

VII KONGRES WIZJA ZDROWIA DIAGNOZA I PRZYSZŁOŚĆ FORESIGHT MEDYCZNY

Program profilaktycznego leczenia hemofilii u dzieci. Co poprawić w systemie?

Podczas debaty na temat leczenia hemofilii u dzieci, która odbyła się w trakcie konferencji Wizja Zdrowia – Diagnoza i Przyszłość, eksperci i przedstawiciele organizacji pacjentów rozmawiali o niezaspokojonych potrzebach chorych oraz możliwościach optymalizacji ich terapii i poprawy komfortu życia.

– Hemofilia to choroba wrodzona, genetyczna, w której leczeniu zaszyły duże zmiany – mówiła prof. dr hab. n. med. Iwona Hus, kierownik Oddziału Chorób Układu Chłonnego Kliniki Hematologii Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie, prezes Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów. – Gdy zaczynałam pracę, nie było jeszcze czynnika rekombinowanego, korzystaliśmy z produktów osocznopodobnych. Pacjenci, którzy je otrzymywali, w wieku 20–30 lat byli niepełnosprawni. Mieli zniszczone stawy po wylewach dostawowych. Dodatkowo, co w przypadku czynników rekombinowanych już nie jest zagrożeniem, łapali infekcje wirusowe, chociażby wirusami hepatotropowymi. Zdarzało się, że z tego powodu umierali. Jednym z nich był nasz kolega, który zmarł na raka wątroby właśnie na podłożu wirusowego zapalenia wątroby. Wprowadzenie leków rekombinowanych było więc ogromnym krokiem w leczeniu tej choroby. Pacjenci największe korzyści z ich stosowania odnoszą wtedy, gdy podajemy je od narodzin, szczególnie w sytuacji, kiedy dziecko zaczyna się poruszać samodzielnie, uczy się chodzić, bo w tym okresie pojawia się również ryzyko występowania wylewów. Obecnie w refundacji mamy jedynie czynniki, które muszą być podawane codziennie. Dla małych pacjentów jest to ogromne obciążenie. Dzieci nie rozumieją, dlaczego każdego dnia muszą przeżywać taki stres, co często kończy się tym, że ich leczenie jest suboptymalne. Może to prowadzić do wylewów, a co za tym idzie – do niepełnosprawności, a także ma wpływ na psychikę. W związku z tym kolejnym krokiem, który byłby bardzo potrzebny w leczeniu hemofilii u dzieci, jest refundacja czynników rekombinowanych o przedłużonym czasie działania. Takie leki są i w lutym bieżącego roku konsultant krajowy prof. Jan Styczyński zgłosił potrzebę zmiany w programie lekowym dotyczącym właśnie profilaktyki. Zależy nam też na tym, by to lekarz i zespół kwalifikujący decydowali, jaki rodzaj profilaktyki będzie stosowany. To nie jest bardzo duża grupa dzieci, ale wpływ, jaki choroba i leczenie mają na ich funkcjonowanie, jest ogromny i rzutuje na dorosłe życie – podkreśliła prof. Iwona Hus. – Jako pediatrzy bardzo byśmy chcieli, żeby nasi pacjenci mieli czynniki o wydłużonym czasie działania – potwierdziła dr hab. n. med. Irena Karczmarsz-Woźnica, specjalistka pediatrii, trans-



W DEBACIE UCZESTNICZYLI:

- prof. dr hab. n. med. Iwona Hus – kierownik Oddziału Chorób Układu Chłonnego Kliniki Hematologii Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie, prezes Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów
- dr hab. n. med. Irena Karczmarsz-Woźnica – Uniwersytecki Szpital Dziecięcy w Lublinie
- Ewelina Matuszak – Stowarzyszenie Chorych na Wrodzone Skazy Krwotoczne
- Szymon Rajski – Kancelaria Filipiak Babicz Legal sp.k.

