



MAGAZYN POLSKIEJ GRUPY FARMACEUTYCZNEJ PGF

bez recepty

[Aktualności](#)
[Styl życia](#)
[Uroda](#)
[Zdrowie](#)
[Poradnik](#)
[Wizyta w aptece](#)

[Bieżący numer](#)
[Archiwum](#)
[Kontakt](#)

[RSS](#)

Gdy krew płynie jak woda

Agata Domańska

Mówią o niej królewska choroba, ponieważ upodobała sobie błękitną krew: cierpiał na nią Aleksy, syn cara Rosji; dotknęła też syna królowej Wiktorii, a jej dwie córki były nosicielkami. Hemofilia, bo to o niej mowa, nie ma jednak z przywilejami nic wspólnego.

Hemofilia jest rodzajem skazy krwotocznej, uszkodzone są mechanizmy krzepnięcia krwi. W organizmie chorego brak lub za mało jest tzw. czynnika krzepnięcia (w przypadku hemofilii A brakuje czynnika VIII, w przypadku hemofilii B – czynnika IX). To powoduje, że gdy zostanie uszkodzone naczynie krwionośne, krew nie krzepnie lub krzepnie bardzo powoli. Krwawienie z uszkodzonego naczynia przedłuża się, prowadząc do wewnętrznego wylewu do stawów, mięśni lub organów wewnętrznych. Wylew taki jest bardzo bolesny i powoduje nieodwracalne często zniszczenia wśród tkanek ciała, największe spustoszenie siejąc w obrębie narządu ruchu. Krwotoki mogą następować nie tylko do mięśni i stawów. Chorzy cierpią także na krwotoki z przewodu pokarmowego, z języka i tylnej ściany gardła, krwotoki zaotrzewnowe, krwimocz, a nawet wylewy śródczaszkowe.

Na tę genetycznie uwarunkowaną chorobę cierpią tylko chłopcy; kobiety są natomiast nosicielkami uszkodzonego genu i – jeśli urodzą syna – prześlą mu hemofilię w „spadku”. Same nie mają żadnych objawów choroby.

Młodzi inwalidzi

W zależności od tego, czy czynnika krzepnięcia jest za mało, czy też nie ma go wcale, możemy mówić o ciężkiej, średniej lub łagodnej postaci choroby (w przypadku ciężkiej hemofilii czynnik krzepnięcia w ogóle nie występuje we krwi). Ciężka postać choroby jest szczególnie niebezpieczna – chorym zdarzają się bowiem tzw. wylewy samoistne – nagłe krwawienia, do których doszło bez żadnego urazu. Niektóre z nich mogą stanowić nawet zagrożenie dla życia chorego. Ale największym i najpowszechniejszym wśród chorych problemem są jednak uszkodzenia narządu ruchu. Chorego na hemofilię w naszym kraju można poznać po tym, że kuleje, porusza się z trudem, używa kul lub jeździ na wózku. To, niestety, nasza polska codzienność.

• *W przypadku łagodnej postaci choroby krwawienia z reguły są następstwem urazów i zabiegów chirurgicznych – mówi Jerzy Windyga, kierownik Kliniki Zaburzeń Hemostazy i Chorób Wewnętrznych Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie, członek Rady Medycznej Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię. – Ta postać choroby zazwyczaj „omija” narząd ruchu, nie uszkadzając go. Jednak w przypadku hemofilii umiarkowanej po niewielkich urazach dochodzi do krwawienia dostawowego i śródmięśniowego, co prowadzi do łagodnej artropatii. Ciężka postać hemofilii, łącząca się z całkowitym brakiem czynnika krzepnięcia oznacza samoistne wylewy, ciężką artropatię i nierzadko trwałe inwalidztwo. Prawie wszyscy chorzy z ciężką postacią choroby i powyżej 18 roku życia cierpią na artropatię, często zaawansowaną.*

Potwierdzają to badania. W 2005 roku przebadano grupę chorych na hemofilię młodych ludzi – w wieku 20-30 lat. Oceniano fizykalnie i radiologicznie stawy kolanowe, łokciowe i skokowo-goleniowe. Wyniki są pesymistyczne: tylko u jednego chorego nie wykazano żadnych cech artropatii w badaniu fizykalnym. Ponad jedna trzecia badanych stale lub okresowo korzysta z zaopatrzenia ortopedycznego (np. używał kul), co czwarty chory zmuszony był poddać się zabiegowi chirurgicznemu w zakresie ortopedii (np. wszczępieniu endoprotezy stawu). Prawie 40 proc. chorych w chwili badania z powodu kłopotów z poruszaniem się nie pracowało i utrzymywało się z renty.

