



BIULETYN INFORMACYJNY

Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię

NR 1 (58)

ZIMA 2018/19

Zaczynamy od najistotniejszego wydarzenia w ostatnich miesiącach – podpisania przez Ministra Zdrowia kolejnej edycji Narodowego Programu Leczenia Hemofilii i Pokrewnych Skaz Krwotocznych, tym razem na lata 2019–2023 (s. 1). W 2019 r. najistotniejsze będzie odpowiednie zorganizowanie ośrodków leczenia hemofilii, tak by przyniosły rzeczywiste korzyści pacjentom, a nie były tylko kolejnym przejawem zbiurokratyzowania służby zdrowia. Dlatego przedstawiamy garść informacji o tym, jak takie ośrodki działają w kilku innych krajach. Wiadomości zebraliśmy od osób, które poznały te sprawy z własnej praktyki – od dorosłych z hemofilią lub od rodziców dzieci z hemofilią, a także od francuskiej organizacji AFH, odpowiednika naszego Stowarzyszenia (s. 2).

W dziale medycznym Radosław Kaczmarek pisze o możliwościach zastosowania terapii genowej u osób obciążonych inhibitorem (s. 6).

Ważnym wydarzeniem ostatniej jesieni były pierwsze mistrzostwa Polski w pływaniu dzieci i młodzieży z hemofilią (s. 6). Miejmy nadzieję, że ta impreza na stałe wejdzie do kalendarza naszego Stowarzyszenia. Tę relację uzupełniają obszernie doniesienia z działalności poszczególnych kół terenowych (s. 7). Piszemy także o serii przydatnych filmów o hemofilii dostępnych na YouTube już w polskiej wersji (s. 12).

Czasami, choć na szczęście rzadko, zdarzają się przypadki wystąpienia reakcji uczuleniowej na podawany czynnik. Przypominamy, że w dobrze pojętym interesie wszystkich osób ze skazami krwotocznymi powinniśmy oficjalnie zgłaszać takie incydenty. Być może uchroni to inne osoby przed podobnymi skutkami (s. 13).

Dopełnieniem tego Biuletynu jest tekst stanowiący wezwanie do nieustannej aktywności naszego środowiska (s. 13).

Adam Sumera

Narodowy Program nareszcie przyjęty

17 października 2018 r. Ministerstwo Zdrowia w końcu przyjęło **Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019–2023**. Mogłoby się wydawać, że to prosta i szybka sprawa: chodziło przecież jedynie o kontynuację programu sprawnie realizowanego od 2005 r., a jego założenia były wspierane przez grono ekspertów – lekarzy specjalistów w dziedzinie leczenia hemofilii. Wszystko jednak ciągnęło się miesiącami, napotykając na dziwny opór urzędników. Reprezentanci PSCH uczestniczyli w kilkudziesięciu spotkaniach z przedstawicielami Ministerstwa Zdrowia, z osobami z Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT),

z posłami i senatorami. Prezes Stowarzyszenia, Bogdan Gajewski, spotkał się nawet w Kancelarii Prezesa Rady Ministrów z min. Adamem Lipińskim, który obiecał interwencję u ministra zdrowia. Choć w oficjalnych kontaktach uczestniczyło na zmianę kilku przedstawicieli Stowarzyszenia, to jednak największe obciążenie spadło na naszego prezesa. Jako osoba czynna zawodowo musiał z takich okazji brać dzień wolny w pracy – i w ten sposób zużył praktycznie cały swój urlop. A przecież oprócz tego w ostatnim roku Stowarzyszenie wysłało ok. 30 pism do Ministerstwa Zdrowia; zdecydowana większość z nich dotyczyła prac nad Programem i licznych opóźnień w jego przygotowaniu.

W sprawie przyjęcia Programu interweniowało wielu posłów i senatorów, składając interpelacje. Pytania, czemu trwa to tak długo, zadawali także dziennikarze w prasie i w różnych stacjach telewizyjnych.

Kiedy Ministerstwo Zdrowia ociągało się z przyjęciem nowego Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię, kol. Adam Trojańczyk z koła łódzkiego w sierpniu 2018 r. zainicjował akcję pisania listów do posłów, senatorów i innych ważnych osób w naszym kraju. Przygotował także specjalną petycję skierowaną do premiera, posłów oraz prezesa PiS; w petycji przedstawił trudną sytuację chorych na hemofilię i prosił o doprowadzenie do przyjęcia Narodowego Programu przez Ministerstwo Zdrowia. Petycję w Internecie podpisało ponad 6500 osób. Wszystkie podpisy zostały wydrukowane i 20 września br. złożone na ręce ministra zdrowia Łukasza Szumowskiego. Być może te pisma odegrały pewną rolę i doprowadziły do tego, że ostatecznie Program został przyjęty przez Ministerstwo.

To jeszcze nie koniec. Teraz musimy dopilnować, by zrealizowane zostały zapisy nowej edycji Programu – chodzi tu przede wszystkim o organizację ośrodków leczenia hemofilii, jakie mają powstać w każdym województwie. I nie chodzi wcale o to, by powiesić taki szyld w już istniejących oddziałach hematologicznych – powinny to być jednostki tak zorganizowane, by zapewnić rzeczywistą poprawę w dostępie do

leczenia hemofilii i innych skaz krwotocznych, a także wszelkich schorzeń, jakie występują u pacjentów z niedoborami czynników krzepnięcia. Obecny Program wyjątkowo skąpo wypowiada się na temat szczegółów, ale przypomnijmy, że zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia zamieszczonym w Dzienniku Ustaw z 23 maja 2016 r. w referencyjnych ośrodkach leczenia hemofilii powinniśmy mieć dostęp do konsultacji specjalistów z następujących dziedzin: ortopedii i traumatologii narządu ruchu, chorób zakaźnych, genetyki klinicznej, chirurgii ogólnej, stomatologii, położnictwa i ginekologii. Powinny także być zapewnione konsultacje osoby prowadzącej fizjoterapię i powinna istnieć możliwość kontynuacji rehabilitacji, tak potrzebnej wielu chorym na hemofilię, dobrze znającym, co to zaniki mięśni i ograniczenia ruchu w stawach. Obwieszczenie wspomina także o dostępie do opieki psychologicznej. Warto pamiętać, że pierwsze ośrodki leczenia hemofilii w Polsce miały powstać już w 2012 r., a potem co rok miała do tego dochodzić kolejna placówka, tak że w 2017 r. takich referencyjnych ośrodków miało być siedem. Te plany, zawarte w pierwotnej wersji Narodowego Programu na lata 2012–2018, nie zostały zrealizowane. Ministerstwo przesuwало terminy coraz bardziej – najwyższa pora, byśmy wreszcie mogli być leчени na miarę kraju członkowskiego Unii Europejskiej.

Adam Sumera

Leczenie hemofilii w Europie

Ponieważ nowy Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię zawiera zapisy o organizowaniu ośrodków leczenia hemofilii, a także określa m.in. zasady wydawania czynników krzepnięcia czy ich dostaw domowych, warto przyjrzeć się, jakie rozwiązania w tych dziedzinach obowiązują w kilku krajach europejskich. Warto uczyć się od innych, zwłaszcza tych, którzy zdołali wprowadzić metody naprawdę sprawdzające się w praktyce. Informacje przekazali nam nasi rodacy – pacjenci lub rodzice dzieci chorych na hemofilię przebywający za granicą, a także Francuskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię.

