

HEMATOLOGIA DLA PACJENTA

Nr 2/Marzec 2024

Bohater numeru –
prof. JACEK JASSEM, lekarz
i pacjent hematoonkologiczny

Polska hematologia 2023/2024
red. Aleksandra Rudnicka

**Onkologia i hematologia dziecięca –
podsumowanie roku 2023
i potrzeby na kolejne lata**
prof. dr hab. n. med. Jan Styczyński

**Problemy i potrzeby leczenia pacjentów
ze szpiczakiem plazmocytowym**
prof. dr hab. n. med. Krzysztof Jamrozik

**Zmiany w programie leczenia
mielofibrozy**
prof. dr hab. n. med. Tomasz Sacha

**Szczepienia dla pacjentów
hematologicznych**
prof. dr hab. n. med. Iwona Hus

**III Konferencja
Pacjentów Hematologicznych**

na XXXI Zjeździe PTHiT



Od Redakcji

Zapraszam do lektury drugiego numeru HEMATOLOGII DLA PACJENTA. Bohaterem tego numeru jest profesor Jacek Jassem, wybitny onkolog i jednocześnie pacjent hematoonkologiczny. Profesor dzieli się swoimi doświadczeniami i refleksjami o życiu z chorobą nowotworową z perspektywy lekarza i pacjenta. Jest to jak spojrzenie Alicji z Krainy Czarów, która oglądała świat z dwóch stron lustra, dostrzegając w nim to, co dla innych było niewidoczne.

Wydanie 2. numeru przypada na przełomie 2023 i 2024 roku. Jest to pora na podsumowanie dokonań minionego roku w hematologii, w którym niewątpliwym sukcesem było poszerzenie dostępu do innowacyjnych terapii. Jest to też czas na wskazanie nowych potrzeb i przypomnienie problemów, z którymi dotąd się nie uporaliśmy. O tym, co było sukcesem polskiej hematologii dziecięcej i jakie są oczekiwania zmian w tym obszarze opieki nad dziećmi pisze prof. Jan Styczyński – konsultant krajowy w dziedzinie onkologii i hematologii dziecięcej.

O skomplikowanym leczeniu pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym, którego cechą charakterystyczną jest nawrotowość choroby i konieczność dostosowania leczenia do indywidualnych potrzeb pacjenta rozmawiam z prof. Krzysztofem Jamroziakiem. Profesor mówi o wyzwaniu, jakim jest wprowadzanie kolejnych 4. i 5. linii leczenia dla pacjentów, którzy przeszli już kilka nawrotów choroby. Jakie korzystne zmiany dla pacjentów z nowotworami mieloproliferacyjnymi wprowadzono w dedykowanym im programie lekowym wyjaśnia prof. Tomasz Sacha.

Jak ważne dla pacjentów hematoonkologicznych są szczepienia przekonuje prof. Iwona Hus opisując zasady ich stosowania i efektywność dla tej grupy chorych. Pani profesor informuje także o nowych szczepionkach na półpaśca i RSV, które pojawiły się ostatnio.

Pielęgniarka Paulina Szykut-Woźniak a zarazem mama chorego na hemofilię Leona radzi rodzicom, na jakie akty prawne i dokumenty powołać się w sytuacji, gdy pielęgniarka POZ odmawia dożylnego podania czynnika krzepnięcia. Anna Apel, prezes Zarządu Fundacji „Na Ratunek Dzieciom z Chorobą Nowotworową” przedstawia działalność międzynarodowego ruchu St. Jude Alliance, którego misją jest zmniejszenie umieralności dzieci na całym świecie z powodu chorób nowotworowych.

Stowarzyszenie na Rzecz Dzieci z Chorobami Nowotworowymi dzieli się swoimi dobrymi praktykami – interesującymi formami wsparcia, jakiego udziela małym pacjentom dokładając starań, aby na oddziale było fajnie i dzieci miały z pobytu w szpitalu nie tylko wspomnienia związane z trudnym leczeniem. „Dobro w genach” to relacja z wieczoru dobroczynności, którego organizatorem była Fundacja „Na Ratunek Dzieciom z Chorobą Nowotworową”. Wieczór był okazją do podziękowań dla darczyńców i propagowania działań Fundacji. Swoją kampanię „Codzienne wyzwania dzieci chorych na hemofilię i ich rodziców” prezentuje Fundacja SANGUIS Hemofilia i Pokrewne Skazy Krwotoczne. Celem kampanii jest zwrócenie uwagi na potrzeby dzieci z hemofilią, które nie mają dostępu do nowoczesnego leczenia.

