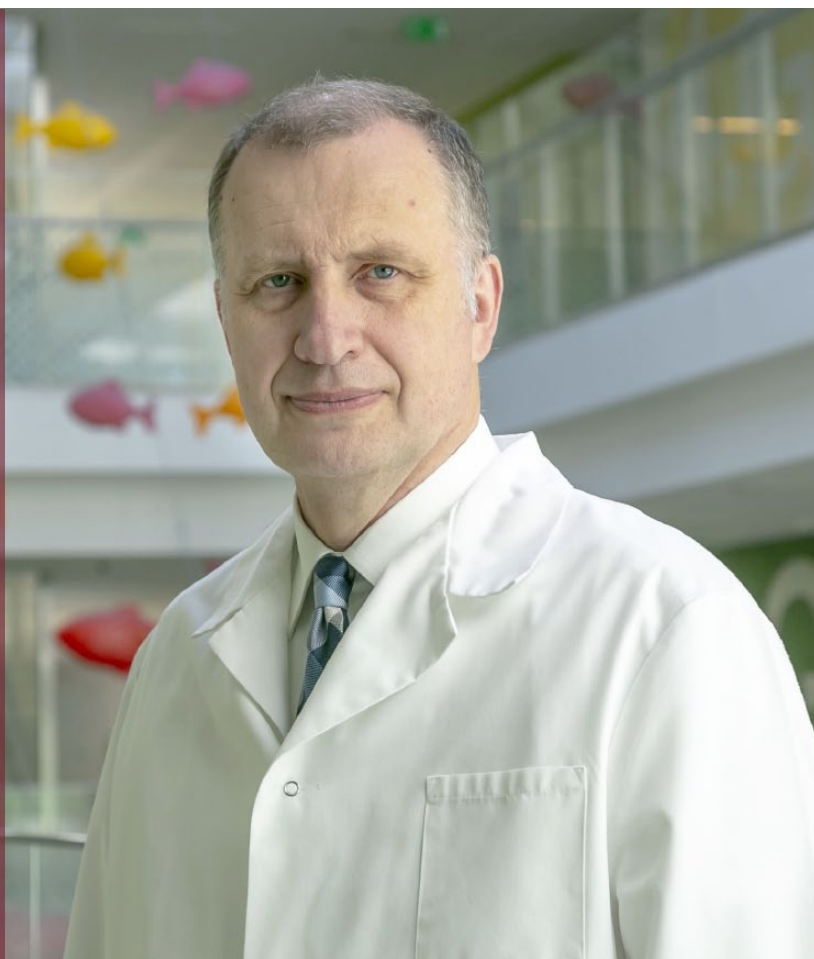


prof. Paweł Łaguna

Problemy z leczeniem dzieci chorych na hemofilię po ukończeniu 18 lat



W niektórych częściach Polski nie ma możliwości przekazywania chorych na hemofilię pacjentów pediatrycznych, kończących 18 lat, do ośrodków leczenia dorosłych – alarmuje prof. Paweł Łaguna z Katedry i Kliniki Onkologii, Hematologii Dziecięcej, Transplantologii Klinicznej i Pediatrii Dziecięcego Szpitala Klinicznego UCK WUM. Specjalista Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego od lat walczy o polepszenie standardów leczenia chorych na hemofilię.

W Polsce liczba wszystkich chorych na wrodzone skazy krwotoczne sięga 5 tysięcy. Większość z nich (ok. 3 tysięcy) stanowią pacjenci leczeni z powodu hemofilii. To głównie chorzy z ciężką postacią hemofilii, czyli tacy, u których stężenie czynnika VIII lub czynnika IX jest mniejsze niż 1%. U ok. 100 pacjentów w Polsce, w wyniku pojawienia się inhibitorów, czyli przeciwciał przeciwko VIII lub IX czynnikowi krzepnięcia, podany im w standardowych dawkach brakujący czynnik krzepnięcia w ogóle nie działa” – tłumaczy specjalista.