Irlandia

W Irlandii leczenie chorych na hemofilię jest dosyć proste. Co miesiąc dzwoni do mnie ktoś z centrum dystrybucji czynnika (TCP) z pytaniem, ile czynnika potrzebuję, ewentualnie czy potrzebny jest mi pojemnik na odpady; dostawa przyjeżdża do mnie w następnym tygodniu. Mam leczenie profilaktyczne (2 razy w tygodniu po 4500 jednostek czynnika rekombinowanego Elocta). Jeżeli mam jakieś wylewy pomimo profilaktyki i widzę, że nie wystarczy mi czynnika na profilaktykę, to wówczas dzwonię do tego centrum dystrybucji i wysyłają mi dostawę ekstra. Czynnikiem skanuję poprzez aplikację

zainstalowaną w telefonie – w ten sposób w ośrodku widzą na bieżąco, czy podaję sobie czynnik profilaktycznie, czy z powodu wylewu (jeżeli tak, to jak mocny ten wylew, do którego stawu czy mięśnia itp.) lub z jakiejś innej przyczyny (np. przed wizytą u stomatologa). Jeżeli mam wylew i zeskanuję czynnik jako podany z tego powodu, to w szpitalu pielęgniarki zajmujące się hemofilikami otrzymują automatycznie e-maila i wiedzą, że mam wylew – przeważnie dzwonią wtedy z pytaniem, czy wszystko jest OK, i aby ustalić plan leczenia wylewu. Czynnik podaję sobie sam już od podstawówki, więc życie jest o wiele prostsze.

Wizytę u hematologa mam co sześć miesięcy w Coagulation Centre w Cork University Hospital, ale jeśli chciałbym wcześniej, to nie ma problemu. Poza tym w każdej chwili w razie potrzeby pomocą służą „pielęgniarki od hemofilii” (Haemophilia Nurses) i zawsze można się z nimi skontaktować (telefonicznie, e-mailem), a one się zajmą zorganizowaniem spotkania z lekarzem w razie potrzeby. Wizyta trwa krótko, ot taka ogólna wizyta: jak się czuję, czy miewam wylewy pomimo profilaktyki, czy dokucza mi jakiś staw, jak po mojej wymianie kolana itp. Po wizycie zawsze idę oddać krew na badania – poziom czynnika, test na przeciwciała i ogólna morfologia. Jeśli mam z czymś problem, to mówię o tym na wizycie i zawsze mnie kierują do specjalisty, jeśli chcę. Ponad 12 lat temu, zanim jeszcze wyjechałem za granicę, przeszedłem w Polsce kurację na HCV (interferon + rybawiryna), miałem najcięższy do wyleczenia genotyp wirusa, ale udało się go pozbyć za pierwszym razem; teraz czasami wspominam im o tym i proszę o pobranie ekstra próbki krwi i sprawdzenie, czy wirus jest wykrywalny (lepiej dmuchać na zimne). Ostatnio taki test miałem robiony w 2018 r. i wirus wyszedł niewykrywalny, ponadto zrobili mi fibroscan i wyniki wyszły bardzo dobre, czyli wątroba jest w porządku.

Mam też problem z kamicą nerkową. Miałem usuwany kamień w IHiT w Warszawie (PCNL) jeszcze jak byłem w Polsce, rok później miałem rozbijany ultradźwiękami (też w IHiT), po czym bezboleśnie „wydaliłem” okruchy. Trzeci kamień miałem rozbijany w Rzeszowie (pochodzę z Podkarpacia), ale

niestety bez rezultatu i dopiero w 2016 roku miałem wykonany zabieg PCNL w Dublinie, po którym został jeden bądź dwa okruchy wielkości jednego milimetra w miedniczce nerkowej. Obecnie jestem pod kontrolą poradni urologicznej w Cork (mieszkam niedaleko Cork – południe Irlandii) i nawet wizytę u urologa mam niebawem – jak zwykle robią mi prześwietlenie i zobaczą, czy kamień się nie odbudowuje. Dodam, że kamień zawsze pojawia się w tym samym miejscu – kamień odlewowy w miedniczce lewej nerki; dwa lata temu, gdy go usuwali, miał ponad 4 cm. Na szczęście ze względu na lokalizację nie jest bolesny, jedyny problem to krwimocz, no i jak to lekarz określił: „trzeba go usunąć, bo może uszkodzić nerkę”.

Wracam do tematu: po wizycie u hematologa i po oddaniu krwi na badania mam spotkanie z fizjoterapeutą, który mierzy moje stawy, sprawdza ruchomość, zgięcie, wyprost itp.; w zasadzie na tym wizyta kontrolna się kończy. Jeśli potrzebowałbym rehabilitacji, na pewno takową bym uzyskał, jednak na co dzień nie potrzebuję – chodzę, pracuję, jeżdżę rowerem, autem. Rehabilitację miałem po wstawieniu endoprotezy lewego kolana w 2014 r. (zabieg został wykonany w Dublinie i póki co endoproteza sprawdza się świetnie – polecam każdemu, jeśli ktoś by się zastanawiał nad zabiegiem).

Maciej Hunia
hemofilia A 0–1%

Wielka Brytania

Przez pewien czas mieszkałem w Anglii. Przedstawię tu najważniejsze informacje z tamtego okresu. Wizyty po ustaleniu dawki i częstotliwości podań miałem co sześć miesięcy. Pierwsze były co tydzień – żeby sprawdzić, jaki mam poziom czynnika. Ogólnie zazwyczaj miałem tylko wizytę u hematologa, dwa razy był także fizjoterapeuta. Hepatologa miałem osobno, ale w tym samym szpitalu; tam wizyty kontrolne również odbywały się co sześć miesięcy (określenie poziomu wirusa i od ręki sprawdzenie genotypu wirusa).

Obie poradnie były w tym samym szpitalu, więc wyniki były w systemie. Jeżeli coś by wyskoczyło, to dostajesz zaproszenie na szybszy termin; jeżeli wyniki są OK, to nie zwracają ci głowy.

Miałem konsultacje ortopedyczne dotyczące łokci i nie byłoby problemu z endoprotezą, ale wtedy się nie zdecydowałem. Ogólnie obowiązywała zasada: wystarczy powiedzieć, że coś cię niepokoi, i umówią cię ze specjalistą.

Po ustaleniu dawki informacje przekazują do firmy, która zajmuje się dostawą czynnika do domu. Dostajesz również niezbędne pojemniki na odpady i jeżeli potrzebujesz np. dodatkowych gazików, plastrów itd., to zgłaszasz to i przywożą z najbliższą dostawą. Ja miałem dostawy co osiem tygodni, na dwa-trzy dni przed terminem (wcześniej ustalonym – dostajesz rozpiskę) dzwonili i pytali, czy czegoś jeszcze potrzeba. Kiedy leciałem np. na wakacje do Polski, to moja opiekunka zawsze dawała ekstra jakieś opakowania czynnika. Przyjeżdża kurier, przynosi wszystko pod drzwi, zabiera pełne opakowania na odpady i do zobaczenia za kolejne osiem tygodni.

I najważniejsze: dopóki lekarz prowadzący nie zmieni dawki czy częstotliwości podań, nic nie musisz robić, masz zapisany konkretny czynnik konkretnej firmy i tylko czekasz na dostawę.

