

6 Rola profilaktyki

W tym rozdziale znajdziesz odpowiedzi na następujące pytania:

- Co to jest profilaktyka?
- Jakie istnieją rodzaje profilaktyki?
- Dlaczego profilaktyka jest potrzebna w hemofilii?
- Kiedy należy rozpocząć profilaktykę?
- Na czym polega rola rodziny w leczeniu profilaktycznym?
- Jakie są korzyści z profilaktyki?
- Jakie problemy mogą się pojawić przy długim leczeniu profilaktycznym czynnikiem krzepnięcia?
- Kiedy należy zakończyć profilaktykę?
- Czym różni się leczenie profilaktyczne w hemofilii A od profilaktyki w hemofilii B?
- Jakie badania prowadzono nad profilaktyką w hemofilii?
- Jaką przyszłość ma profilaktyczne leczenie czynnikiem?



David Lillicrap, M.D., FRCPC,

dyrektor, Kompleksowy Program Opieki nad Chorymi na Hemofilie, The Hospital for Sick Children (Szpital Dziecięcy), Toronto, Ontario

Vicky R. Breakey, M.D., FRCPC,

pracownik kliniczny, Division of Hematology/Oncology (Oddział Hematologii i Onkologii), The Hospital for Sick Children (Szpital Dziecięcy), Toronto, Ontario

Manuel Carcao, M.D., FRCPC, M.Sc.,

zastępca dyrektora, Kompleksowy Program Opieki nad Chorymi na Hemofilie, The Hospital for Sick Children (Szpital Dziecięcy), Toronto, Ontario

Man-Chiu Poon, M.D., FRCPC,

dyrektor, Southern Alberta Rare Blood and Bleeding Disorders Comprehensive Care Program (Kompleksowy Program Leczenia Rzadkich Chorób Krwi i Skaz Krwotocznych, Southern Alberta), Calgary, Alberta

Sprawdź swoją wiedzę

.....
W jakim kraju w latach 60. po raz pierwszy zastosowano długoterminowe profilaktyczne leczenie czynnikiem krzepnięcia u chłopców chorych na ciężką postać hemofilii?

(Pomoc w odpowiedzi na pytania – patrz str. 4 tego rozdziału.)

■ Co to jest profilaktyka?

Profilaktyka to zapobieganie krwawieniom poprzez regularne podawanie czynnika krzepnięcia, w celu niedopuszczenia do wylewów lub ograniczenia częstotliwości ich występowania. Najważniejszą zaletą tego rodzaju leczenia jest właśnie to, że koncentrat czynnika podaje się zanim nastąpi krwawienie, aby nie dopuścić do rozległych wylewów.

■ Jakie istnieją rodzaje profilaktyki?

Istnieje kilka rodzajów profilaktyki:

- krótkoterminowa,
- długoterminowa,
- pierwotna,
- wtórna.

Profilaktyka krótkoterminowa

Profilaktyka krótkoterminowa to leczenie polegające na podawaniu czynnika krzepnięcia przez kilka dni lub kilka tygodni. Profilaktyka taka może na przykład zapobiegać krwawieniu podczas zabiegu chirurgicznego i po nim. Może ona też oznaczać podawanie czynnika z powodu częstych krwawień do tego samego stawu, doprowadzających do przewlekłego stanu zapalnego (np. obrzęku) i/ lub utraty zakresu ruchomości.

6 Rola profilaktyki

Profilaktyka długoterminowa

Polega na regularnym podawaniu koncentratu czynnika krzepnięcia przez długi okres – co najmniej przez rok lub dłużej. Można ją rozpocząć w bardzo młodym wieku i kontynuować przez cały okres dzieciństwa. Pozwala to maksymalnie ograniczyć krwawienia do stawów, dzięki czemu są one w jak najlepszym stanie.

Profilaktyka pierwotna

Oznacza rozpoczęcie regularnego podawania czynnika krzepnięcia przed wystąpieniem jakiegokolwiek uszkodzenia stawu spowodowanego nawracającymi krwawieniami (czyli we wczesnym dzieciństwie).

Profilaktyka wtórna

Polega na podawaniu czynnika w sytuacji, gdy już doszło do uszkodzeń stawu lub stawów. Takie uszkodzenia najczęściej powstają na skutek nawracających krwawień w pierwszych kilku lub kilkunastu latach życia. Podczas profilaktyki wtórnej czasem pojawiają się krwawienia do tych stawów, zwykle tuż przed podaniem kolejnej dawki czynnika – kiedy jego poziom we krwi jest najniższy, tzw. krwawienia przełomowe (ang. breakthrough bleeding).