Problemy z ośrodkami dla dorosłych

Według prof. Pawła Łaguny w Polsce opieka nad dziećmi chorymi na hemofilię spełnia wszelkie najwyższe standardy światowe. Od 2008 r. sukcesywnie powstają nowe ośrodki opieki nad dziećmi

chorymi na hemofilię, a istniejące dotąd są intensywnie rozbudowywane. Problemem jest jednak wciąż współpraca z ośrodkami leczącymi dorosłych chorych na hemofilię.

„W niektórych częściach Polski nie ma możliwości przekazywania pacjentów pediatrycznych, kończących 18 lat, do ośrodków leczenia dorosłych pacjentów z wrodzonymi zaburzeniami krzepnięcia” – mówi prof. Paweł Łaguna i podkreśla, że zdarzają się placówki, które nie chcą zajmować się pacjentami chorymi na hemofilię. „Opieka nad pacjentami chorymi na hemofilię wymaga bowiem szczególnego doświadczenia całego personelu medycznego, co sprawia, że wiele ośrodków nie spełnia tych kryteriów” – stwierdza prof. Paweł Łaguna z Katedry i Kliniki Onkologii, Hematologii Dziecięcej, Transplantologii Klinicznej i Pediatrii DSK UCK WUM. Na dodatek liczba specjalistów z dziedziny hematologii

nie jest w Polsce duża. Obecnie dziećmi chorymi na hemofilię zajmuje się 50 pediatrów i ta liczba na chwilę obecną jest wystarczająca.

„Problemem jest brak specjalistów zajmujących się leczeniem hemofilii u osób dorosłych. Wynika to z tego, że osób dorosłych żyjących z hemofilią jest więcej niż chorujących dzieci, dodatkowo pacjenci ci mają większe potrzeby. Problem potęguje fakt, że hematolodzy leczący dorosłych zajmują się głównie onkologią, a nie zaburzeniami krzepnięcia u dorosłych” – uważa prof. Paweł Łąguna.

Możliwa szybsza diagnostyka

W ostatnim okresie – dzięki współpracy między innymi ze stowarzyszeniami zrzeszającymi pacjentów chorych na wrodzone zaburzenia krzepnięcia – udało się wprowadzić zmiany w organizacji i funkcjonowaniu ambulatoryjnej hematologicznej opieki specjalistycznej.

„Nowe rozporządzenie w sprawie ambulatoryjnej opieki specjalistycznej pozwoli mniejszym ośrodkom lepiej diagnozować i szybciej rozpoznawać wrodzone zaburzenia krzepnięcia u dzieci. Przez niemal trzy lata walczyliśmy o nowe zapisy i braliśmy czynny udział w przygotowaniu dokumentu podpisanego pod koniec kwietnia przez ministra zdrowia Adama Niedzielskiego. Prace nad nową wyceną usług ambulatoryjnych rozpoczęły się w 2019 r. Eksperti od dawna postulowali zmiany, uważając, że zarówno procedury diagnostyczne, jak i badania czynników krzepnięcia nie są właściwie wycenione. Szpital zmuszony był do nich dopłacać. W efekcie często zdarzały się sytuacje, kiedy pacjent mający kolejne krwawienia nie mógł otrzymać żadnej diagnostyki. Szpitale odsyłały go, nie chcąc narażać się na wysokie koszty takich badań. Teraz to się zmieni. Zwiększenie wydatków na diagnostykę umożliwi szybsze rozpoznanie zaburzenia krzepnięcia zarówno u dzieci, jak i dorosłych. Konsekwencją tego będzie wcześniejsze rozpoczęcie le-

czenia tych pacjentów” – mówi prof. Paweł Łąguna.