Z poradni dostałem wszystko, czego potrzebowałem: stazę, torbę termiczną, żele na zimno/ciepło. Niczego nie musiałem kupować. Dodatkowo otrzymałem kartę na leki za „zero”, ale tylko te przepisane przez lekarza (w moim wypadku był to Letrox, bo nic więcej nie brałem na stałe, ale gdybym dostał coś np. na wątrobę, to też miałbym to bezpłatnie).

Wiem, że rehabilitacja jest dostępna: najpierw wizyta w Centrum, rozmowa z rehabilitantem i ustalenie, co robić, a potem trzeba przychodzić na ćwiczenia.

Czas trwania typowej wizyty w ośrodku to około 2 godzin. Najpierw potwierdzasz swoje przybycie u pielęgniarek. Później rozmowa z lekarzem prowadzącym. U mnie wyglądało to zazwyczaj tak, że omawialiśmy ostatnie wyniki, obecny stan, czy były wylewy. Pytają, czy potrzebna jest wizyta u innego lekarza itp. Później podanie czynnika i pobranie krwi do badań. Po mniej więcej godzinie ponowne pobranie krwi w celu określenia poziomu.

Mieszkalem w Londynie, więc takich ośrodków było kilka, korzystałem z najbliższej

położonego; trzymałem się go, nawet gdy się przeprowadziłem na drugi koniec miasta, bo byłem zadowolony.

O wszystkich wynikach informowany jest lekarz opieki podstawowej (nasz rodzinny), więc jak do niego idziesz, też mniej więcej zna twój stan.

Marcin Szczubiał

Niemcy

Nasz trzyletni syn ma postać ciężką hemofilii B, dzięki Bogu bez inhibitora. Urodził się już w Niemczech. Kiedy miał dziesięć miesięcy, ugryzł się w język. Krwawienie nie ustawało. Po badaniach okazało się, że ma hemofilię. Syn dostaje czynnik rekombinowany o przedłużonym czasie działania Idelvion w dawce 500 jednostek. Czynnik podajemy co siedem dni, tak zalecił lekarz. Jeśli syn przewróci się lub gdzieś spadnie, wysyłam lekarzowi prowadzącemu zdjęcie, a on decyduje, czy mamy podać czynnik. Dodatkowo mamy telefon do centrum leczenia hemofilii, gdzie można dzwonić przez całą dobę.

Na początku synowi pobierano krew co trzy tygodnie, by sprawdzić, czy nie ma inhibitora. Pierwsze sto podań wykonuje hematolog prowadzący. Taką mają tu procedurę. U nas wszystko szło dobrze, więc hematolog już po pierwszych dziesięciu miesiącach stwierdził, że teraz wystarczy przyjeżdżać co trzy miesiące (może też dlatego, że mamy 70 km do kliniki). Potem chodziliśmy do lekarza dziecięcego, który wykonywał zastrzyk. Od roku czynnik synowi podaje moja żona. Jest to dla nas naprawdę duży komfort.

Jeśli chodzi o odbiór czynnika, to moja żona dostaje od lekarza co trzy miesiące 20 opakowań czynnika.

Warto tu wspomnieć o bardzo istotnej dla nas sprawie. Centrum leczenia hemofilii organizuje weekendy dla rodziców i dzieci z hemofilią. Tam bardzo dużo się dowiedzieliśmy od innych rodziców i od lekarzy. Czuliśmy się zaraz pewniejsi siebie. Uczą tam także, jak wkuwać się do żyły.

Takie spotkanie weekendowe trwa od piątku po południu do niedzieli. Organizują je psycholog/socjolog, lekarze hematolodzy oraz pielęgniarki z kliniki w Monachium.

Program jest z góry ustalony przez nich. Wszystko odbywa się w grupie. W piątek jest wspólna kolacja i wzajemne poznawanie się rodzin, wymiana doświadczeń. W sobotę odbywają się sesje, podczas których omawiane są tematy zaproponowane przez rodziców, np. nowe preparaty, przedszkole, szkoła. Radą służą obecni tam lekarze. Bardziej doświadczeni rodzice dzielą się wiedzą z tymi, których dzieci dopiero zostały zdiagnozowane. Maluchy są w tym czasie pod opieką specjalnie wynajętych opiekunów do dzieci. Są też atrakcje dla wszystkich, np. był aquapark, golf, grill. Wszystko odbywa się w luźnej atmosferze. W niedzielę rano lekarze organizują szkolenie, jak podawać czynnik. Po obiedzie jest pożegnanie. Spotkania odbywają się dwa razy do roku. Muszę powiedzieć, że bardzo nam pomogły – bardzo dużo się dowiedzieliśmy. Wspólnie ze spotykanymi tam rodzicami tworzymy grupę na WhatsApp. Staramy się nawzajem sobie pomagać, gdy ktoś ma jakiś problem.

Są też strony internetowe dla chorych na hemofilię. Tam też są fora internetowe, można zamówić informacje na temat choroby, broszury, książki, nawet darmowy pojemnik na zużyte igły. Dostajemy biuletyn od DHG – niemieckiego stowarzyszenia chorych na hemofilię.

I jeszcze jedna ważna kwestia dotycząca Niemiec. Kiedy syn szedł do przedszkola, to mogliśmy złożyć wniosek do urzędu wojewódzkiego o pomoc integracyjną – kogoś, kto będzie uważać na dziecko w przedszkolu. Nasz syn dostał na 24 godziny w miesiącu panią tylko dla siebie. Oczywiście syn może chodzić do przedszkola więcej niż te 24 godziny w miesiącu.

Grzegorz spod Stuttgartu

Francja

We Francji ośrodki leczenia chorych na hemofilię funkcjonują na terenie całego kraju (jest ich 39, z tego 30 oferuje bezpośredni dostęp do specjalistów z wielu dyscyplin). Każdy pacjent jest pod opieką hematologa i powinien przynajmniej raz w roku pojawić się na wizycie kontrolnej (w przypadku dzieci – dwa razy do roku). U dzieci z założonym

portem terminy wizyt są częstsze (4 razy w roku, jeśli stosuje się profilaktyczne leczenie domowe). Oczywiście, w przypadku wystąpienia nagłych krwawień działa system ratunkowy 24/7 z dyżurującym hematologiem. Każdy pacjent posiada książeczkę zdrowia, w której powinien odnotowywać każde podanie czynnika, dzięki czemu możliwe jest zapisywanie informacji epidemiologicznych w rejestrze Francecoag i śledzenie zużycia produktów oraz rejestrowanie ich serii. Warto przy okazji podkreślić, że Francuskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię (AFH) stara się objąć swym nadzorem całość terytorium (także terytoria zamorskie).

Dostępność do innych lekarzy jest możliwa za pośrednictwem lekarza ogólnego, jeżeli problem medyczny nie jest bezpośrednio lub pośrednio związany z rzadką skazą krwotoczną (np. kontrola wzroku) albo za pośrednictwem hematologa, który poleci specjalistę (kardiologa, stomatologa, ginekologa, reumatologa itp.), w razie potrzeby uruchamiając niezbędne procedury (np. w przypadku ekstrakcji zęba, ciąży, wrzodów). Pacjenci objęci opieką zespołu multidyscyplinarnego powinni mieć jak najczęstszy dostęp do rehabilitanta, do psychologa. Te ośrodki, które bezpośrednio nie oferują wspomnianych powyżej opcji, muszą w takim wypadku wskazać specjalistów.