MIT:

KREW DZIECKA UCZESTNICZĄCEGO W LECZENIU PROFILAKTYCZNYM KRZEPNIĘCIEM PRAWIDŁOWO.

FAKT:

Zazwyczaj profilaktyka powoduje wzrost poziomu czynnika VIII lub IX we krwi dziecka do zaledwie 20-30% normy tuż po podaniu czynnika. Poziom ten spada do ok. 1% normy tuż przed następnym podaniem. Profilaktyka nie jest gwarancją całkowitego braku krwawień i uszkodzeń stawów.

■ Dlaczego profilaktyka jest potrzebna w hemofilii?

Profilaktyczne podawanie czynnika stosuje się, aby zapobiegać krwawieniom i uszkodzeniom stawów u dzieci chorych na hemofilię. Częste krwawienia do stawów (zwłaszcza skokowych, kolanowych i łokciowych) są powszechne u chłopców z ciężką postacią hemofilii, ale występują rzadziej u osób cierpiących na umiarkowaną i łagodną postać choroby. Profilaktyczne podawanie koncentratu czynnika krzepnięcia w ciężkiej postaci hemofilii zwiększa poziom czynnika do takiego, jaki występuje u osób z łagodną i umiarkowaną postacią choroby.

Po raz pierwszy zalety profilaktyki przedstawiła grupa lekarzy ze Szwecji, którzy w latach 60. rozpoczęli program długoterminowego, profilaktycznego leczenia czynnikiem krzepnięcia chłopców chorych na ciężką postać hemofilii. Wyniki ich badań, zaprezentowane we wczesnych latach 90. (po 25 latach obserwacji), wywarły tak ogromne wrażenie, że obecnie profilaktykę uważa się za standard w leczeniu ciężkiej postaci hemofilii.

Najważniejszym celem leczenia jest ochrona stawów tak, by mogły one normalnie funkcjonować. Profilaktyka pomaga dzieciom z hemofilią prowadzić aktywne życie, regularnie chodzić do szkoły i żyć pełnią życia.

■ Kiedy należy rozpocząć profilaktykę?

To kluczowe pytanie. Niektórzy lekarze uważają, że profilaktykę pierwotną należy rozpocząć tuż po wystąpieniu pierwszego krwawienia, najlepiej przed 2. rokiem życia. Inni zaś zwracają uwagę, że schemat krwawień do stawów różni się w zależności od chorego i zalecają czekanie z rozpoczęciem leczenia profilaktycznego, aż wystąpią dwa krwawienia do tego samego stawu w krótkim odstępie czasu. Wszystkie osoby, które zajmują się leczeniem hemofilii, zgodnie twierdzą, że ważne jest rozpoczęcie profilaktyki długoterminowej przed wystąpieniem nawracających krwawień.

6

Rola profilaktyki

■ Na czym polega rola rodziny w leczeniu profilaktycznym?

Rodzina odgrywa kluczową rolę w powodzeniu leczenia profilaktycznego. Pierwszym sukcesem jest podjęcie decyzji o rozpoczęciu profilaktyki. Zespół zajmujący się opieką nad osobami chorymi na hemofilię wyjaśni Ci różne podejścia stosowane przy wprowadzaniu profilaktyki. To Ty możesz zdecydować, co będzie najlepsze dla dziecka.

Twoim głównym zadaniem w trakcie leczenia profilaktycznego dziecka, do momentu, aż będzie ono wystarczająco duże, aby podejmować samodzielne decyzje odnośnie sposobu leczenia, jest czuwanie, aby rozpoczęta profilaktyka była prowadzona w sposób właściwy.

Należy zatem:

- Skrupulatnie prowadzić dzienniczek krwawień oraz infuzji czynnika;
- Regularnie zgłaszać się do ośrodka leczenia hemofilii na badania kontrolne. Lekarz dziecka oraz pielęgniarka będą wraz z Tobą analizować plan leczenia profilaktycznego, w tym ilość i rodzaj czynnika, który należy podawać, jak również częstotliwość i moment podawania (najlepiej, gdy czynnik podaje się rano);
- Nauczyć się podawać czynnik. Pielęgniarka dziecka pokaże Ci krok po kroku, jak to robić;
- Dobrze zrozumieć zasady leczenia profilaktycznego, aby czuć się pewnie, podając czynnik i prowadząc leczenie w domu.

Wiele rodzin odkrywa, że leczenie domowe wpływa na poprawę jakości ich życia i zmniejsza liczbę wizyt w szpitalu.