fuzjologii klinicznej, onkologii i hematologii dziecięcej w Uniwersyteckim Szpitalu Dziecięcym w Lublinie. – Dlaczego jest to dla nas takie ważne? Dostępne obecnie leczenie nie jest optymalne, bo nie jest skuteczne i nie spełnia swych zadań profilaktycznych. Czynniki krzepnięcia 8 ma krótki czas półtrwania i niektóre dzieci wymagają jego podawania nawet co 24 godziny. Sytuacja, w której podajemy czynniki o standardowym czasie trwania co drugi dzień, a mimo to mamy krwawienia, to znak, że pacjent powinien bezwzględnie otrzymać inne leki. Pamiętajmy przy tym, że w ciągu miesiąca trzeba u takiego dziecka wykonać 14 podań. To jest dla niego trudne do zniesienia. Wiemy jednocześnie, że część pacjentów mogłaby przejść

nawet na podawanie leku dwa razy w tygodniu, a już trzy podania w tygodniu byłyby ogromnym sukcesem – dodała. – Istnieje kilka typów czynników krzepnięcia o wydłużonym działaniu, które różnią się między sobą – tłumaczyła dr hab. Irena Karczmarsz-Woźnica. – Część z nich może być podawana u dzieci powyżej 12. roku życia, a część nie ma limitu wieku. Założyliśmy, że im starszy jest pacjent, tym czas półtrwania w naczynkach krwionośnych jest dłuższy. I faktycznie tak jest. Robimy badania farmakokinetyczne od 6 czy 8 lat i zauważyliśmy, że czas półtrwania z wiekiem się wydłuża. Z tego wynika, że optymalną grupą do stosowania czynników krzepnięcia o przedłużonym czasie działania by-

łyby dzieci starsze, ale tak nie jest. W przypadku dzieci młodszych, do 6. roku życia, możliwość zmniejszenia podań chociaż o jedno w ciągu tygodnia to ogromna różnica dla lekarzy i dla rodziców. U małych dzieci nie mamy dobrego dostępu do żył, bardzo często wymagają one założenia dostępów centralnych. To wiąże się z ryzykiem zakrzepicy, powikłań zakrzepowo-zatorowych, powikłań infekcyjnych. Cewniki nie są też optymalnym sposobem podawania leków u dzieci. Zmniejszenie częstości podań z co dwa dni na dwa razy w tygodniu to kolosalna różnica, dlatego chcielibyśmy, by wszyscy nasi pacjenci pediatryczni skorzystali z tej możliwości – podsumowała.

Hemofilia oczami rodziców

– Piętnaście lat temu wprowadzono program profilaktyczny dla dzieci i to było odkrycie na miarę wynalazienia koła – przypomniała Ewelina Matuszak ze Stowarzyszenia Chorych na Wrodzone Skazy Krwotoczne. – Wcześniej hemofilia była bardzo niebezpieczną, śmiertelną chorobą, doprowadzającą do całkowitej niepełnosprawności. To na szczęście się zmieniło dzięki objęciu dzieci programem profilaktycznym. Nie możemy jednak zapominać, że obecnie dostępna profilaktyka ma też drugą, już nie tak szczęśliwą twarz. Dzieci są do niej kwalifikowane ok. 12. miesiąca życia, gdy zaczynają chodzić, intensywnie rozwijają się emocjonalnie i poznawczo. Wtedy zaczyna się podaż leku. Zazwyczaj są to podania dwa lub trzy razy w tygodniu, w zależności od zaawansowania choroby. Proszę sobie wyobrazić, jak reaguje dziecko, któremu trzy razy w tygodniu w szpitalu albo w POZ pobieramy krew. Żadne roczne dziecko nie jest w stanie wyciągnąć rączki i usiedzieć w spokoju podczas podania leku, szczególnie że to nie jest jeden mililitr, ale znacznie większa objętość, podawana powoli. A przecież to tylko część procedury związanej z leczeniem. Proszę mi wierzyć, rodzice nie są na to przygotowani – tłumaczyła. – Mówi się o sukcesie w leczeniu hemofilii, bo zniknęła ze szpitali – kontynuowała Ewelina Matuszak. – I faktycznie, w pewnym sensie jest to sukces, dopóki nie uświadomimy sobie, że teraz domy rodzinne pacjentów stały się szpitalami. W aplikowanie leku uwikłana jest cała rodzina, rodzice często szukają też pomocy w POZ czy na SOR. Niestety, są z nich odsyłani, ponieważ z względu na bardzo młody wiek dzieci nie ma możliwości podaż leków nawet przez wykwalifikowany personel medyczny. Normą jest, że lek udaje się podać się do żyły dopiero po piątym lub szóstym wkłuciu. Wszystko to odbija się na psychice dziecka, ale też na kondycji psychicznej wszystkich członków rodziny. Nasze dzieci, a my z nimi, są niejednokrotnie odizolowane w domu, który zaczął pełnić funkcję szpitala. Strach, by dziecko nie doznało urazu, traumatyzuje całą rodzinę. Dzieci uczą się unikania kontaktu, dotyku nawet najbliższych osób. Cierpią na zaburzenia sensoryczne. Gdy trafiają