Problemy z wylewami i poruszaniem się to wciąż niejedynie kłopoty chorych na hemofilię. Ponieważ ich leczenie wymaga stosowania preparatów krwiopochodnych, istnieje duże niebezpieczeństwo zakażenia chorego wirusami, np. wirusem HIV, WZW typ B czy WZW typu C.

W kolejnym badaniu sprawdzano we krwi chorych urodzonych przed 1991 rokiem obecność markerów zakażenia żółtaczką. I znów pesymistyczny wynik: markery zakażenia HCV występowały we krwi 78 proc. badanych, WZW we krwi 70 proc. chorych. To wynik stosowania

preparatów krwiopochodnych, które nie były poddawane inaktywacji wirusów i liofilizacji. Na szczęście nauczyliśmy się wykrywać i unieczynnić wirusa zapalenia wątroby – wśród chorych, urodzonych po 1991 r, zakażonych jest już dużo, dużo mniej. Ale dawne zagrożenia to tylko niektóre z czynników, występujących w ludzkiej krwi, które można przenieść na chorego. Pojawiają się nowe, niebadane przez stacje krwiodawstwa, sprawdzające próbki krwi dawców pod kątem zdrowia, choćby wirus Zachodniego Nilu czy priony. Zakażenia tymi nowymi drobnoustrojami także można by uniknąć, gdyby w leczeniu hemofilii stosowane były preparaty rekombinowane.

Dobre leczenie

I tu dochodzimy do sedna problemu, który nazywa się „dobre leczenie”. Składają się nań dwa zjawiska: leczenie profilaktyczne i terapia odpowiednimi preparatami.

- *W Polsce hemofilię leczy się w systemie „na żądanie” – mówi Jerzy Windyga. – To znaczy, kiedy do krwawienia już dojdzie, choremu podawany jest środek, zawierający czynnik krzepnięcia, którego mu brak, i usprawniający mechanizm krzepnięcia krwi. Czasem jest to leczenie domowe: chory ma lek w domu i sam go sobie aplikuje. Czasem jednak konieczna jest szybka wizyta w szpitalu, ponieważ chory nie ma w domu leku lub jego wystarczającej ilości. Na całym świecie celem leczenia hemofilii jest zapobieganie krwotokom, czyli podawanie leku profilaktycznie, zanim dojdzie do krwawienia i spowodowanych przez nie zniszczeń. U nas wciąż to się nie udaje. A szkoda.*

Leczenie profilaktyczne polega na regularnym podawaniu brakującego czynnika krzepnięcia, 2-3 razy w tygodniu, tak by krew chorego utrzymywała normalne parametry krzepnięcia przez cały czas. Jeśli taką terapię się rozpocznie przed pojawianiem się zmian w stawach i będzie się kontynuować przez cały okres wzrostu (a najlepiej przez całe życie), chory uniknie inwalidztwa. Dlatego najbardziej warto byłoby wprowadzić leczenie profilaktyczne wśród dzieci. Najnowsze badania amerykańskie, porównujące skuteczność leczenia profilaktycznego rekombinowanym czynnikiem VIII z leczeniem „na żądanie” wykazały, że ryzyko uszkodzenia stawów jest aż sześciokrotnie mniejsze u dzieci leczonych profilaktycznie. Dodatkowo leczenie profilaktyczne ułatwiłoby dzieciom i ich rodzinom normalne funkcjonowanie i zwróciłoby beztrioskie dzieciństwo.

- *Hemofilia u dziecka to zmiana i dezorganizacja życia całej rodziny – mówi dr hab. med. Anna Klukowska, adiunkt w Katedrze i Klinice Pediatrii, Hematologii i Onkologii AM w Warszawie, kierownik referencyjnej Poradni Skaz Krwotocznych, prezes Fundacji Hemofilia. – Wymusza częste zmiany planów, spowodowane niespodziewanymi wylewami i koniecznością wizyty w szpitalu o różnych porach dnia i nocy; powoduje niepewność, strach o życie i bezpieczeństwo dziecka; ogranicza możliwość pracy zawodowej matki. Podawanie czynnika krzepnięcia profilaktycznie pozwoliłoby dziecku i jego rodzinie normalnie żyć. Leczenie na żądanie nie wystarcza. W przypadku cukrzycy nikt nie czeka, aż chory zapadnie w śpiączkę cukrzycową, by podać mu insulinę. W przypadku hemofilii podobnie: nie powinniśmy z podaniem leku czekać do krwawienia.*

