieważ w tym roku kończy się Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię, a kolejny, przygotowany na lata 2019–2023, nie został jeszcze zatwierdzony, omówienie jego najistotniejszych założeń stanowiło najważniejszą część naszego spotkania, mistrzowsko przedstawioną przez panią profesor Krystynę Zawilską. Najważniejszymi jego postulatami pozostaje kwestia utworzenia ośrodków referencyjnych kompleksowo leczących chorych na hemofilię, problem dostępności do rekombinowanych czynników krzepnięcia i do nowych metod niesubstytucyjnego leczenia hemofilii. Program do dziś pozostaje na etapie zatwierdzania przez odpowiednie komórki urzędowe, co niestety budzi pewien niepokój w obszarze pełnej realizacji zawartych w nim założeń. Zarząd Stowarzyszenia podjął już kolejne kroki, by



Prof. Krystyna Zawilska podczas prezentacji.

w możliwie maksymalnym stopniu zagwarantować niezmienną proponowanych w Programie warunków leczenia pacjentów chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.

Godnym uwagi wystąpieniem była prezentacja magistra fizjoterapii Janusza Zawilskiego, znanego dobrze naszym pacjentom z przywracania do stanu używalności stawów na pozór już „nieużywalnych”, a wszystko to w dużej mierze dzięki właściwemu doborowi najnowszych urządzeń reha-

bilitacyjnych zależnie od stanu i możliwości pacjenta. Do tych innowacyjnych urządzeń należy między innymi bieżnia antygrawitacyjna, radiofrekwencja, a przede wszystkim aparat Salus-Talent, którego przeciwbólowe działanie opiera się na głębokiej stymulacji elektromagnetycznej. O szczegółach wykorzystania nowinek technologicznych w rehabilitacji nie tylko osób chorych na hemofilię można było niedawno posłuchać w Radio Index, materiał dostępny jest pod linkiem: <https://plpl.facebook.com/index96fm/videos/10160547849305657/>. Na tegorocznym kongresie WFH na jednym ze stoisk prezentujących najnowszy sprzęt rehabilitacyjny pojawiło się przesłanie rozwijające treści omawiane we wspomnianej audycji: „Jeśli czujesz coś, zrób coś z tym” – myśl ta wydaje się szczególnie ważna w kontekście szybkiego reagowania na urazy w przypadku chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne; w przeciwnym wypadku leczenie oraz rehabilitacja stają się i długotrwałe, i kosztowne. Warto o tym przesłaniu pamiętać także przed zabiegiem endoprotezoplastyki, czy już po wykonanym zabiegu. Naprawić uszkodzoną część ciała to jedno, utrzymać ją w dobrej formie to drugie, a to już kwestia naszej wewnętrznej motywacji – nie we wszystkim wyręczy nas technika.

Pozostałą część kwietniowego spotkania wypełniły prezentacje i wypowiedzi dr Haliny Bobrowskiej i dr Marioli Bober. Obie panie doktor, odnosząc się odpowiednio do opieki nad pacjentem niepełnoletnim i dorosłym, szczególny nacisk położyły na zmiany w procesie nadzoru medycznego w okresie zmiany ośrodka leczenia, kiedy nastolatek wchodzi w dorosłość. Poza zmianami dotyczącymi sposobu prowadzenia rejestru podań czynnika (elektroniczny system obowiązuje u cho-

rych do 18 roku życia, tradycyjny w postaci papierowego dzienniczka podań w przypadku pacjentów dorosłych) inny jest też system dystrybucji czynnika – nie ma dostaw domowych w przypadku osób dorosłych, choć to one raczej mają większe problemy z poruszaniem się niż młodzież leczona dziś profilaktycznie. Także w tym obszarze decydującą okaże się kwestia wprowadzenia w życie i realizacji Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019–2023, na co niecierpliwie czekamy.

Bernadetta Pieczyńska



Mgr Janusz Zawilski przed warsztatami.

Kolejny wyjazd szkoleniowo-integracyjny

Od kilku lat kaliskie koło PSCH, jako jedyne w Polsce, organizuje wyjazdy integracyjne, zwykle we współpracy z innymi kołami (w 2013 r. do Krakowa, z kołem poznańskim i z udziałem koła krakowskiego; w 2014 r. do Uniejowa, z kołem łódzkim; w 2016 r. do Wrocławia, z kołem łódzkim i z udziałem koła wrocławskiego; w 2017 r. ponownie do Uniejowa, z kołem poznańskim i łódzkim). Dzięki inicjatywie i wytrwałości Barbary Ćwikły, prezesa Koła PSCH w Kaliszu, w dniach 9–10 czerwca br. odbył się kolejny wyjazd, tym razem do Bydgoszczy i Torunia.