Jeśli chodzi o fizjoterapię, jest to słaby punkt we francuskiej opiece medycznej, gdyż nie funkcjonuje tu terapia prewencyjna. Dopiero po epizodzie krwotocznym bądź w przypadku planowanej interwencji chirurgicznej uruchamiane są zabiegi fizjoterapeutyczne. Wypada zadać sobie pytanie o zasadność podjęcia interwencji chirurgicznej w przypadku zakładania endoprotez u ludzi młodych, ponieważ odpowiednio wcześniej podjęta kinezyterapia mogłaby tę interwencję odsunąć w czasie o wiele lat.

Za informacje wykorzystane powyżej dziękujemy Olivii Romero Lux i jej zespołowi z AFH – Francuskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię.

(oprac. bp, as)

Czy terapię genową będzie można stosować u pacjentów z inhibitorami?

Firma Spark, która prowadzi jedną z dwóch najbardziej zaawansowanych prób klinicznych terapii genowej hemofilii B, rozwija też własną terapię genową hemofilii A (choć jest to mniej zaawansowane badanie kliniczne niż próba terapii genowej hemofilii A sponsorowana przez firmę Biomarin).

W ostatnich tygodniach firma Spark rozpoczęła rekrutację pacjentów do nowego badania, które ma objąć pacjentów z inhibitorami czynnika VIII. Badanie to powinno odpowiedzieć na jedno z kluczowych pytań dotyczących terapii genowej. Do tej pory pacjenci z inhibitorami nie byli brani pod uwagę w próbach terapii genowej. Z kolei w środowisku naukowców badających immunologiczne aspekty terapii genowej mówiło się wręcz, że „aż się prosi”, żeby wykonać takie badanie, ponieważ wątroba, jako miejsce produkcji czynnika VIII u pacjentów poddanych terapii, jest środowiskiem tolerogennym, to znaczy sprzyja tolerancji odpornościowej na czynnik VIII, na co wskazują badania z udziałem zwierząt laboratoryjnych.

Terapia genowa, której zostaną poddani pacjenci w nowym badaniu, będzie polegała na dożylnym podaniu wektorów wirusowych

AAV, które wprowadzą do hepatocytów (komórek wątroby) prawidłową kopię genu kodującego czynnik krzepnięcia VIII i zmuszą je w ten sposób do produkcji prawidłowego czynnika VIII. Na pierwszy rzut oka terapia może się wydawać bezcelowa u pacjentów z inhibitorem, który przecież hamuje aktywność czynnika VIII, jednak u zwierząt, w tym u psów z hemofilią A powikłaną inhibitorem, inhibitor zniknął po poddaniu ich terapii genowej za pomocą wektorów AAV, czyli terapia wywoływała u tych zwierząt tolerancję odpornościową na czynnik VIII. U ludzi jedynym (i u części pacjentów niestety nieskutecznym) sposobem na wywołanie takiej tolerancji jest obecnie długotrwałe i częste podawanie dużych dawek koncentratu czynnika VIII.

Jeśli w nowym badaniu firmy Spark terapia genowa zadziała u pacjentów z inhibitorami tak samo jak w badaniach z udziałem zwierząt, będzie to prawdopodobnie największy dotychczas przełom w leczeniu tej grupy chorych, ponieważ uzyskanie tolerancji odpornościowej na czynnik VIII może u nich jednocześnie oznaczać „wyleczenie” z hemofilii lub trwałą zmianę jej postaci na łagodniejszą.

Radosław Kaczmarek

I Mistrzostwa w Pływaniu Dzieci i Młodzieży z Hemofilią

Kiedy w 2015 r. ukazał się francuski przewodnik „Pływanie”, można było znaleźć w nim liczne dowody, jaki to pożyteczny sport, zwłaszcza dla chorych mających problemy z poruszaniem się. Z inicjatywy Francuskiej Federacji Pływackiej (FFN) i Francuskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię (AFH) wydano wtedy magazyn kierowany zarówno do tych, którzy pływać uwielbiają, jak i do tych, którzy marudzą, że woda jest mokra.

Idąc tym pływackim tropem, Klinika Pediatrii, Onkologii, Hematologii i Diabetologii Uniwersytetu Medycznego w Łodzi oraz Polskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię, pod patronatem prezydenta miasta Łodzi, zorganizowały I Ogólnopolskie Mi-

strzostwa w Pływaniu Dzieci i Młodzieży z Hemofilią. Ci, którzy pływają, wiedzą, że w wodzie, podobnie, jak w przypadku stosowanej w rehabilitacji bieżni antygravitacyjnej, ciężar ciała jest znacznie zredukowany. I chociaż do stanu nieważkości jeszcze daleko, to unosząc się na wodzie, można w bardzo prosty sposób pomóc sobie i swojemu ciału. Pływanie to chyba jedyny sport, w którym – czy tego chcemy czy nie – aktywizujemy do pracy wszystkie mięśnie. Efekt: przyjemność, relaks i satysfakcja. Jeśli do tego dodamy odrobinę adrenaliny, jaka zwykle towarzyszy współzawodnictwu, otrzymamy obraz atmosfery, jaka wytworzyła się w łódzkiej Zatoce Sportu 29 września 2018 r.



U góry: Basen w Zatoce Sportu ma wymiary olimpijskie.

U dołu: Fragment rozgrzewki, jaką z uczestnikami poprowadził Paweł Korzeniowski.

W wydarzeniu wzięło udział blisko 80 osób – dzieci i młodzież z rodzicami z całej Polski (z Częstochowy, Konina, Łodzi, Mogilna, Poznania, Oświęcimia, Skierniewic, Warszawy i Wrocławia), wolontariusze w ramach Take Action (którzy m.in. pełnili rolę sędziów), przedstawiciele Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię oraz lekarze na co dzień zajmujący się leczeniem hemofilii. Uczestnicy liczący od 8 do 18 lat, podzieleni na trzy kategorie wiekowe, rywalizowali w dwóch konkurencjach: 50 m stylem dowolnym i 50 m stylem grzbietowym. Zawody odbywały się w pięknym obiekcie Politechniki Łódzkiej, dysponującym basenem o wymiarach olimpijskich, tzn. o długości 50 m.

W tych precedensowych zawodach szczególnie rywalizować musiały dzieci młodsze, najliczniej reprezentowane w swojej kategorii. Nieco mniej emocji, wystudzonych być może właśnie mniejszą konkurencyjnością, towarzyszyło młodzieży w przedziale wiekowym 16+. Dla jednych i drugich wielką niespodzianką i atrakcją był krótki trening z mistrzem świata w pływaniu i czterokrotnym uczestnikiem igrzysk olimpijskich, Pawłem Korzeniowskim. Korzeniowski prowadził zawody, uczestniczył w zabawowym wyścigu z wolontariuszkami (które oczywiście dostały fory), a także pozował do całej masy zdjęć z uczestnikami i rozdawał autografy.

Dla najlepszych w poszczególnych konkurencjach były medale, dyplomy i nagrody rzeczowe, dla wszystkich – dyplomy uczestnictwa i świetna zabawa. Równolegle można było korzystać z drugiego basenu, rekreacyjnego, położonego tuż obok; mile czas spędzali tam niektórzy rodzice wraz z młodszymi dziećmi (na zawody przyjeżdżały całe rodziny). Nie zabrakło też części szczególnie miłej dla oka – pokaz pływania synchronicznego ujawnił artystyczno-zabawowe oblicze tego poważnego sportu.