Aleksandra Rudnicka

2 OD REDAKCJI

SYSTEM OPIEKI HEMATOLOGICZNEJ

4 **POLSKA HEMATOLOGIA 2023/2024**
Sukcesy – wyzwania – potrzeby
red. Aleksandra Rudnicka

8 **ONKOLOGIA I HEMATOLOGIA
DZIECIĘCA**
podsumowanie roku 2023
i potrzeby na kolejne lata
prof. dr hab. n. med. Jan Styczyński

CO NOWEGO W HEMATOLOGII

10 **OPORNOŚĆ, NAWROTOWOŚĆ,
INDYWIDUALIZACJA**
Problemy i potrzeby leczenia pacjentów
ze szpiczakiem plazmocytowym
*Rozmowa z prof. dr. hab. n. med.
Krzysztofem Jamroziakiem*

12 **ZMIANY W LECZNIU CHORYCH
NA NOWOTWORY
MIELOPROLIFERACYJNE**
*Rozmowa z prof. dr. hab. n. med.
Tomasz Sacką*

14 **LISTY REFUNDACYJNE**
Listopad 2023; styczeń, kwiecień 2024

Z DOŚWIADCZEŃ PACJENTÓW

16 **JAK ALICJA W KRAINIE CZARÓW**
Terapia hematoonkologiczna
z perspektywy pacjenta i lekarza
*Rozmowa z prof. dr. hab. n. med.
Jackiem Jassemem*

OPIEKA NAD PEDIATRYCZNYM PACJENTEM HEMATOLOGICZNYM

18 **HEMOFILIA**
Prawne uwarunkowania podawania
czynnika krzepnięcia
pielęgniarka Paulina Szykut-Woźniak

LECZENIE WSPIERAJĄCE

22 **SZCZEPIENIA WSKAZANE DLA
PACJENTÓW HEMATOLOGICZNYCH**
prof. dr hab. n. med. Iwona Hus

NASZE DZIAŁANIA

26 **CODZIENNE WYZWANIA DZIECI
CHORYCH NA HEMOFILIĘ I ICH
RODZICÓW**
Kampania Fundacji SANGUIS Hemofilia
i Wrodzone Skazy Krwotoczne

28 **CHCEMY, ŻEBY BYŁO FAJNIE**
Działania Stowarzyszenia na Rzecz Dzieci
z Chorobami Krwi w Lublinie

29 **DOBRO W GENACH**
Wieczór dobroczynności Fundacji
Na Ratunek Dzieciom z Chorobą
Nowotworową

30 **KONFERENCJA W ST. JUDE MEDICAL
CENTER**
prezes Anna Apel

31 **III KONFERENCJA PACJENTÓW
HEMATOLOGICZNYCH
NA XXXI ZJEŹDZIE PTHIT**

POLSKA HEMATOLOGIA 2023/2024

Sukcesy – wyzwania – potrzeby

Rok 2023 przyniósł dalszą poprawę w procesie refundacji innowacyjnych terapii dla pacjentów hematoonkologicznych, choć ciągle istnieją bariery w ich wdrażaniu. Polska hematologia nadal stoi przed takimi wyzwaniami jak kolejki do hematologa, brak kadr, zbyt mała liczba łóżek hematologicznych. Istnieją potrzeby zmian organizacyjnych i prawnych zgłaszane przez lekarzy i pacjentów, których wprowadzenie poprawiłoby funkcjonowanie systemu opieki hematologicznej.

SUKCESY – DOSTĘP DO INNOWACYJNYCH TERAPII

Hematoonkologia jest obszarem medycyny, w którym farmakoterapia jest najważniejszą metodą leczenia. Drugą metodą leczenia pacjentów onkohematologicznych są transplantacje komórek macierzystych, ale mogą być one wykonywane tylko u określonych grup pacjentów. Chirurgia i radioterapia nie mają w hematologii zastosowania jako procedury lecznicze. Z tego powodu dostęp pacjentów hematoonkologicznych do innowacyjnych, efektywnych terapii jest kluczowy dla procesu ich leczenia.

Innowacyjne terapie 2023 roku

Odpowiedzią na te potrzeby pacjentów były listy refundacyjne Ministra Zdrowia w 2023 roku. Wśród 6 obwieszczeń refundacyjnych, które ukazały się w minionym roku, tylko na marcowej liście nie było leków dla pacjentów onkohematologicznych, ani zmian w hematoonkologicznych programach lekowych.

Łącznie w 2023 r. zrefundowano 28 nowych cząsteczko-wskazań hematoonkologicznych, co oznacza, że pacjenci z nowotworami układu krwiotwórczego i limfatycznego byli największymi beneficjentami refundacji leków innowacyjnych w 2023 r. wyprzedzając nawet największą grupę chorych w Polsce – pacjentów kardiologicznych.