Wzięło w nim udział ponad 50 osób z koła kaliskiego i łódzkiego.

Zgodnie z planem najpierw zawitaliśmy do Bydgoszczy, gdzie razem z członkami koła kujawsko-pomorskiego wzięliśmy udział w warsztatach edukacyjnych dla pacjentów chorych na hemofilię oraz ich opiekunów. Prezentowane prelekcje podzielono na dwa bloki, dla rodzin z dziećmi oraz dla dorosłych pacjentów. Program dla rodzin z dziećmi zawierał m.in. wystąpienia dr. Andrzeja Kołtana „Hemofilia – prawdy i mity” oraz mgr Martyny Woźniak „Aplikacja Zero Bleeds –

dzienniczki elektroniczne”. Program dla dorosłych pacjentów dawał zaś możliwość dyskusji z prelegentem, panią mgr Martą Rusek, w trakcie jej wystąpienia zatytułowanego „Jak radzić sobie z chorobą przewlekłą”. Oprócz tego wysłuchaliśmy jeszcze ciekawych wystąpień dr Anny Buczmy („Czy hemofilia jest chorobą królewską”) oraz dr. Pawła Ambroziaka („Zabieg endoprotezy uszkodzonego stawu u pacjenta chorego na hemofilię”). Najbardziej jednak wszystkich uczestników rozbawił (bawiąc uczył) mgr Adrian Zadorecki. W pełen humoru i dowcipu sposób, w trakcie swojego wystąpienia („Stany zagrożenia życia – model postępowania”), przedstawił zgromadzonym istotne elementy i procedury udzielania pierwszej pomocy w razie zagrożenia życia. Warsztaty zakończyła seria pytań do prelegentów. Po lunchu pożegnaliśmy gościnną Bydgoszcz i udaliśmy się w około godzinną podróż do Torunia.

Po dojechaniu na miejsce, późnym popołudniem, najpierw udaliśmy się na obiadokolację do gospody, jednej z najstarszych w Europie (działającej od 1489 r.); w minionych wiekach gościli tu m.in. Jan III Sobieski, Kazimierz Jagiellończyk czy Napoleon. Potem nasza grupa podzieliła się na dwie części i – na zmianę – jedni indywidualnie chodzili po starym mieście, a drudzy poznawali historię Torunia, jeżdżąc niesamowitymi pojazdami, retro-meleksami. Zobaczyliśmy m.in. Krzywą Wieżę, Dom Mikołaja Kopernika, Ratusz Staromiejski, Katedrę Św. Jana oraz Dwór Mieszczański.

Drugi dzień nie był wcale mniej atrakcyjny. Po śniadaniu i wykwaterowaniu (z hotelu „Ibis” – dostosowanego dla osób niepełnosprawnych) udaliśmy się wszyscy w ten upalny poranek nad Wisłę, skąd wyruszyliśmy w rejs statkiem po królowej naszych rzek. Ale kulminacją dnia okazała się nasza wizyta (a może raczej czeladnicze terminowanie) w Toruńskim Żywym Muzeum Piernika



(www.muzeumpiernika.pl) przy ulicy Rabiańskiej 9. Wszystkich, którzy chcą poznać tradycję wypieku toruńskiego piernika, historię miasta, średniowieczną kulturę i język, i to wszystko przedstawione w niezwykłej atmosferze i z humorem, serdecznie zachęcamy do odwiedzenia tego interesującego miejsca. My tam byliśmy i pierniki wypiekliliśmy. Na koniec jeszcze tylko pyszny obiad w staropolskiej gospodzie i pełni pozytywnych wrażeń wyruszyliśmy w drogę powrotną do Łodzi i Kalisza.

Mogę śmiało powiedzieć, że ta wspólna wyprawa przedstawicieli kół z Kalisza i Łodzi wzbogaciła nas o kolejne wrażenia i dała nam możliwość dalszego, lepszego poznania się nawzajem. Dlatego też wszystkim tym, którzy przyczynili się do jej zorganizowania i dopilnowali jej poszczególnych elementów, a szczególnie naszej kochanej Basi Ćwikle, składam wielkie podziękowania. Do zobaczenia na następnym wyjeździe!