Zawodom towarzyszyły wykłady prof. Wojciecha Młynarskiego i mgr Marty Rusek potwierdzające przydatność pływackiej aktywności sportowej w kształtowaniu pewności siebie i utrzymaniu dobrej kondycji psychofizycznej. Stara maksyma „w zdrowym ciele zdrowy duch” w przypadku pływania jest szczególnie aktualna. Cieszy, że udało się ją zaszczerpić naszym pacjentom. Miejmy nadzieję, że zawody pływackie dla chorych na hemofilię w Polsce wejdą na stałe do kalendarza imprez.

Bernadetta Pieczyńska, Adam Sumera

Wiadomości z Kół

Koło gdańskie

14 października 2018 r. odbyło się jesienne zebranie Koła Terenowego PSCH w Gdańsku. W spotkaniu z chorymi i rodzicami chorych dzieci, jak zwykle, uczestniczyli lekarze opiekujący się chorymi na skazy krwotoczne: dr Marek Wlazłowski i dr Andrzej Mital z UCK w Gdańsku. Zaproszony został również ratownik medyczny, pan Adrian

Zadorecki z Bydgoszczy.

Jako pierwszy głos zabrał dr Marek Wlazłowski z wykładem „Każde dziecko jest inne – leczenie indywidualne”. Doktor mówił o tym, że personalizacja profilaktyki w leczeniu hemofilii jest kluczowa, ponieważ każdy pacjent jest inny. Dlatego przy podejmowaniu decyzji powinno się brać pod uwagę unikalne cechy pacjenta. Krytycznym czynnikiem

wymagającym uwzględnienia jest profil farmakokinetyczny (PK) pacjenta. Omówione zostały również właściwości aplikacji mobilnej myPKFIT dla pacjenta i lekarza. Ostatnim zagadnieniem tego wykładu była szczegółowa analiza badania okresu półtrwania czynnika VIII, podawanego w różnych dawkach u dziewięciu wybranych chłopców będących pacjentami doktora.

Następnie dr Andrzej Mital wygłosił wykład „Stany zagrożenia życia w hemofilii”. Na podstawie „Wytycznych postępowania w hemofilii A i B powikłanej i niepowikłanej inhibitorem czynnika VIII i IX” (II wydanie) omówił m.in. kwestie najczęstszych przyczyn hospitalizacji, cele profilaktyki – pierwotnej, wtórnej, trzeciorzędowej, nowe możliwości terapeutyczne leczenia hemofilii (najnowszy lek emicizumab o długotrwałym działaniu, podawany podskórnie w bardzo małej dawce), inwazyjne zabiegi u chorych na wrodzone osoczowe skazy krwotoczne i nabytą hemofilię, wpływ inhibitora na postępowanie terapeutyczne.

Jako ostatni prelekcję przedstawił Adrian Zadorecki, ratownik medyczny z Bydgoszczy. Wykorzystując bardzo ciekawą prezentację multimedialną, w sposób przystępny, dowcipny i poparty licznymi przykładami ze swojej praktyki zawodowej, poprowadził wykład „Jak postępować w stanach nagłego zagrożenia”. Podał definicję pierwszej pomocy medycznej oraz wskazał, że każdy ma obowiązek jej podjęcia w celu ratowania życia lub zdrowia osób poszkodowanych do czasu przyjazdu służb medycznych. Ratownik pokazał czynności podejmowane w czasie resuscytacji osób dorosłych, dzieci, niemowląt. Omówił użycie defibrylatora, pierwszą pomoc w przypadku zadławienia, zawału serca, omdlenia, padaczki i udaru mózgu, po ukąszeniu przez owady. Pan Adrian Zadorecki poinformował również słuchaczy o tym, że rozpoczęły się w Polsce szkolenia ratowników medycznych mające na celu zapoznanie ich z zasadami postępowania i udzielania pierwszej pomocy osobom chorym na hemofilię.

W czasie części organizacyjnej niżej podpisany omówił aktualny stan prac legislacyjnych nad „Narodowym Programem Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne

Skazy Krwotoczne na lata 2019–2023”. Wskazał na ogromne zaangażowanie prezesa Stowarzyszenia, Bogdana Gajewskiego w tworzeniu tego programu. Przypomniął o możliwości odliczenia 1% podatku dochodowego dla naszego stowarzyszenia jako OPP, a także zachęcił do odwiedzania forum internetowego, gdzie chorzy wymieniają się ważnymi informacjami dotyczącymi naszego środowiska.

Zebrań, jak zwykle, zakończyło się posiłkiem, w czasie którego członkowie Koła wymieniali się jeszcze uwagami o swoim życiu z chorobą i doświadczeniami z kontaktów ze służbą zdrowia.

Ryszard Jurczyk

Koło krakowskie

W październiku 2018 r. wspólnie z Kliniką Hematologii CM UJ zorganizowaliśmy warsztaty dla chorych obciążonych skazami krwotocznymi i ich rodzin. Wzięło w nich udział około 100 osób. Spotkanie miało szczególny charakter, gdyż w tym dniu żegnaliśmy profesora Aleksandra Skotnickiego, który przeszedł na emeryturę. Przedstawiciele Koła w imieniu wszystkich chorych i ich rodzin podziękowali panu profesorowi za wieloletnią, prawdziwie ojcowską opiekę. Wzruszający był moment odczytania listu przysłanego przez żonę zmarłego niedawno naszego brata krwi, w którym dziękowała panu profesorowi, lekarzom, pielęgniarkom i Stowarzyszeniu za pomoc i opiekę.



Profesor Aleksander Skotnicki podczas wykładu.

Profesor Skotnicki w swoim wystąpieniu podzielił się osobistymi refleksjami, ze skromnością przyznając, że i on jako młody lekarz wiele się od chorych nauczył. Obiecał, że nadal będzie o nas pamiętał i z radością

przyjął zaproszenie na kolejne zebrania Koła. Pan Profesor powierzył nasze sprawy swojemu następcy, którym został prof. Artur Jurczyszyn.

Tu krótka dygresja: pożegnanie Profesora przez społeczność i władze Uniwersytetu Jagiellońskiego oraz władze Krakowa, połączone ze zbliżającą się 70. rocznicą powstania Kliniki Hematologii, odbyło się w maju 2018 r. na uroczystej konferencji „Postępy krakowskiej hematologii”, podczas której, wśród wielu prezentacji, wykład „Wrodzone skazy krwotoczne – terapia substytucyjna, ortopedyczna i genowa” wygłosiła dr Joanna Zdziarska. Zbliżający się jubileusz Kliniki i zakończenie pracy zawodowej prof. Skotnickiego zaowocowało kolejną publikacją pana Profesora. A my zostaliśmy zaszczytzeni skierowanym do nas zaproszeniem do zredagowania rozdziału o działalności Krakowskiego Koła PSCH. Znalazł się on w części poświęconej organizacjom pacjentkim działającym przy Klinice Hematologii CM UJ.

Kolejnym punktem październikowego zebrania były wykłady. Dr Joanna Zdziarska przedstawiła ważne informacje na temat operacji chirurgicznych u chorych na skazy krwotoczne. Było to merytoryczne wprowadzenie do kolejnego wykładu, wygłoszonego przez chirurga, dr. Tomasza Kruszynę, o operacjach chirurgicznych, m.in. laparoskopii i laparotomii. Prelekcja była prowadzona w bardzo przystępny sposób, z wielką swadą i z humorem. Wzbogaciły ją liczne zdjęcia z sali operacyjnej i praktyczne informacje typu „co każdy pacjent wiedzieć powinien, aby nie panikować przed zabiegiem i po nim”. Nie wątpię, że taka wiedza potrzebna jest każdemu.