Z 75 leków zrefundowanych ogółem w chorobach nowotworowych, cząsteczko-wskazania hematoonkologiczne to blisko 38%. Trzeba też zwrócić uwagę, że w 2023 r. zrefundowano 43 cząsteczki w chorobach rzadkich z czego aż 28, czyli blisko 65%, stanowią leki hematoonkologiczne. Biorąc pod uwagę fakt,

iż leki stosowane w chorobach rzadkich, to leki sieroce – a więc bardzo drogie – trzeba uznać, że pacjenci hematoonkologiczni należą do grona największych beneficjentów refundacji leków, także pod kątem wartości refundowanych terapii. Dwa ze zrefundowanych w 2023 r. leków dla pacjentów onkohematologicznych to leki o wysokim stopniu innowacyjności (TLI). Pacjenci z opornym/nawrotowym chłoniakiem rozlanym z dużych komórek B (DLBCL), niekwalifikujący się do przeszczepienia autologicznego krwiotwórczych komórek macierzystych otrzymali leczenie *tafasytamabem* (Minjuvi) w skojarzeniu z *lenalidomidem* – technologię przedłużającą życie. Dla dorosłych pacjentów z opornym lub nawrotowym chłoniakiem z komórek płaszczka (MCL), w ramach programu B.12.FM LECZENIE CHORYCH NA CHŁONIAKI B-KOMÓRKOWE wprowadzona została terapia CAR-T (*breksukabtagen autoleucl/Tecartus*).

Zmiany w programach lekowych

W 2023 r. dokonano też ważnych zmian w hematoonkologicznych programach lekowych polegających na ich scalaniu w obszarze określonych jednostek chorobowych oraz wprowadzaniu nowych leków pod kątem kompleksowego i zindywidualizowanego do potrzeb pacjentów leczenia.

Dotyczyło to m.in. szpiczaka plazmocytoowego (stworzenie jednego Programu B-54), chłoniaków B-komórkowych oraz T-komórkowych (nowy Program B.66) i klasycznego chłoniaka Hodgkina (Program B.77), a także przewlekłej białaczki limfocytowej (Program B.79) oraz nowotworów mieloproliferacyjnych (Program B.81).

Ważnym kierunkiem zmian w programach było zapewnienie w pierwszej linii leczenia dostępu do skutecznych i innowacyjnych terapii. Tu przykładem jest m.in. przeniesienie terapii *brentuksymabu vedotin* (Adcetris) do I linii leczenia chorych na chłoniaka anaplastycznego z dużych komórek (sALCL), co stwarza możliwość wydłużenia czasu do progresji choroby.

Dla pacjentów z chorobami przewlekłymi, nawrotowymi takimi jak szpiczak plazmocytoowy, istotne było zachowanie ciągłości leczenia. Dzięki wprowadzeniu *izatuksymabu* (schemat IsaPd) od III linii umożliwiono leczenie tych pacjentów w kolejnych liniach. Dotyczyło to zwłaszcza chorych opornych i nawrotowych

z niewydolnością nerek, którzy byli długi czas leczeni i wykryli już dostępne w programie terapie.

Ważne zmiany nastąpiły w Programie B.65 LECZENIE CHORYCH NA OSTRĄ BIAŁACZKĘ LIMFOBLASTYCZNĄ (ICD-10: C91.0). Umożliwiają one zastosowanie *blinatumomabu* u dzieci i dorosłych ze wznową, u których nie jest planowane wykonanie przeszczepienia allogenicznego krwiotwórczych komórek macierzystych (alloHSCT) oraz rozszerzenie wskazania do leczenia *tisagenlecleucel* (terapia CAR-T), także nawrotu pozaszczepionego ostrej białaczki limfoblastycznej.

Zmiany w programach dostosowano do aktualnej wiedzy medycznej, zmieniając m.in. kryteria kwalifikacji do programów, poszerzając dotychczasowe wskazania dla wcześniej refundowanych leków. Co ważne, programy uzupełniono o dodanie zapisów i wskaźników dotyczących oceny skuteczności leczenia, co będzie miało wpływ na określenie rzeczywistej wartości farmakoekonomicznej wprowadzanych terapii.

Przykładem tego jest Program B. 81. który zmienił nazwę na krótszą LECZENIE CHORYCH NA NOWOTWORY MIELOPROLIFERACYJNE PH (-) (ICD-10: D45, D47.1) (*o zmianach w tym programie rozmawiam z prof. Tomaszem Sachą, s. 12-13 tego numeru*).

Dla chorych na ostrą białaczkę szpikową, z całkowitą lub częściową remisją po chemioterapii indukującej albo indukującej i konsolidującej, u których nie można było przeprowadzić transplantacji komórek macierzystych, ważne było umożliwienie leczenia podtrzymującego *azacytydyną* doustną (Onureg); lekiem o udowodnionej wyższej efektywności i bardziej komfortowym dla pacjentów sposobem podania niż wlewy.

Dla pacjentów po transplantacjach komórek macierzystych szpiku ogromne znaczenie ma refundacja leku poprawiającego ocenę skuteczności tej procedury, która często wiąże się z wystąpieniem trudnej w leczeniu choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi (GVHD). Stworzenie nowego Programu B.149, umożliwiającego leczenie pacjentów z ostrą lub przewlekłą GVHD po przeszczepieniu allogenicznego krwiotwórczych komórek macierzystych i z niewystarczającą odpowiedzią na leczenie kortykosteroidami przy pomocy *rukсолитыбу* (Jakavi), powinno poprawić skuteczność leczenia choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi.