Podawanie leków na zasadzie profilaktyki to sprawdzony i prosty sposób leczenia. Część wiedzy na temat terapii trzeba przerzucić na rodziców: nauczyć ich przygotowywania preparatu i dożylnego jego wstrzykiwania. Ale z doświadczeń lekarzy wynika, że nawet ośmioletnie dziecko może się nauczyć, jak robić zastrzyki, i może samo sobie podawać lekarstwo. Niestety, choć małych dzieci

z ciężką postacią hemofilii jest w tej chwili w Polsce tylko sześćdziesięcioro, na razie nie możemy sobie pozwolić na wprowadzenie pełnej profilaktyki, ze względu na zbyt małą ilość leków, kupowanych przez państwo. Zakładając bowiem, że dziecko dostawałoby czynnik krzepnięcia trzy razy w tygodniu, w ciągu roku wyniosłoby to 3 900 000 jednostek leku. A lek jest drogi: jedna dawka kosztuje ok. 2 tys. zł. Ale oszczędzanie w tej kwestii wcale nie jest tanie...

- *Większość chorych na hemofilię w Polsce utrzymuje się z rent – mówi Bogdan Gajewski, prezes Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię. – Państwo je wypłaca, przez wiele lat, często przez całe życie chorego. Do tego trzeba dodać koszt szpitalnego leczenia krwawień i ich skutków, spowodowanych nimi powikłań. A także koszt wszystkich zabiegów i operacji ortopedycznych, koniecznych, by umożliwić chorym poruszanie się. I choć kosztuje to dużo więcej, niż dobre leczenie, nasz rząd woli wypłacać renty, niż pokryć koszt odpowiednich leków, w odpowiednich ilościach.*

Dobry lek

Dobry lek sprawia, że z hemofilią da się normalnie żyć, tak jak z inną chorobą przewlekłą, np. z cukrzycą. Co to znaczy „dobry”? To liofilizowany, rekombinowany czynnik krzepnięcia (jeśli nie jest rekombinowany, powinien być poddany procesowi inaktywacji wirusów). Skuteczny, a zarazem bezpieczny. Przywracający krwi jej właściwe parametry i wolny od groźnych drobnoustrojów. Na świecie stosuje się takie preparaty od dawna, w Polsce zaczęto wprowadzać je w połowie lat 90., lecz wciąż stanowią tylko część leków, stosowanych w terapii hemofilii.

- *Dzięki liofilizacji ta ilość czynnika krzepnięcia, którą kiedyś trzeba było choremu przetaczać z wieloma litrami krwi, mieści się w maleńkiej buteleczce – mówi Jerzy Windyga. – Dzięki rekombinacji, czyli sztucznej, opartej na genetycznej technologii „hodowli” czynnika, jest on wolny od wszelkich biologicznych zagrożeń i zanieczyszczeń. Lek można przechowywać w*

temp. 4 stopni i jest gotów do użycia w ciągu kilku minut.

Niestety, pod względem standardu leczenia hemofilii Polska pozostaje daleko w tyle za Europą. A nawet za krajami, które wcale nie są od nas bogatsze, o podobnym przychodzie narodowym na mieszkańca, np. za Węgrami, Czechami, Słowacją – państwa te kupują dwa i pół razy więcej leków na hemofilię niż Polska. Bułgaria, choć od Polski biedniejsza, nie oszczędza, kupuje droższy, ale bezpieczniejszy czynnik rekombinowany.

- *W Polsce sytuacja jest często dramatyczna – mówi Bogdan Gajewski. – Nawet w szpitalach brakuje czynników krzepnięcia, zwłaszcza czynnika IX. Najgorzej przedstawia się sytuacja w Łodzi, województwie zachodniopomorskim i częstochowskim. W Łodzi zupełnie wstrzymano leczenie domowe i z każdym wylewem trzeba jechać do szpitala. A przecież nawet godzinna zwłoka może być fatalna w skutkach, chory wykrwawia się do środka i wije się z bólu.*

Polska planuje przejść na całkowite leczenie rekombinowanym czynnikiem w 2010 r. Na razie państwo obiecało chorym, że w tym roku kupi 100 mln jednostek nowoczesnego lekarstwa. Ale zanim jeszcze do zakupu doszło, fundusze zostały ograniczone. 20 proc. zamówienia będzie musiało poczekać, aż znajdą się dodatkowe pieniądze.