Tę część spotkania zamknął wykład dr Joanny Zdziarskiej „O nowych możliwościach leczenia hemofilii A i B – terapię podskórne”. Ta prezentacja wzbudziła u chorych ogromne nadzieje na przyszłość.

Po wykładach miały miejsce warsztaty, które przeprowadziły panie mgr Anita Wójcik i mgr Anita Cebula. Tematem była „Terapia manualna u chorych na skazy krwotoczne – doświadczenia krakowskie”. Obie specjalistki od wielu lat stosują nowoczesne metody usprawniania chorych z artropatią hemofilową. A jak widoczne są efekty ich pracy,



dr Joanna Zdziarska



dr Tomasz Kruszyna



mgr Izabela Cebula



mgr Anita Wójcik

mogliśmy się przekonać za sprawą relacji Piotra, który dzięki tak prowadzonej rehabilitacji uzyskał w krótkim czasie i bez bólu bardzo dobre efekty usprawniające ruchomość stawów.

Odnotujemy także, że już tradycyjnie nasze spotkanie zaszczyliła swoją obecnością dr Beata Mazurek z Krakowskiego Centrum Krwiodawstwa i Krwiolecznictwa.

Z satysfakcją odnotowujemy fakt, że chorzy w Małopolsce mają wzorową opiekę medyczną. Jednak taka sytuacja powoduje uśpienie czujności i często nieprzyjmowanie do wiadomości, że w Polsce nic nie jest dane raz na zawsze. Dlatego przedstawiciele Koła uświadomili chorym ogromne problemy związane z rodzącym się wówczas w wielkich bólach „Narodowym Programem Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019–2023”. Mówiliśmy o wprost heroicznych działaniach Stowarzyszenia, o licznych petycjach poselskich, listach, programach TV, ciągłych wizytach prezesa Stowarzyszenia w Ministerstwie Zdrowia i o dziesiątkach spotkań lekarzy z decydentami w ramach Zespołu do spraw Narodowego Programu Leczenia Hemofilii, powołanego przez Ministra Zdrowia. I akurat tak się złożyło, że program został podpisany dosłownie w przeddzień naszego spotkania.

Po zebraniu wszyscy wzięli udział w uroczystym obiedzie, podczas którego jeszcze był czas na wzajemną wymianę doświadczeń i zacieśnianie znajomości i przyjaźni.

Andrzej Zdziarski

Koło kujawsko-pomorskie

9 czerwca 2018 r. odbyło się spotkanie członków naszego koła terenowego, a uczestniczyła w nim grupa braci krwi z koła kaliskiego i łódzkiego. Spotkanie odbyło się w dwóch grupach wiekowych – dla rodzin z dziećmi i dla dorosłych. W pierwszej grupie prelegentami byli: dr Andrzej Kołtan, mgr Martyna Woźniak, mgr Marta Rusek i mgr Adrian Zadorecki, a w drugiej wykłady prowadzili: dr Anna Buczma, dr Paweł Ambroziak, mgr Marta Rusek oraz mgr Adrian Zadorecki.

Tematy poruszane na spotkaniu to prawdy i mity o hemofilii, wykorzystanie dzienniczków elektronicznych dla dzieci, pomoc psychologiczną, zabiegi ortopedyczne uszkodzonych stawów oraz stany zagrożenia życia (postępowanie przy udzielaniu pierwszej pomocy, resuscytacji i reanimacji). Dodatkowo odbyły się warsztaty dla dzieci.

Spotkanie przebiegło w znakomitej

rodzinnej atmosferze z dużą dawką radości i śmiechu.

Dariusz Majewski

Koło lubelskie

1 grudnia 2018 r. odbyło się w Lublinie spotkanie członków koła lubelskiego PSCH połączone z warsztatami. Przewidziane były zarówno wykłady dla dorosłych chorych, jak i dla rodziców chorych dzieci. Swoją obecnością zaszczylił Lublin tym razem następujący prelegenci: dr Justyna Kozińska, dr Mirosław Jerzy Jaworski, dr Joanna Zdziarska, dr Grzegorz Michalczewski, dr Irena Woźnica-Karczmarska, dr Karolina Sobót-Kasperska oraz mgr Ewelina Wołoszyn. Tematyka warsztatów dotyczyła nowej edycji Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię, zabiegów endoprotezoplastyki, przyszłości leczenia hemofilii, opieki stomatologicznej oraz aspektów emocjonalno-społecznych związanych z hemofilią. Cieszy wysoka frekwencja na spotkaniu – łącznie było około 70 uczestników.

Po raz pierwszy prelekcje były nagrywane kamerą, a po spotkaniu udostępnione na portalu hemostaza.edu.pl. Link do nagrań:

<https://hemostaza.edu.pl/aktualnosci/news/d/21-relacje-cyfrowe-ze-spotkania-edukacyjnego-polskiego-stowarzyszenia-chorych-na-hemofilie-w-lublinie/>

Mamy nadzieję, że dzięki udostępnieniu nagrań w Internecie wykłady obejrzy większa liczba zainteresowanych.

Łukasz Brzana

Koło łódzkie

20 października 2018 r. odbyło się doroczne zebranie ogólne członków Koła. Podczas zebrania uczestnicy mieli okazję spotkać się z prezesem Stowarzyszenia, Bogdanem Gajewskim, który omówił aktualne problemy leczenia hemofilii w Polsce. Wysłuchano także serii prezentacji, które wygłosili lekarze i inni specjaliści zajmujący się hemofilią: prof. Krzysztof Chojnowski („Przestrzeganie zaleceń lekarskich”), prof. Jacek Treliński („Hemofilia w pigułce: pytania i odpowiedzi”), prof. Wojciech Młynarski („Nowoczesne podejście do leczenia pacjentów z hemofilią”), dr Olga Wegner („Personalizacja jest kluczowa, ponieważ każdy pacjent

jest wyjątkowy”), ratownik, mgr Adrian Zadorecki („Postępowanie w stanach nagłych” – warsztaty), rehabilitant, mgr Tomasz Marciniak („Ruch to zdrowie” – warsztaty).

Adam Sumera

Koło poznańskie

Czas jesienno-zimowy to w naszym Kole głównie okres kontaktów z chorymi z innych Kół: począwszy od czynnego udziału w I Ogólnopolskich Mistrzostwach w Pływaniu Chorych na Hemofilię (o czym powyżej), poprzez wizytę w Kole Wrocławskim i ogólnopolskie warsztaty rehabilitacyjne dla chorych na hemofilię w poznańskim INTERLAB-ie, po realizację kolejnego odcinka międzynarodowego projektu HemoKT, (obszerniej pisaliśmy o nim w poprzednim biuletynie, a wspominamy o nim także poniżej).

W kole wrocławskim miałam przyjemność wręczyć naszą szklaną statuetkę prof. Marii Podolak-Dawidziak i dr. Grzegorzowi Dobaczewskiemu. Pani Profesor to niezwykle empatyczna i ciepła osoba, od lat wspierająca swoją fachowością i profesjonalizmem nie tylko pacjentów chorych na hemofilię. To wielka sztuka umieć połączyć naukowość z otwartością na potrzeby zwykłego pacjenta, niekoniecznie będącego naukowym przypadkiem. Doktor Dobaczewski, znany na naszym forum m.in. z działającej do niedawna ogólnopolskiej infolinii dla rodziców dzieci chorych na hemofilię, to przede wszystkim bardzo uważny, przyjacielski i troskliwy hematolog i pediatra, który przez wiele lat współorganizował i prowadził turnusy rehabilitacyjne dla chłopców chorych na hemofilię.