Przełom w profilaktyce i leczeniu

Leczenie i profilaktyka chorych poprawiają się od 2008 r. Wprowadzony wówczas program zapobiegania krwawieniom u dzieci z hemofilią i pokrewnymi skazami krwotocznymi włączył do profilaktyki wszystkie dzieci od 0 do 18. roku życia. W efekcie każdy z pacjentów w Polsce mógł otrzymać za darmo czynnik krzepnięcia VIII lub IX w dawce profilaktycznej, zapobiegającej krwawieniom.

„Oczywiście z każdym rokiem leczenie się zmienia. Obecnie wszystkim naszym pacjentom podajemy czynniki rekombinowane, czyli nieotrzymywane z osocza ludzkiego, a otrzymywane drogą genetyczną” – dodaje prof. Paweł Łąguna z Katedry i Kliniki Onkologii, Hematologii Dziecięcej, Transplantologii Klinicznej i Pediatrii DSK UCK WUM.

Leczenie najnowszej generacji

Przełomem w leczeniu chorych na hemofilię było opracowanie Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019–2023. Także w jego tworzeniu udział wziął prof. Paweł Łąguna, powołany przez ministra zdrowia do Rady Programu, a następnie wybrany na jej wiceprzewodniczącego.

Narodowy Program nie tylko zapewnił pacjentom profilaktykę wylewów, ale umożliwił tzw. personalizację, czyli dobieranie dawki czynnika krzepnięcia indywidualnie do potrzeb danego pacjenta. Kolejna zmiana dotyczy najczęściej chorych, u których pojawił się inhibitor czynnika VIII lub czynnika IX w następstwie leczenia pacjenta na hemofilię A lub B. Udało się zastosować u nich leki najnowszej generacji, tzw. przeciwciała monoklonalne (emicizumab, Hemlibra), powodujące w konsekwencji zatrzymanie krwawienia i jego profilaktykę.

„Od 2017 roku Rada Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne, w której biorę udział, podjęła decyzję o włączeniu do tego innowacyjnego leczenia już prawie 40 pacjentów w Polsce, zarówno pediatrycznych, jak i dorosłych. Naszym zamiarem jest stopniowe rozszerzenie listy tych pacjentów” – mówi prof. Paweł Łąguna.

WUM wiodącym ośrodkiem w leczeniu dzieci chorych na hemofilię

Katedra i Klinika Onkologii, Hematologii Dziecięcej, Transplantologii Klinicznej i Pediatrii Dziecięcego Szpitala Klinicznego UCK WUM, kierowana przez prof. dr. hab. n. med. Michała Matysiaka, to jeden z największych w Polsce ośrodków leczących dzieci chorujące na hemofilię. Jest ośrodkiem referencyjnym dla całego kraju w leczeniu zaburzeń krzepnięcia u dzieci, w tym szczególnie chorych na hemofilię. Pod opieką specjalistów warszawskiego ośrodka akademickiego jest 130 małych pacjentów chorych na hemofilię.

„W naszej klinice zajmujemy się najbardziej skomplikowanymi przypadkami zaburzeń krzepnięcia u dzieci. Służymy pomocą także innym placówkom medycznym, szkoląc kadrę lekarską oraz pielęgniarską. Pozostajemy w stałym kontakcie w mniejszymi ośrodkami, chorymi i ich rodzinami. Staramy się, aby standardy postępowania z chorym na hemofilię były na najwyższym poziomie we wszystkich ośrodkach pediatrycznych w kraju” – mówi prof. Paweł Łąguna.

Klinika współpracuje także ze Stowarzyszeniem Chorych na Hemofilię. Jak zauważa prof. Paweł Łąguna, współpraca z organizacjami zrzeszającymi pacjentów ma fundamentalne znaczenie we wprowadzaniu zmian służących poprawie leczenia i wypracowywaniu nowych sposobów postępowania z chorymi. ■

*Materiał powstał w ramach cyklu
Biura Rzecznika Prasowego WUM
„Naukowe czwartki WUM”*