Wszyscy w Irlandii są leczeni lekami rekombinowanymi. Decyzja taka została podjęta ponad 10 lat temu ze względu na bezpieczeństwo chorych. Wszystkie dzieci i młodzież mają pełen dostęp do leczenia profilaktycznego.

Raj dla chorych na hemofilię

Tak śmiało można określić Irlandię. I nie ma w tym ani grama przesady. Tutaj chory na hemofilię co drugi dzień wstaje rano, robi sobie zastrzyk i... żyje normalnie.

- *Dzięki wprowadzeniu nowoczesnych metod leczenia hemofilii w Irlandii został wyeliminowany problem inwalidztwa wśród chorych – uważa Brian O'Mahony, prezes Irlandzkiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię, były prezes WFH (World Federation of Haemophilia), agencji WHO, odpowiadającej za leczenie skaz krwotocznych na świecie. – U nas chorzy czują się pełnoprawnymi członkami społeczeństwa i mogą w pełni realizować swoje cele życiowe i marzenia. A dzieci są przede wszystkim dziećmi, dopiero w drugiej kolejności chorymi na hemofilię.*

W całym kraju jest doskonale zorganizowany system leczenia: prowadzony jest krajowy rejestr chorych na hemofilię; wdrożone zostały specjalnie opracowane Narodowe Programy Leczenia; w Cork, Dublinie i pięciu innych miastach znajdują się specjalistyczne ośrodki leczenia; a dla zarażonych wirusem WZW w całym kraju istnieje sieć ośrodków hepatologicznych, wyspecjalizowanych w leczeniu WZW typu C.

Co roku organizowany jest krajowy przetarg na zakup koncentratów czynnika krzepnięcia. Przewodniczącym komisji przetargowej jest główny hematolog w kraju i dba przede wszystkim o interesy chorych. Wybierane produkty muszą charakteryzować się nie tylko niską ceną, ale przede wszystkim wysoką jakością i bezpieczeństwem. Istnieje też specjalne prawodawstwo, dotyczące hemofilii – rząd zdaje sobie sprawę, że dawniej chorzy byli zakażani wirusami i nie chce do tego znowu dopuścić.

- *Pod względem hemofilii sytuacja w Irlandii jest tak dobra, jak jeszcze nigdy do tej pory – twierdzi Brian O'Mahony. – Dziś patrząc na dzieci, obserwator nie jest w stanie powiedzieć, które z nich jest chore, a które nie. Jest tak dobrze, że musieliśmy nagrać specjalną płytę DVD, na której starsi ludzie, chorujący 20-30 lat temu opowiadają, jak dramatycznie wyglądała ich sytuacja – żeby pokazać to lekarzom, pielęgniarkom i dzieciom. Dziś raz w miesiącu dzwoni ktoś z kliniki do chorego na hemofilię i pyta, ile jednostek czynnika będzie mu potrzebne. A potem lekarstwo przysyłane jest do domu.*

Doktor O'Mahony przyjechał do Polski, by nas uczyć, jak walczyć z hemofilią. I by zaapelować: nowe programy i nowe leki trzeba wprowadzić jak najprędzej. Zwłaszcza w przypadku dzieci. Tu nie można czekać kolejnych 10 lat, bo w tym czasie większość dzieci będzie miała zrujnowane stawy i – być może – stanie w obliczu kalectwa. Nie ma wprawdzie co oczekiwać, że sytuacja w Polsce zmieni się z dnia na dzień, ale rozsądnie jest zakładać, że lekarze w porozumieniu z chorymi powinni przekonać rząd, że dobre leczenie, choć droższe, na dłuższą metę zwyczajnie się opłaca. I że na początek warto zająć się przynajmniej najmłodszymi. Bo dobre leczenie pozwala zapomnieć o chorobie. Zwraca wolność.

Na świecie trwają eksperymenty, mające na celu dalsze unowocześnienie preparatów, zawierających czynnik krzepnięcia. Naukowcy chcą wyprodukować lek o przedłużonym działaniu, taki, który będzie trzeba podawać tylko raz na 7-10 dni. Pracują także nad terapią genową, umożliwiającą rzeczywiste wyleczenie choroby.