Późną jesienią, w listopadzie w Poznaniu odbyła się kolejna edycja bardzo ważnych dla chorych na hemofilię warsztatów rehabilitacyjnych organizowanych przez centrum INTERLAB. Szansę na poddanie się fachowej rehabilitacji mieli pacjenci z różnych miejsc Polski. Warsztaty trwały pięć dni, od poniedziałku do piątku. Zastosowano nowoczesne metody fizjoterapii, pacjenci korzystali z bieżni antygravitacyjnej, z zabiegów aparatem do głębokiej elektrostymulacji magnetycznej Salus oraz z zabiegów aparatem do radio-

frekwencji. Stosowano również zabiegi indywidualnie dobranej terapii manualnej. W trakcie warsztatów odbyły się również wykłady hematolog zajmującej się chorymi na hemofilię, dr Marioli Bober, pielęgniarki zaznajomionej ze specyfiką hemofilii, Marioli Szajek oraz fizjoterapeuty, Janusza Zawilskiego. Obecny był również psycholog, Jan Gruszka. Swoimi bogatymi doświadczeniami z uczestnikami kursu podzielił się chory z Poznania, Przemysław Świątek.

Bernadetta Pieczyńska

Koło wrocławskie

10 listopada 2018 r. w sali wykładowej RCKiK we Wrocławiu miało miejsce spotkanie edukacyjne dla pacjentów chorych na hemofilię i inne pokrewne skazy krwotoczne z regionu Dolnego Śląska. Spotkanie było połączone z dorocznym walnym sprawozdawczym zebraniem członków PSCH Wrocław. Gościem specjalnym spotkania z ramienia Zarządu Głównego była Bernadetta Pieczyńska – prezes poznańskiego koła PSCH. W części pierwszej Bernadetta Pieczyńska wraz z niżej podpisanym uroczyście wręczyli pamiątkowe statuetki z okazji 30-lecia Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię dwojgu lekarzom zasłużonym dla wrocławskiego koła: prof. Marii Podolak-Dawidziak oraz dr. Grzegorzowi Dobaczewskiemu. Oboje wspierają nasze koło i wszystkich chorych ze skazami krwotocznymi z całego Dolnego Śląska od początku istnienia wrocławskiego koła terenowego PSCH. Na ich fachową pomoc, dobrą radę i wsparcie mogą zawsze liczyć zarówno chorzy dorośli, jak i dzieci chore na hemofilię i ich rodzice. Dla naszego koła i wszystkich członków w nim zgromadzonych to wielki zaszczyt mieć za opiekunów medycznych tak profesjonalnych lekarzy.

W dalszej części spotkania edukacyjnego zaproszeni goście wygłosili swoje wykłady i prezentacje:

- „Zmiany w dystrybucji czynników krzepnięcia w RCKiK” – mgr farmacji Michał Mierzwicki (RCKiK Wrocław);
- „Wyzwania opieki nad starszymi chorymi na hemofilię” – prof. Maria Podolak-Dawidziak (Klinika Hematologii we Wrocławiu);

- „Rzadkie niedobory czynników krzepnięcia – leczenie z wykorzystaniem czynników rekombinowanych” – dr Grzegorz Dobaczewski (Klinika Hematologii Dziecięcej we Wrocławiu).

Drugą część spotkania wypełniło roczne zebranie sprawozdawcze naszego koła zakończone poczęstunkiem.

Zdzisław Grzelak

O uczuleniu na czynnik

Choć to rzadkie przypadki, to jednak zdarza się, że po podaniu czynnika czy nawet jeszcze w trakcie podawania poczuje się źle, a przynajmniej inaczej niż zwykle. Niekiedy także czynnik po dodaniu rozpuszczalnika wygląda dziwnie. Pamiętajmy: jeżeli zaistnieje problem zdrowotny (jeśli pojawią się objawy, jakich normalnie nie mamy) po podaniu czynnika lub jeżeli lek po rozpuszczeniu ma zmieniony wygląd, powinniśmy to koniecznie zgłosić:

- lekarzowi prowadzącemu, który z kolei powinien to zgłosić do Inspektora Nadzoru Farmaceutycznego lub wytwórcy,
- bezpośrednio do wytwórcy leku,
- do RCKiK / NCK jako do kupujących preparaty.

Opisywanie na Forum niewiele daje nam jako chorym, a do tego budzi niepotrzebne emocje. Jedynie rzetelne zgłaszanie reakcji ubocznych pozwoli na ewentualne wyeliminowanie z zakupów pewnych leków.

Oto adres, pod który można bezpośrednio zgłaszać działania niepożądane:

Departament Monitorowania Niepożądanych Działań Produktów Leczniczych Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych
Al. Jerozolimskie 181 C
02-222 Warszawa
faks: 22 49 21 309
e-mail: ndl@urpl.gov.pl

(as)

Hemlibra – nowe informacje

W poprzednim Biuletynie pisaliśmy o leku emicizumab, teraz lepiej znanym pod nazwą handlową Hemlibra. Przypomnijmy, że jest to specyfik podawany podskórnie raz w tygodniu w postaci łatwego do samodzielnego wykonania zastrzyku (trwają badania nad rzadszym schematem profilaktyki, nawet raz na miesiąc). W lutym 2018 r. Hemlibra została zarejestrowana przez Komisję Europejską jako lek „wskazany do stosowania w rutynowej profilaktyce epizodów krwawienia u pacjentów z hemofilią A i z inhibitorami czynnika VIII, we wszystkich grupach wiekowych”. Otwiera to drogę do stosowania tego środka

także w Polsce (Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię wskazuje, że istnieje taka możliwość, i uzależnia zastosowanie leku od decyzji Rady Programu po uprzedniej opinii AOTMiT). Najnowsze doniesienie w tej dziedzinie to informacja, że w październiku 2018 r. amerykańska Agencja ds. Żywności i Leków (FDA) zatwierdziła Hemlibrę do stosowania w rutynowej profilaktyce u osób dorosłych i dzieci chorych na hemofilię A bez obecności inhibitorów czynnika VIII. Teraz wypada nam czekać na podobną decyzję rejestracyjną Komisji Europejskiej.

(as)

Użyteczne filmy o hemofilii na YouTube

W ramach międzynarodowego przedsięwzięcia tłumaczeniowego *International Haemophilia Knowledge Translation Project* (HemoKT) niestrudzona Bernadetta Pieczyńska przygotowała polską wersję językową już drugiego filmu, a wkrótce zakończy pracę nad trzecim – i na razie

ostatnim – filmem z serii przedstawiającej w komunikatywny i świetnie ilustrowany sposób podstawowe kwestie dotyczące hemofilii.

Oto linki do tych filmów:

1) „Co to jest hemofilia?”:

https://www.youtube.com/watch?v=_6g3PeVmqRY&t=1s

2) „Artropatia hemofilowa”:

<https://www.youtube.com/watch?v=RAoFt9xONZ0&t=45s>

Trzeci film będzie traktować o profilaktyce.