do przedszkola, boją się bawić z rówieśnikami, choć rodzice uczą je, że w dniu podania czynnika taka zabawa nie jest niebezpieczna. Do niedawna rodzice nie mieli nawet możliwości, by wymienić się doświadczeniami. W ostatnim czasie powstała grupa na Facebooku, która trochę to zmieniła. Nasze rodziny nie mają dostępu do systemowego wsparcia psychologicznego, dlatego od września uruchomiliśmy projekt, dzięki któremu mogą się bezpłatnie skontaktować on-line z psychologiem. – Chcę powiedzieć to głośno i wyraźnie: leczenie hemofilii w Polsce jest i jest dobre, ale od 15 lat stoi w miejscu – podkreśliła Ewelina Matuszak. – W programie lekowym refundowany jest czynnik o przedłużonym działaniu i my jako chorzy – czy to dzieci, czy dorośli – moglibyśmy z niego korzystać, jednak ani razu w ciągu tych 15 lat nie został on kupiony. Zwracam się więc do decydentów, którzy zajmują się przetargami, by spróbowali znaleźć rozwiązanie, które pozwoli nam korzystać z tego leku – apelowała.

– Kiedyś hemofilia prowadziła do niepełnosprawności. Chorzy na hemofilii, którzy teraz mają 50–60 lat, to osoby niepełnosprawne. Mimo to wciąż powinny poddawać się leczeniu profilaktycznemu, aby zapobiegać krwawieniom. Nie mogą tego zrobić, gdy nie mają nawet możliwości wkłucia się w żyły, więc traktują to leczenie wyłącznie „urazowo”. Dla dzieci, które mają utrudniony dostęp do żył, jedyną możliwością jest zakładanie portów w narkozie w sali operacyjnej. W trakcie tego zabiegu pojawia się ryzyko wystąpienia uczulenia na czynnik. Nasze dzieci żyją z portami po 5–6 lat. Niejednokrotnie dochodzi do infekcji, bo w warunkach domowych trudno o zachowanie stuprocentowej sterylności. W przypadku zakażenia portu dziecko wraz z rodzicem musi trafić do szpitala. To wszystko generuje kolejne koszty – mówiła przedstawicielka pacjentów. – Obecnie cała Europa stosuje czynniki o przedłużonym działaniu, pojawiają się już leki podawane podskórnie. Zastanówmy się, dlaczego zostaliśmy w tyle. Spróbujmy dogonić Unię Europejską. Podaż czynnika raz na tydzień, na przykład w przypadku hemofilii B, to diametralna zmiana dla rodzin. Choćby dlatego, że mamy będą mogły wrócić do pracy. Poprawi się też na pewno kondycja psychiczna pacjentów i ich rodzin. Nikt nigdy nie zbałał, jak destrukcyjny wpływ na sferę psychiczną ma podawanie leku, często na siłę. Dorośli wiedzą, że ratują swoje dziecko, że to jest niezbędne, by zapobiec niepełnosprawności, ale to nie znaczy, że nie cierpią. Dziecko tego nie rozumie. Nie da się mu wytłumaczyć, dlaczego znowu musi poddać się iniekcji. Rodzice stają przed niezwykle trudnymi wyborami. Pierwsze często pojawia się pytanie, czy po urlopie macierzyńskim wrócić do pracy czy zostać w domu, by opiekować się dzieckiem. Większość mam rezygnuje ze swoich planów zawodowych. Wiele zapisuje się na studia podyplomowe, by zdobyć umiejętności, które ułatwią opiekę