Robert Prencel
Łódzkie Koło Terenowe PSCH



U góry: koleżanki i koledzy z koła kaliskiego dostali swój list czeladniczy o podobnej treści.

Po lewej: podczas zwiedzania Torunia.

Dalsze zdjęcia na następnej stronie ➡



Takimi meleksami można zwiedzać Toruń.



Pamiątkowe zdjęcie członków koła kaliskiego i łódzkiego zrobione w Toruniu.

* * *

Bez tematów tabu

Jak zapewne pamiętacie, ubiegłoroczne obchody Dnia Chorych na Hemofilię zwracały już swoim nagłówkiem (*Usłyszmy ich głos*) szczególną uwagę na kobiety ze skazami krwotocznymi; nota bene w Poznaniu też w ubiegłym roku wykorzystaliśmy tę okazję, by pokazać kobiecie oblicze hemofilii. Echo dyskusji poruszonych przy okazji tamtej ogólnoswiatowej uroczystości wybrzmiało donośnie podczas tegorocznej konferencji WFH w Glasgow. Szczególnie poruszający był wykład dr Claire McLintock z Auckland City Hospital (Nowa Zelandia). Analizując postrzeganie kobiet w różnych kulturach świata w czasie menstruacyjnym, dr McLintock dotknęła wielu mitów kulturowych obecnych także w naszym kraju, choć nie wymieniła go z nazwy. Tym, którym bliska jest znajomość historii Polski z czasów jej wyjątkowej wielokulturowości (por. *Księgi Jakubowe* Olgi Tokarczuk), nieobcym zapewne będzie traktowanie kobiety w okresie menstruacji jako istoty nieczystej, która nie powinna nie tylko np. wchodzić do kościoła (ten motyw zakazu znajdziemy w wielu kulturach), ale też np. nie powinna piec ciasta (ten wątek do dziś funkcjonuje w wielu rejonach naszego kraju, wystarczy popytać etnologów). Przy głębszej analizie kulturowego postrzegania procesu menstruacji w przekroju chronologicznym widać raczej alienację i odsuwanie kobiety na margines niż zrozumienie, że jest to dla jej organizmu proces dość obciążający, szczególnie gdy

w grę wchodzi tzw. krwotoczne miesiączki u nosicielek hemofilii. W kuluarach jedna z uczestniczek kongresu też będąca nosicielką zdradziła mi, że w tym trudnym czasie po prostu podaje sobie czynnik VIII, rekombinowany oczywiście, i jest regularną pacjentką swojego ośrodka w USA.

Zaskakującą tematyczną otwartością była sesja poświęcona seksualności u pacjentów chorujących na skazy krwotoczne. Ku memu zdumieniu nie był to jeden wykład, lecz kilka, na dodatek cieszących się sporą popularnością i znajdujących kontynuację w dyskusji. Poruszono nie tylko kwestie płci kulturowej, homoseksualizmu czy masturbacji z perspektywy rozwoju człowieka i w kontekście różnych kultur czy religii, ale przede wszystkim całkiem szczegółowo przeanalizowano sposoby zapobiegania urazowości w sytuacjach buduarowych. Zupełnie jakby oddać głos Starowiczowi, Długołęckiej i Wisłockiej, jednocześnie wprowadzając ich uprzednio w kwestie szczególnej kruchości ludzi chorujących na skazy krwotoczne. Zwrócono przy okazji uwagę na rolę seksuologa w ośrodkach referencyjnych (sic!). Ta sesja po raz kolejny pokazała, jak można podmiotowo potraktować pacjenta, pamiętając, że jest przede wszystkim istotą czującą i wrażliwą, jak każdy zdrowy człowiek. I po raz kolejny potwierdziła się stara lingwistyczna zasada: *granice mojego języka są granicami mojego świata*.

Bernadetta Pieczyńska

Międzynarodowa akcja tłumaczeniowa

Podczas konferencji w Glasgow zostałam zaproszona do udziału w międzynarodowym przedsięwzięciu tłumaczeniowym *International Haemophilia Knowledge Translation Project* (HemoKT), dzięki któremu, obok angielskiego, francuskiego, hiszpańskiego i portugalskiego, język polski będzie kolejnym językiem (pierwszym z Europy Wschodniej), w jakim dostępne będą, m.in. na kanałach YouTube, materiały o hemofilii. Projekt jest szeroko zakrojoną akcją, dotyczy sporej liczby filmów o hemofilii, z różnych obszarów tematycznych związanych z tą skazą krwotoczną. Ideą przewodnią projektu jest przekazanie pacjentom prostym, niemedy- cznym językiem ważnych informacji o tej

„królewskiej” chorobie. Wybrana przez autorów programu formuła prezentacji i vloga w stylu pacjenci–pacjentom narzuca pewne uproszczenia, zarówno w obszarze terminologii, jak i w formie przekazu. Wydaje mi się jednak, że taki właśnie sposób przekazywania ważnych medycznych treści osobom, które na co dzień nie mają do czynienia z medycyną, może okazać się trafiony i potrzebny.