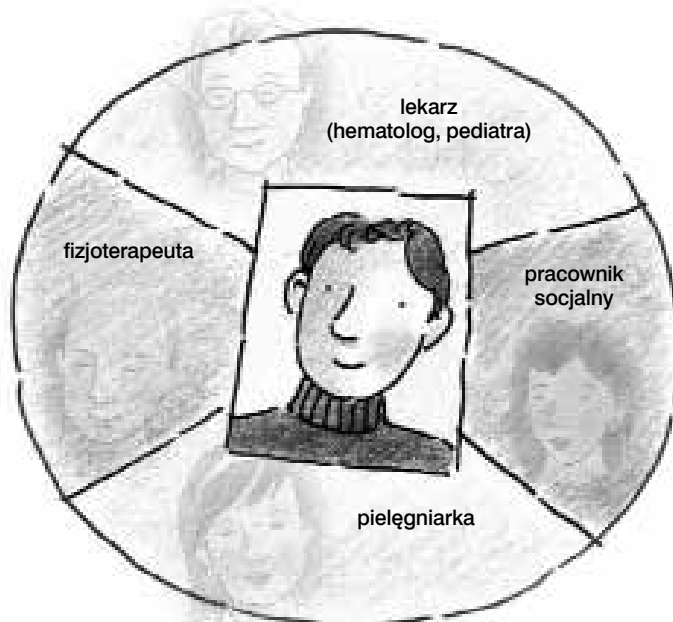


6 Rola profilaktyki

Jeszcze jedna, ostatnia, ale bardzo ważna kwestia: leczenie profilaktyczne to wysiłek zespołowy. Do zespołu należycie: Twoje dziecko i Ty, lekarz i pielęgniarka z ośrodka leczenia hemofilii. Każdy członek zespołu ma przypisaną ważną rolę, która polega na dopilnowaniu, aby plan leczenia profilaktycznego był owocny. Zespół leczenia hemofilii ma bardzo duże doświadczenie w pracy z rodzinami rozpoczynającymi profilaktykę. Członkowie zespołu będą z Tobą współpracować w celu wyboru podejścia, które będzie najlepsze dla Twojego dziecka.

„Profilaktyka doskonale sprawdza się w przypadku mojego syna: dzięki niej może robić większość rzeczy, które robią inne dzieci. Dzięki leczeniu domowemu mamy o wiele większą swobodę.”

Pamiętaj, aby śmiało zadawać pytania i być zawsze przygotowanym na czerpanie wiedzy od personelu ośrodka leczenia hemofilii i od innych rodzin, których dzieci są leczone profilaktycznie.



6

Rola profilaktyki

■ Jak należy oceniać korzyści profilaktyki?

Dobranie najlepszego dla danego pacjenta schematu profilaktyki jest trudne, dlatego trzeba regularnie analizować leczenie. Taka analiza powinna obejmować:

- Przegląd dzienniczka leczenia w celu oceny częstości i rodzaju krwawień;
- Badania i testy oceniające stan zdrowia stawów, np. zdjęcia rtg, które wykazują zmiany w obrębie kości, badania usg pozwalające wykryć zmiany w tkankach miękkich (np. obrzęk błony maziowej) oraz rezonans magnetyczny (badanie MR) pozwalające na wykrycie zmian w chrząstce, kościach i tkankach stawu;
- Regularne i szczegółowe badania kontrolne przeprowadzane przez fizjoterapeutę z ośrodka leczenia hemofilii. Fizjoterapeuta ocenia funkcję stawów, ich ruchomość oraz cechy wczesnej lub zaawansowanej choroby stawów;
- Regularną ocenę tego, czy pacjent potrafi samodzielnie wykonywać codzienne czynności (dbanie o siebie, higiena, ubieranie się, jedzenie, poruszanie się);
- Określanie na podstawie wskaźników oceny jakości życia, jaki wpływ ma hemofilia na ogólne zadowolenie z życia danej osoby.

*Sprawdź
swoją
wiedzę*

.....

Jakie są cztery główne rodzaje leczenia profilaktycznego czynnikiem krzepnięcia?

(Pomoc w odpowiedzi na pytania

– patrz str. 2–3 tego rozdziału.)

■ Jakie problemy pojawiają się przy długim profilaktycznym leczeniu czynnikiem?

Głównym problemem są trudności ze znalezieniem żył (dostępu żylnego) u bardzo małych dzieci.