Bariery we wprowadzaniu innowacyjnych terapii

Dzięki zmianom, które dokonały się w poprzednich latach

i w 2023 r. możemy uznać, że polskie programy lekowe dorównują europejskim standardom leczenia chorób nowotworowych układu krwiotwórczego i limfatycznego. Nadal jednak istnieją problemy z ich wdrożeniem do codziennej praktyki klinicznej, co przekłada się na zbyt długi i nierówny we wszystkich województwach czas wprowadzania leków do placówek. Bariery w pokonaniu tych trudności jest brak lekarzy specjalistów hematologów mogących poprowadzić leczenie innowacyjnymi terapiami, ale także zbyt niskie finansowanie badań molekularnych i genetycznych – zwłaszcza wykonywanych w technologii nowej generacji (NGS) – które są podstawą kwalifikacji pacjentów do innowacyjnych terapii. Od lat ośrodki leczące pacjentów z chorobami krwi zmagają się z brakiem łóżek hematologicznych. Nie najlepiej funkcjonuje też współpraca między placówkami w zakresie przekazywania pacjentów do referencyjnych placówek prowadzących innowacyjne leczenie.

Potrzebne są też rozwiązania prawne, np. w przypadku coraz częściej stosowanych terapii kilkulekowych, gdzie konieczne jest porozumienie wszystkich producentów leków stosowanych w danym schemacie leczenia, co często wydłuża wprowadzenie terapii.

Wiele jest do zrobienia w zakresie leczenia wspomagającego, które ma wpływ nie tylko na jakość życia pacjenta, ale też na efektywne wykorzystanie i skuteczne działanie innowacyjnych terapii.

Prowadzenie równoczesnego do leczenia systemowego leczenia wspierającego z zakresu: psychoonkologii, dietetyki, rehabilitacji, leczenia paliatywnego i leczenia bólu powinno być częścią kompleksowej wielodyscyplinarnej opieki nad pacjentem hematologicznym.

W celu podniesienia efektywności farmakologicznych terapii hematologicznych, a także procedury transplantacji szpiku czy krwiolecznictwa, potrzebne jest też udostępnienie pacjentom doustnych terapii chelatujących, terapii immunoglobulinami i szczepień.

Terapie, na które czekamy

Wśród terapii, na które czekają pacjenci ze szpiczakiem plazmocytowym są *teclistamat* i *erlantamab*, przeciwciała bispecyficzne zarejestrowane od 4. linii leczenia dla tej grupy chorych, w której po kilku liniach leczenia brakuje skutecznych terapii o odmiennych mechanizmach działania niż stosowane we wcześniejszych liniach. Jako poszerzenie opcji leczenia chorych na szpiczaka plazmocytozowego potrzebne jest wprowadzenie schematów: *daratumumab*, *karfilzomib*, *deksametazon*

oraz *izatuksymab*, *karfilzomib*, *deksametazon* (leczenie od 2. do 4. linii).

Istnieje też duża potrzeba zapewnienia korzystnej opcji leczenia dla chorych na chłoniaka grudkowego w Polsce, co byłoby możliwe dzięki refundacji *mosunetuzumabu*, przeciwciała bispecyficznego o wysokiej skuteczności, a także *tisagenleucelu* po co najmniej 2 liniach wcześniejszej terapii.

W leczeniu 2. linii chorych na chłoniaka DLBCL z opornością lub nawrotem w ciągu 12 miesięcy od leczenia 1. linii jako leczenie o wyższej skuteczności w porównaniu do wysokodawkowanej chemioterapii i autologicznej transplantacji komórek krwiotwórczych zalecane jest przeprowadzenie terapii CAR-T (*akcykaptagen ciloleuce*). Pacjenci z chłoniakiem DLBCL oczekują też refundacji *epkoritamabu* – przeciwciała bispecyficznego oraz *ionkastuksymabu* – koniugatu przeciwciała monoklonalnego i leku cytostatycznego, jako nowych form immunoterapii po co najmniej 2. liniach wcześniejszej terapii.

W ostrej białaczce limfoblastycznej potrzebne jest poszerzenie wskazań *breksukaptagenu autoleuce* w leczeniu chorych na nawrotową lub oporną na leczenie ALL, wywodzącą się z prekursorów limfocytów B u pacjentów ≥ 26 lat; obecnie ta terapia CAR-T jest refundowana tylko dla chorych na ALL do 25 r. ż.

Dla dorosłych pacjentów z ostrą białaczką szpikową z mutacją IDH1, którzy nie kwalifikują się do standardowej chemioterapii indukcyjnej jako uzupełnienie opcji terapii 1. linii zalecane jest wprowadzenie *iwosydenibu* w skojarzeniu z *azacytydyną*.

Pacjenci z przewlekłą białaczką limfocytową oczekują rozszerzenia refundacji *akalabrutynibu* na całą populację chorych na oporną/nawrotową postać PBL (analogicznie do *ibrutynibu* i *zanubrutynibu*), jako schematu o mniejszym ryzyku kardiologicznych działań niepożądanych w porównaniu do *ibrutynibu*.