VII KONGRES WIZJA ZDROWIA DIAGNOZA I PRZYSZŁOŚĆ FORESIGHT MEDYCZNY



Fot. Patryk Rydzik



Fot. Uniwersytecki Szpital Dziecięcy w Lublinie



Fot. Patryk Rydzik



Fot. FilipakBabicz.com

”

prof. Iwona Hus: Kolejnym krokiem, który byłby bardzo potrzebny w leczeniu hemofilii u dzieci, jest refundacja czynników rekombinowanych o przedłużonym czasie działania. W lutym bieżącego roku konsultant krajowy prof. Jan Styczyński zgłosił potrzebę zmiany w programie lekowym

”

dr hab. Irena Karczmarz-Woźnica: U małych dzieci nie mamy dobrego dostępu do żył, bardzo często wymagają one założenia dostępów centralnych. To wiąże się z ryzykiem zakrzepicy, powikłań zakrzepowo-zatorowych, powikłań infekcyjnych

”

Ewelina Matuszak: Mówi się o sukcesie w leczeniu hemofilii, bo zniknęła ze szpitali. I faktycznie, w pewnym sensie jest to sukces, dopóki nie uświadomimy sobie, że teraz domy rodzinne pacjentów stały się szpitalami

”

Szymon Rajski: Leki o przedłużonym czasie półtrwania są na rynku i w teorii są refundowane. Niestety, w żadnym przetargu nie zostały kupione

nad dzieckiem. Osobnym problemem jest to, że boimy się mikrourazów u naszych dzieci i często z tego powodu ograniczamy ich rozwój. Dotyczy to na przykład nauki chodzenia. Tak bardzo pilnujemy naszych dzieci, że popadamy w obsesję, nie spuszczaemy ich z oczu. Pamiętajmy też, że ok. 30 proc. przypadków hemofilii pojawia się spontanicznie, więc rodzice nie mają wcześniejszych doświadczeń z chorobą. Jest im szczególnie trudno. Do tego nie każdy z nas jest gotowy na codzienny kontakt z krwią, igłami i całą otoczką medyczną, która towarzyszy hemofilii. A tu rodzic znajduje się w sytuacji bez wyjścia, pewnych czynności medycznych przy dziecku nie może uniknąć – tłumaczyła Ewelina Matuszak.

– Rodzice, którzy dowiadują się, że ich dziecko ma hemofilię, są pozostawiani sami sobie – przyznała dr hab. Irena Karczmarz-Woźnica. – Kiedy trafiają do mojego gabinetu, staram się im tłumaczyć, na czym ta choroba polega i z czym będą się wraz z dzieckiem mierzyć. Edukujemy rodziców, uczymy ich samodzielnego podawania leku. Edukujemy również dzieci, które z czasem często same podają sobie lek – dodała.