Warto tu wspomnieć, że z danych przedstawionych w połowie stycznia br. podczas międzynarodowej konferencji „Global Haemophilia Advocacy Leadership Summit” wynika, iż wśród pięciu wersji językowych pierwszego filmu dostępnych na YouTube (angielskiej, francuskiej, hiszpańskiej, portugalskiej i polskiej) polska wersja zajmuje drugą pozycję, jeśli chodzi o liczbę odsłon (na slajdzie widnieje liczba 1292, ale obecnie jest to już 1425 wyświetleń, w ciągu pół roku); pierwszą lokatę zajmuje wersja portugalska (ponad 11 000 odsłon), którą opracował niedościgniony Brazylijczyk Francisco Careta, współautor HemokT; pozostałe wersje mają jednak wyniki ledwo trzycyfrowe.



Wysokie miejsce polskiej wersji jest tym bardziej godne podkreślenia, że jest ona z całej piątki najmłodsza.

Linki do filmów w polskiej wersji warto podesłać wszystkim osobom, które mogą mieć do czynienia z dziećmi chorymi na hemofilię – nauczycielom w szkole, opiekunom przedszkolnym, a może nawet lekarzom pierwszego kontaktu.

(as)

Nowy wjazd do Instytutu Hematologii



W związku z budową Szpitala Południowego od 3 września 2018 r. głównym i jedynym wjazdem do Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie jest wjazd od strony wschodniej z niedawno przedłużonej ulicy Indiry Gandhi (z małego ronda). Wjazd we wspólny dojazd prowadzący dotychczas do Centrum Onkologii i IHiT od strony ul. Pileckiego jest zamknięty.

(as)

Nie ma miejsca na bierność

Już od ponad dwudziestu lat działam w zarządzie koła (łódzkiego) oraz w zarządzie głównym naszego Stowarzyszenia. Z całą odpowiedzialnością mogę powiedzieć, że nie było jeszcze ani jednego roku, w którym jako działacze moglibyśmy powiedzieć: „Sporo osiągnęliśmy i na pewno już tego nie stracimy”. Przeciwnie, każdy rok przynosił kolejne zmagania z urzędnikami z ministerstwa zdrowia i walkę nie tylko o to, żeby było lepiej, ale także o to, by nie zabrano nam tego, co w każdym innym kraju uznawane byłoby za

oczywiste w przypadku leczenia chorych z takimi schorzeniami.

Z niepokojem obserwuję frekwencję na spotkaniach mojego Koła (piszę o tym, co widzę bezpośrednio, ale podejrzewam, że bardzo podobnie jest w innych miastach). Dużo osób przychodzi tylko wtedy, gdy dzieje się coś niepokojącego (przed kilkunastu laty najczęściej chodziło o braki w zaopatrzeniu w czynnik; teraz to już na szczęście się nie zdarza). Zazwyczaj docierają tylko najbardziej żarliwi członkowie – po części starsi

bracia krwi, dobrze znający ciemne strony leczenia, a po części rodzice, zwłaszcza tych najmłodszych dzieci. Większość najwyraźniej uważa, że nie ma sobie czym zaprzętać głowy, bo czynnik jest – i na pewno będzie.

Ostatnie lato przyniosło nerwowe wyczekiwanie na przyjęcie nowej edycji Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię. Nasze środowisko wykazało się znaczną aktywnością – wiele osób napisało listy i maile do polityków (a warto podkreślić, że nie chodziło tu o podpisywanie jednego przyjętego tekstu, tylko każdy pisał od siebie). Złożono także rekordową liczbę podpisów pod petycją (piszemy o tym na s. 2). Mam jednak obawy, że teraz, kiedy Program został przyjęty, znowu zapanuje bierność.

Oby tak się nie stało. Jeśli nie będziemy aktywni jako całe środowisko, ministerstwo i jego agendy znowu będą zwlekać z wprowadzeniem w życie zapisów Programu. Szczególnie może tu chodzić o właściwą organizację ośrodków leczenia hemofilii – wszystko może skończyć się powieszeniem nowych tabliczek w istniejących już oddziałach hematologicznych, bez żadnych zmian w strukturze ich działania i bez żadnych korzyści dla pacjentów, czyli dla nas. Relacje z innych krajów, jakie zamieściliśmy w tym

Biuletynie, jasno pokazują, ile nam jeszcze brakuje do standardów europejskich.

Bierność nie popłaca. Jeśli ktoś ma wątpliwości, to dodam, że w ubiegłym roku gdzieś w ministerstwie zdrowia odżyła koncepcja, by skasować program ministerialny i całe leczenie hemofilii przekazać do NFZ. Nie potrzeba specjalnie bujnej wyobraźni, by zobaczyć, jak to mogłoby się skończyć: pieniądze na czynniki rozpląnęłyby się w wielkim kotle NFZ, żaden dyrektor szpitala nie byłby skłonny wydać poważnych sum niezbędnych na zakup czynników i potem czekać miesiącami na refundację. Pieniądze, które powinny być przeznaczone na nasze leczenie, trafiłyby na pokrycie pilniejszych wydatków...

Musimy cały czas czuwać, by utrzymać to, co mamy, i starać się o dalszą poprawę. Niestety, w odróżnieniu od mieszkańców Irlandii czy Niemiec nie żyjemy w kraju, w którym chory na hemofilię może być pewien, że rządzący nie zapomną o jego potrzebach. Oczywiście każdy decyduje za siebie. Tylko proszę pamiętać: kiedyś może się okazać, że kolejny zryw aktywności będzie już zbyt spóźniony i wszystko już będzie pozamiatane.

Adam Sumera

Pamiętajmy o jednym procencie

Nadchodzi okres rozliczania podatku dochodowego za ubiegły rok. Tym razem rozliczenie mają za nas przygotować urzędy skarbowe, ale nadal mamy prawo do przekazania 1 procenta z podatku należnego z naszego PIT-u na rzecz wybranej organizacji pożytku publicznego. Przypominamy, że Polskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię jest oficjalnie zarejestrowane jako taka organizacja. Przekazanie jednego procenta nie wiąże się z żadnymi kosztami. Wystarczy jedynie wypełnić odpowiednie rubryki w swoim zeznaniu podatkowym, a urząd skarbowy przekaże 1% naszego podatku na konto PSCH.

Numer rejestru KRS naszego Stowarzyszenia brzmi: 0000169422.

Jeśli chcemy, możemy dodatkowo wskazać, dla którego z kół terenowych Stowarzyszenia ma zostać przeznaczona nasza wpłata.

O przekazanie na rzecz PSCH 1% podatku przy rozliczaniu PIT-u warto poprosić krewnych, znajomych, sąsiadów. W ten sposób z nawet niewielkich wpłat uzbierają się sumy, które pomogą w rozwijaniu działalności naszego Stowarzyszenia.

Wiele spośród książek i płyt DVD z informacjami o różnych aspektach hemofilii i choroby von Willebranda publikowanych przez nasze Stowarzyszenie zostało sfinansowanych właśnie z kwot przekazanych w ramach 1% od podatku PIT.

Przy rozliczaniu PIT warto także pamiętać o możliwości odliczenia pewnych kosztów związanych z udziałem w turnusie rehabilitacyjnym, dojazdami na rehabilitację czy przeróbkami mieszkania (znoszenie barier architektonicznych). Szczegóły można znaleźć w instrukcji do załącznika PIT/O (w Urzędzie Skarbowym lub na stronie internetowej).

(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