WYZWANIA

W najbliższych latach polska hematologia stoi przed wyzwaniem wprowadzenia zmian systemowych. Ich początkiem jest przygotowany w 2023 r. projekt pilotażu Krajowej Sieci Hematologicznej, który przedstawiliśmy w 1. numerze naszego czasopisma. Zadaniem pilotażu jest odpowiedzieć na pytanie czy potencjał ośrodków hematologicznych jest niewłaściwie wykorzystywany, czy jest po prostu zbyt mały w zestawieniu do aktualnych i prognozowanych na najbliższe lata potrzeb zwłaszcza w zakresie leczenia nowotworów układu krwiotwórczego i limfatycznego.

Zniesienie kolejek do hematologa

Najpilniejszym a zarazem najtrudniejszym wyzwaniem dla polskiej hematologii jest zniesienie kolejek do specjalisty hematologa.

Według danych z portalu *swiatprzychodni.pl* z 1.01.2024 r. w Polsce działało 114 placówek udzielających na NFZ świadczenia hematologa. Najwięcej placówek było w województwie śląskim – 20, a najmniej w województwie opolskim – 1. Średni czas oczekiwania do hematologa wynosił 333 dni.

Najdłużej czeka się na wizytę u hematologa w województwie opolskim – 650 dni, a najkrótszy czas oczekiwania na taką wizytę jest w województwie lubelskim – 131 dni. Tylko 1 dzień oczekuje się na wizytę w poradni SPSK im. Andrzeja Mielęckiego Śląskiego Uniwersytetu Medycznego w Katowicach. Placówka, w której czas oczekiwania do hematologa jest najdłuższy to Uniwersyteckie Centrum Kliniczne w Gdańsku – 1816 dni.

Zwiększenie liczby specjalistów hematologów

Aby sprostać wyzwaniu skrócenia kolejek do hematologów i zapewnić specjalistyczną opiekę już na podstawowym poziomie referencyjności konieczne jest zwiększenie liczby specjalistów hematologów. Według danych Naczelnej Izby Lekarskiej w Warszawie z 30 września 2023 r. w Polsce mamy 610 specjalistów hematologów, w tym 592 lekarzy wykonujących ten zawód.

Optymalny wskaźnik specjalisty hematologa na 100 tys. mieszkańców powinien wynosić powyżej 2-2.5. Według Map potrzeb zdrowotnych w Polsce w 2019 r. pracowało 502 hematologów. Wskaźnik liczby hematologów na 100 tys. mieszkańców wynosił 1.3. W 2022 r. liczba hematologów zwiększyła się do 555, a wskaźnik liczby hematologów na 100 tys. mieszkańców wzrósł i wynosił 1.5.

Oznacza to bardzo powolny wzrost liczby tych specjalistów i możliwości osiągnięcia optymalnego wskaźnika za pięć lat. W 2022 r. liczba zatrudnionych hematologów była najwyższa w województwie mazowieckim – 195, a najniższa w województwie opolskim – 12. W 2022 r. wskaźnik liczby hematologów na 100 tys. mieszkańców był najwyższy w województwie mazowieckim – 3.5, a najniższy w województwie warmińsko-mazurskim – 1. We wszystkich województwach średnia miejsc pracy hematologa przekracza jedno miejsce (najmniejsza jest

w kujawsko-pomorskim 1.32 miejsc pracy; najwyższa w podlaskim – 2.29).

Aby zwiększyć liczbę specjalistów konieczne jest nie tylko kształcenie większej liczby hematologów, ale też zmiana modułu ich kształcenia. Zdaniem ekspertów wskazane jest przejście w kształceniu hematologów do modelu specjalizacji jednomodułowej, ograniczenie modułu internistycznego i skrócenie czasu specjalizacji, który wynosi aż sześć lat.

Sytuację tę może też zmienić podniesienie podstawowych wynagrodzeń specjalistów hematologów do poziomu średniej krajowej innych lekarzy specjalistów. W 2023 r. chęć specjalizacji na kierunku hematologia wyraziło jedynie 31 osób, mimo że przyszli rezydenci mieli do dyspozycji 87 miejsc, a hematologia została zakwalifikowana do resortowej listy specjalizacji priorytetowych. Najwyższe podstawowe wynagrodzenie hematologa wynosi 6300 zł brutto. Obecnie podstawowe wynagrodzenie lekarza specjalisty to 9201,92 zł brutto.

<https://www.aplikuj.pl/porady-dla-pracownikow/2894/hematolog-praca-zarobki-doswiadczenie-zatrudnienie-przyszlosc>

<https://pulsmedycyny.pl/kalkulator-wynagrodzen-medycow-1202953>

Zwiększenie liczby łóżek hematologicznych

W celu poprawienia dostępności pacjentów z chorobami hematologicznymi do leczenia potrzebne jest zwiększenie liczby łóżek hematologicznych.