Zmieńmy kryteria oceny ofert

– Leki o przedłużonym czasie półtrwania są na rynku i w teorii są refundowane. Niestety, w żadnym przetargu nie zostały kupione – stwierdził Szymon Rajski z Kancelarii Filipiak Babicz Legal sp.k. – Dlatego musimy się skupić na działaniach, które doprowadzą do poprawy tej sytuacji. Po pierwsze trzeba się zastanowić, czy nie należałoby odejść od centralizacji i przenieść podejmowanie decyzji na lekarzy i kliniki. Po drugie trzeba wyodrębnić grupę pacjentów, dla której wskazaniem te-



Fot. iStockphoto

rapeutycznym jest stosowanie właśnie tych leków. Moim zdaniem najważniejsze jest jednak zadanie związane z kryteriami oceny ofert. We wszystkich przetargach, które miałem okazję prześledzić, ścierały się pewne wartości, a przyświecał temu jeden cel: jak największe obniżenie ceny. Ustawa o prawach pacjenta wskazuje jednak na prawo pacjenta do dostępu do leczenia zgodnego z aktualną wiedzą medyczną, ale też leczenia efektywnego. Czynniki o przedłużonym działaniu, ułatwiające życie pacjentom i ich rodzinom, doskonale wpisują się w to prawo – dodał.

– Powinniśmy się zastanowić, czy nie byłoby lepiej obrać za kryterium koszt terapii, a nie cenę jednostkowej leku. Z mojej wiedzy i z czystej logiki wynika, że produkty o przedłużonym działaniu mogą być nieco droższe niż produkty konwencjonalne, ale z uwagi na zmniejszoną częstość podań cała terapia może być korzystna finansowo. Pamiętajmy też, że w tym roku w ramach przetargów dotyczących hemofilii i leczenia osób dorosłych nawet ceny jednostkowe czynników długo działających były w niektórych obszarach korzystniejsze niż czynników konwencjonalnych. Warto się zastanowić, czy część zamówień na podania interwencyjne nie powinna być realizowana w ramach tzw. prawa opcji. Oznacza to, że kupujący nie kupuje od razu określonej puli jednostek, bazując na danych historycznych, ile i w jakiej ilości podań było potrzebnych, tylko jest wystawiany pewien depozyt. Prawo dopuszcza, by jednostki były rozliczane dopiero po bezpośrednim zużyciu – proponował Szymon Rajski. – Przy tego typu przetargach warto powoływać grupy ekspertów, którzy uwzględniłby wszystkie elementy, a nie tylko kwestie finansowe. OID już sygnalizował w swoich opiniach, że pro-

wadzenie przetargów w dotychczasowej formie niekoniecznie niesie ze sobą korzyści ekonomiczne – podsumował.

– Bez dostępu do czynników o przedłużonym działaniu specjaliści nie są w stanie zindywidualizować terapii. Jeden chory dobrze reaguje na leczenie czynnikiem krótko działającym, ale w przypadku innego najlepszy będzie czynnik o przedłużonym działaniu. Mamy prawo, by nasze dzieci były leczone najnowszymi i najlepszymi dla nich lekami. Liczymy na to, że to prawo zostanie wkrótce zrealizowane. Dorosli w 16 województwach po ostatnim przetargu otrzymali czynnik o przedłużonym działaniu, bo jego cena była niższa, a dzieci nadal go nie mają – zaznaczyła Ewelina Matuszak.

– Możemy opracować zalecenia dotyczące kwalifikowania pacjentów do podania czynnika o przedłużonym działaniu, ale to naprawdę trudny wybór – mówiła dr hab. Irena Karczmarz-Woźnica. – Z naszego punktu widzenia najlepszym rozwiązaniem byłoby, by wszyscy pacjenci mieli możliwość stosowania leków o wydłużonym czasie półtrwania. Nie ukrywam, że chorzy, którzy otrzymują czynnik o standardowym czasie półtrwania, mają krwawienia mimo stosowania optymalnego leczenia. Moim zdaniem grupa, która jako pierwsza powinna otrzymać nowoczesne leczenie, to te dzieci, które obecnie mają podawany czynnik bardzo często. Wszyscy pacjenci, którzy mają dostosowaną profilaktykę i stosują lek co drugi dzień, powinni otrzymać czynnik krzepnięcia o wydłużonym czasie półtrwania. Jeśli jest możliwość stosowania leku dwa razy w tygodniu zamiast co drugi dzień, to jest to ogromny sukces – podkreśliła.

Agnieszka Pacuła