Dostęp do żyły to często prawdziwy problem, gdy profilaktykę rozpoczyna się w bardzo młodym wieku, a dziecko jest „pulchne” i trudno zlokalizować żyłę, do której można wstrzyknąć koncentrat czynnika. U takich dzieci może być konieczne założenie specjalnego urządzenia do centralnego dostępu dożylnego (na ogół tzw. portu), aby ułatwić pobieranie krwi i podawanie czynnika. Wymaga to przeprowadzenia niewielkiego zabiegu chirurgicznego.



Rodzice zostaną przeszkoleni, jak używać portu w domu. Możliwe powikłania związane z tym urządzeniem to zakażenia i powstawanie zakrzepów w żyłach oraz dookoła końcówki cewnika. Z tego powodu port zakłada się tylko wtedy, gdy wkłucia do żył kończyn górnych są niemożliwe. Lekarz zajmujący się leczeniem hemofilii i pielęgniarka mogą omówić z Tobą kwestię przydatności portu w przypadku Twojego dziecka.

📖 *Aby uzyskać więcej informacji, zobacz **rozdział 7: Leczenie domowe.***

■ Kiedy należy zakończyć profilaktykę?

W Szwecji profilaktykę zwykle kontynuuje się przez całe życie. W innych krajach dorośli sami decydują, czy chcą ją kontynuować. W Polsce leczenie profilaktyczne wprowadzono w 2008 roku. Leczenie powinno być prowadzone regularnie. Należy przestrzegać terminów kolejnych wstrzyknięć zgodnych ze schematem leczenia. Po przerwaniu profilaktyki bardzo ważne jest szybkie i intensywne leczenie wszystkich krwawień do stawów przy pomocy koncentratu czynnika tak, aby utrzymać korzyści wczesnej profilaktyki zapewnionej w dzieciństwie.

■ Czym różni się leczenie profilaktyczne w hemofilii A od profilaktyki w hemofilii B?

Różnice dotyczą dawek czynnika (są one większe w hemofilii B) oraz częstotliwości podań. W hemofilii A czynnik należy podawać częściej, ponieważ okres półtrwania czynnika VIII (czas, po którym połowa aktywności wstrzykniętego czynnika znika) wynosi ok. 10–12 godzin, zaś okres półtrwania czynnika IX to ok. 20–24 godziny.

■ Jakie badania prowadzono nad profilaktyką w hemofilii?

Rozpoczęte w 1997 r. badanie o nazwie Canadian Dose Escalation Primary Prophylaxis Study dostarczyło bardzo ważnych informacji dotyczących profilaktyki u bardzo małych chłopców chorych na ciężką postać hemofilii A.


- W badaniu profilaktykę rozpoczynano od podawania czynnika VIII raz w tygodniu.
- W przypadku wystąpienia krwawienia do stawu lub mięśnia częstotliwość podań zwiększano do dwóch tygodniowo.
- Jeśli krwawienia do stawów lub mięśni powtarzały się, czynnik VIII podawano co drugi dzień.

Takie stopniowe zwiększanie intensywności leczenia uwzględnia indywidualną częstość krwawień danego dziecka, i dlatego taki schemat uważa się za doskonały sposób rozpoczynania profilaktyki. Dzięki niemu można w wielu przypadkach uniknąć zakładania portu oraz związanych z nim powikłań (zakażeń i powstawania zakrzepów krwi). Niestety schemat ten dopuszcza wystąpienie co najmniej kilku krwawień do stawów, co może niekorzystnie odbić się na ich stanie w przyszłości.



■ Jaką przyszłość ma profilaktyka?

Jest bardzo prawdopodobne, że profilaktyka pozostanie standardem opieki nad dziećmi chorymi na ciężką postać hemofilii A i B przez kilka najbliższych dziesięcioleci. Ostatecznym celem jest leczenie hemofilii przy użyciu terapii genowej, ale nie jest ono jeszcze wystarczająco zaawansowane, aby można je było stosować u pacjentów. Jednak zaprezentowane w grudniu 2011 roku badania Brytyjczyków nad terapią genową u chorych na hemofilię B dały bardzo obiecujące wyniki.

Ogromnym krokiem naprzód w leczeniu hemofilii A jest stworzenie nowych preparatów czynnika VIII, które działają dłużej niż koncentraty dostępne obecnie. Pierwsze próby kliniczne takich preparatów o przedłużonym okresie półtrwania są obecnie w toku. Jeśli zakończą się pomyślnie, będzie można podawać czynnik rzadziej. Trwają też prace nad opracowaniem rekombinowanego czynnika IX o przedłużonej aktywności.  Aby uzyskać więcej informacji na temat profilaktyki, zobacz **rozdział 16: Przyszłość opieki nad osobami z hemofilią.**