Według danych z Map potrzeb zdrowotnych w 2017 r. w Polsce było – 1411 łóżek hematologicznych, 4 łóżka na 100 tys. mieszkańców. W 2022 liczba łóżek wzrosła do 1505, ale liczba łóżek na 100 tys. mieszkańców pozostał na tym samym poziomie 4.

Średnie obłożenie łóżek hematologicznych w Polsce w 2017 roku wynosiło 72.60, a w 2022 r. wskaźnik ten wzrósł do 78.59. W 2022 r. obłożenie łóżek hematologicznych było największe w województwie zachodniopomorskim – 96.54, a najmniejsze w województwie wielkopolskim – 65.31. Obłożenie łóżek ponad 100 w 2022 r. było w gminach: Wałbrzych, Katowice,

Bielsko-Biała. Liczba łóżek hematologicznych w 2022 r. była największa w województwie mazowieckim – 293, a najmniejsza w województwie podlaskim – 35.

POTRZEBA ZMIAN ORGANIZACYJNYCH

Do lepszej opieki nad pacjentami hematologicznymi przyczyniłaby się z pewnością poprawa współpracy lekarzy POZ z specjalistami hematologami poprzez zwiększenie ich kompetencji w zakresie diagnozowania oraz leczenia pacjentów hematologicznych. Potrzebny jest do tego specjalny program opieki POZ nad pacjentami hematologicznymi – zwłaszcza z chorobami przewlekłymi – a także szkolenia dla lekarzy rodzinnych w zakresie diagnostyki chorób nowotworowych krwi, wystawiana kart DiLO i skierowań na *cito*.

Zwiększenie liczby łóżek hematologicznych i odciążenie lekarzy hematologów jest też możliwe dzięki przekazaniu pacjentów hematologicznych wymagających opieki paliatywnej do szpitalnych oddziałów opieki paliatywnej, poprzez umożliwienie rozliczania procedury przetaczania preparatów krwiotwórczych w ramach świadczeń tych oddziałów.

POTRZEBY PACJENTÓW

Potrzeby, które zgłaszają pacjenci, to zwiększenie wsparcia psychologa dla chorych na oddziałach szpitalnych. W projekcie Krajowej Sieci Hematologicznej w ośrodkach specjalistycznych i podstawowych porada psychologa została uwzględniona tylko w poradniach i to w niewielkim zakresie. Zdaniem pacjentów konieczne jest też wprowadzenie procedury leczenia bólu na każdym poziomie referencyjności KSH, a nie wyłącznie w ośrodkach wysokospecjalistycznych. Potrzebne jest lepsze przygotowanie (większa liczba godzin szkoleń) koordynatora organizacyjnego KSH do pełnienia tej funkcji w zakresie wiedzy medycznej i komunikacji z pacjentem.

W obszarze praw pacjenta chory powinien mieć zapewnione – czy za pośrednictwem systemu teleinformatycznego, czy też osobiście – prawo do udziału w konsylium i akceptacji planu leczenia. W ramach pilotażu KSH krajowy ośrodek koordynujący przy współpracy z przedstawicielami organizacji pacjentów powinien opracować ankiety doświadczeń pacjentów z nowotworami objętymi pilotażem KSH w celu przygotowania optymalnej ścieżki pacjenta z daną jednostką chorobową. W ramach nowelizacji ustawy refundacyjnej pacjenci zostali pozbawieni dotychczasowego prawa do posiadania swoich przedstawicieli w zespołach koordynacyjnych dla programów lekowych. Reprezentanci pacjentów powinni się również znaleźć w Radzie Przejrzystości AOTMiT. Pacjenci powinni być stroną prawną w RDTL, ponieważ zdarzają się przypadki odmawiania wystawiania zleceń na ordynowanie leków w tej procedurze i nie mogą oni podjąć żadnych kroków prawnych, aby otrzymać lek. Od lat pacjenci hematologiczni bezskutecznie zabiegają też o zmiany zapisów w ustawie o lecznictwie uzdrowiskowym, dotyczących możliwości korzystania przez nich z leczenia uzdrowiskowego.

ONKOLOGIA I HEMATOLOGIA DZIECIĘCĄ

Podsumowanie roku 2023 i potrzeby na najbliższe lata

Prof. dr hab. nauk medycznych Jan Styczyński, kierownik Katedry i Kliniki Pediatrii, Hematologii i Onkologii Wydziału Lekarskiego Collegium Medicum w Bydgoszczy, konsultant krajowy w dziedzinie onkologii i hematologii dziecięcej podsumowuje rok 2023 i przedstawia potrzeby dzieci chorych na nowotwory oraz leczących je placówek na kolejne lata.