Bernadetta Pieczyńska

Link do całego przedsięwzięcia:

<https://www.hemokt.com/>

Link do pierwszego polskiego filmiku tej akcji na kanale YouTube:

https://www.youtube.com/watch?v=_6g3PeVmqRY

Kolejne pożytki z jednego procenta

W poprzednim Biuletynie informowaliśmy, że Stowarzyszenie zakupiło dla Instytutu Hematologii i Transfuzjologii stół dla rehabilitacji, który będzie wykorzystywany przez chorych na hemofilię po wszczepieniu endoprotezy. W czerwcu br. doszedł do tego kolejny sprzęt zakupiony przez PSCH: przrząd do ćwiczenia ruchu w stawie

kolanowym i biodrowym o nazwie Artromot.

Żadna złotówka przekazywana na rzecz naszego Stowarzyszenia nie zostanie zmarnowana, a przekazanie jednego procenta przy rozliczaniu PIT nie wiąże się z żadnymi wydatkami.

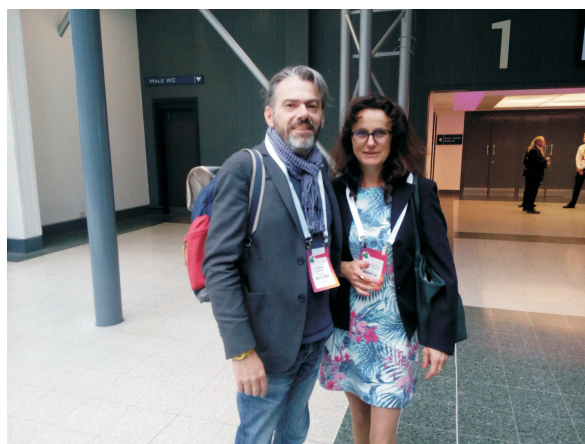
(as)

Gratulujemy kolegom z Francji

Czytelników Biuletynu z pewnością ucieszyła informacja o nagrodzie dla naszego prezesa, Bogdana Gajewskiego, wręczona podczas konferencji w Glasgow. Warto jednak wspomnieć, że kilka dni wcześniej, 21 maja br., ważną nagrodę – International Frank Schnabel Volunteer Award (Międzynarodową Nagrodę dla Wolontariuszy im. Franka Schanbela – Frank Schnabel to Kanadyjczyk chory na hemofilię, który był założycielem WFH w 1963 r.) otrzymał prezes Francuskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię, Thomas Sanné. Francuskie Stowarzyszenie od lat śledzi nasze zmagania o poprawę jakości leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, umożliwiając także publikację na łamach swojego periodyku o bardzo dużym zasięgu w świecie frankofońskim „Hemophilie et maladie de Willebrand” okresowych relacji z postępu w opiece medycznej nad pacjentami chorującymi na skazy krwotoczne w Polsce. Serdecznie gratulujemy, szczególnie dotyczące nagrody dostępne są tu:

<https://news.wfh.org/wfh-international-frank-schnabel-volunteer-award/#.WwPSX4Uu0d4.facebook>

Bernadetta Pieczyńska



Autorka notatki z Thomasem Sanné, prezesem francuskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię.

Zmiana adresu fundacji Redemptoris Missio

Jedną z możliwości wykorzystania osprzętu, jaki pozostaje nam przy podawaniu czynnika (nieużytych motylków, strzykawek czy gazików nasączonych alkoholem), jest przekazywanie go fundacji Redemptoris Missio, która niesie pomoc najuboższym

mieszkańcom świata, szczególnie w Afryce. Ostatnio Fundacja zmieniła adres i aktualnie korzysta z lokalu przy ul. Junikowskiej 48, 60–163 Poznań.

(as)

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, Wojewódzkie Wielospecjalistyczne Centrum Onkologii i Traumatologii im. M. Kopernika, ul. Pabianicka 62, 93-513 Łódź.

Nasz kontakt internetowy: rpren2@gmail.com.

Strona Stowarzyszenia: www.hemofilia.org.pl