Foto: <https://pl.wikipedia.org/>

SUKCESY 2023 ROKU

Podsumowując miniony rok jednym zdaniem, można powiedzieć, że każdy kolejny rok jest coraz trudniejszy, ponieważ dochodzi coraz więcej obowiązków i pojawia się coraz więcej problemów. Natomiast chciałbym rozpocząć od bardzo dobrej wiadomości ogłoszonej mniej więcej rok temu przez Komisję Zdrowia Unii Europejskiej, która wyliczyła średnią wyleczalność na nowotwory w poszczególnych krajach i średnią europejską. Okazało się, że w Polsce dzieci z białaczkami mają lepszą wyleczalność niż średnia europejska. Jest to jedyny tak dobrze leczony nowotwór w Polsce zarówno wśród dzieci jak i dorosłych. To znaczy, że wykonujemy bardzo dobrą pracę, jako onkolodzy dziecięcy współpracując na poziomie międzynarodowym i stosując międzynarodowe programy terapeutyczne. Działając wspólnie w sposób skoordynowany, kompleksowo zapewniamy naszym pacjentom bardzo dobre szanse na wyleczenie.

TRUDNOŚCI UBIEGŁEGO ROKU

To tyle dobrego. Potem już same trudności. Trudności wynikają z m.in. tego, że

dwa lata temu skończyły się niektóre programy finansowane przez Ministerstwo Zdrowia i nie mamy nic w zamian. Nie mamy obecnie centralnie realizowanych programów jakości, będących jednocześnie podstawą tworzenia wskaźników, które potem są punktami wyjścia do wprowadzania nowoczesnych terapii, w której nie jest on dostępny. Jest to ciągle niezaspokojona potrzeba pacjentów.

Poważną trudnością, jaka nas spotkała w zeszłym roku, było zawieszenie działalności przez jeden z naszych ośrodków, co prawda niewielki, ale jednak istotny na mapie onkologii dziecięcej. Chodzi o ośrodek w Chorzowie. Oznacza to, że na Górnym Śląsku będziemy musieli przeorganizować zasady działania. Już trochę nam w tym pomogło Ministerstwo Zdrowia, ponieważ podpisano umowę na budowę nowego dużego ośrodka w Zabrze, który w przyszłości będzie jedynym dla całego Górnego Śląska. W ten sposób będzie można rozwiązać te lokalne problemy. Chciałbym dodać, że w Holandii jest tylko jeden ośrodek onkologii dziecięcej zaspokajający potrzeby całego kraju.

Natomiast jeżeli chodzi o trudności, które pojawiły się w ubiegłym roku, to można je podzielić na cztery grupy: problemy legislacyjne i organizacyjne, problemy w zakresie diagnostyki onkologicznej, problemy w zakresie terapii oraz problemy w zakresie samej organizacji codziennej pracy. Rozwiązywanie tego zespołu problemów staje się priorytetowym zadaniem na najbliższe lata.

POTRZEBY NA NAJBLIŻSZE LATA

Mówi się, że będą duże pieniądze na onkologię dziecięcą, ale te pieniądze są również przeznaczone dla pacjentów z chorobami rzadkimi oraz na psychiatrię dziecięcą. Nie wiadomo, czy będzie to pomoc jednoroczna czy stała. Inwestycji nie da się zrealizować w jeden rok. Większość zadań wymaga stałego wieloletniego działania i finansowania.

Zmiany legislacyjne

Jeżeli chodzi o sprawy legislacyjne, to trwają prace nad powołaniem Krajowej Sieci Onkologicznej. W tej sieci nie ma jednak onkologii dziecięcej. Od wielu miesięcy postuluję, aby utworzyć Krajową Sieć Onkologii i Hematologii Dzie-

cięcej. Taka sieć nieformalnie już istnieje, ponieważ wszystkie osiemnaście ośrodków onkologii i hematologii dziecięcej współpracuje ze sobą. Wymaga ona jednak sformalizowania i zorganizowania w taki sposób, żebyśmy występowali jako jedna całość. W tym celu przystąpiliśmy do tworzenia rejestru hematologii i onkologii dziecięcej, który ma być bazą informacji oraz punktem wyjścia do różnego rodzaju wskaźników i programu jakości. A na tym zależy Ministerstwu Zdrowia i Narodowemu Funduszowi Zdrowia i o to chodzi w obecnym świecie: aby efektywnie działać potrzebne są wskaźniki i mierniki jakości.

Program jakości

Program jakości jest najbardziej istotną sprawą, jeżeli chodzi o diagnostykę onkologiczną. Nowoczesna diagnostyka w onkologii dziecięcej wymaga tego, aby każde rozpoznanie było zweryfikowane w ośrodku referencyjnym, ponieważ mamy do czynienia z chorobami rzadkimi i jeden ośrodek nie jest w stanie sam jednoznacznie wszystkiego potwierdzić. Potrzebny jest więc system centralnej weryfikacji.

System badań molekularnych u dzieci

Potrzebny jest też system badań molekularnych. Przy różnorodności i rzadkości wielu nowotworów dziecięcych potrzebne jest potwierdzenie rozpoznania na poziomie molekularnym, czyli na poziomie DNA w komórce. W wielu krajach to się już robi. My jesteśmy też na to gotowi, ale potrzebne jest finansowanie. Na weryfikację też jesteśmy gotowi: na weryfikację histopatologiczną i na weryfikację choroby resztkowej w większości chorób. Obecnie szereg tych badań dla dzieci jest

wykonywanych w ramach badań naukowych. Wiele ośrodków jest na tyle do brych, że występuje o finansowanie na to, aby wykonać dobre badania, aby pacjenci mieli właściwe rozpoznania, monitorowanie choroby resztkowej i optymalne leczenie. W tym obszarze potrzeb pomagają nam bardzo Agencja Badań Medycznych, dzięki której jest realizowanych kilkanaście projektów w zakresie hematologii i onkologii dziecięcej.

Potrzeby terapeutyczne

Jeżeli chodzi o potrzeby w zakresie terapii, to na pierwszy miejscu jest najbardziej prozaiczna sprawa, czyli wprowadzenie pełnej refundacji leków u dzieci. Wyjaśnię to na przykładzie: jeżeli używamy połowę fiołki leku, ponieważ dziecko jest małe, a dawka leku jest przygotowana dla dorosłych pacjentów, to szpital ponosi koszt całej fiołki, a NFZ refunduje tylko połowę. Oznacza to, że to leczenie jest dwa razy droższe. Musimy sobie uświadomić, że leczenie dzieci wcale nie jest tańsze niż leczenie dorosłych. Wręcz przeciwnie, leczenie dzieci jest droższe, ponieważ dzieci wymagają szczególnej opieki. Dzieci często potrzebują znieczuleń ogólnych, dodatkowych sprzętów, dodatkowego działania, większej liczby personelu.

Potrzebne zmiany w programach lekowych

Oceniając sytuację w zakresie programów lekowych i wprowadzania nowych leków, można powiedzieć, że one są one refundowane w Polsce, ale z dużym opóźnieniem w stosunku do tego, co jest w Europie Zachodniej. Najlepszym przykładem jest nowoczesny lek *emicizumab* dla pacjentów z hemofilią. 23 kraje w Europie już go refundują, a my ciągle

czekamy. Tracą na tym pacjenci. Potrzebne jest też wsparcie administracyjne w realizacji różnych międzynarodowych programów terapeutycznych. W tej chwili prawie wszystkie programy terapeutyczne realizowane są jako niekomercyjne akademickie badania kliniczne. W obecnych czasach jest to jedyna droga do tego, aby takie programy wprowadzać i dokonać postępu terapeutycznego – co jest kluczowym interesem pacjentów.

Oczekiwane zmiany organizacyjne

W sprawach organizacyjnych konieczne są inwestycje. Kilka ośrodków wymaga zdecydowanego zmodernizowania. Potrzebne jest rozwiązanie możliwości wykonywania protonoterapii w znieczuleniu ogólnym dla dzieci, co oznacza konieczność utworzenia nowego ośrodka protonoterapii w Polsce. Potrzebne jest rozbudowanie możliwości wykonywania scyntygrafii MIBG.

POMOC ORGANIZACJI POZARZĄDOWYCH

Chcę też wspomnieć, że w pokonaniu tych wszystkich trudności i w rozwoju polskiej onkologii i hematologii dziecięcej bardzo nam pomagają organizacje pozarządowe. Np. Fundacja „Na Ratunek Dzieciom z Chorobą Nowotworową” pomagała zorganizować granty dla doktorantów, a więc system motywacyjny dla młodych lekarzy, aby kształcili się w trudnej specjalizacji, jaką jest onkologia czy hematologia dziecięca. Fundacja ta pomaga nam też w pracach nad stworzeniem Rejestru Chorób Nowotworowych u dzieci. Jest już projekt rozporządzenia dotyczący wprowadzenia tego rejestru, czekamy na jego akceptację przez Ministerstwo Zdrowia.



www.oli-onko.pl

www.youtube.com/@oli-onko4162

www.facebook.com/onkologia.hematoonkologia/

ALEKSANDRY RUDNICKIEJ ROZMOWY
I REFLEKSJE NIE TYLKO O ONKOLOGII

OPORNOŚĆ – NAWROTOWOŚĆ – INDYWIDUALIZACJA

Największe problemy i potrzeby leczenia pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym

Krzysztof Jamroziak, prof. dr hab. n. med., specjalista hematolog w Klinice Hematologii, Transplantologii i Chorób Wewnętrznych Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego, p.o. Zastępcy Kierownika Kliniki ds. Oddziału Ogólnohematologicznego. Autor około 200 prac oryginalnych i poglądowych w czasopismach polskich oraz zagranicznych. Prof. Jamroziak wyjaśnia dlaczego terapia szpiczaka mnogiego jest tak skomplikowana i dlaczego wymaga zindywidualizowanego planu leczenia.



■ Panie profesorze dlaczego terapia pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym jest taka trudna? Z jakimi problemami muszą się zmierzyć zarówno pacjenci, jak i ich lekarze?

Można powiedzieć, że terapia szpiczaka plazmocytowego nie jest trudna, tylko staje się trudna z biegiem czasu, ponieważ choroba wielokrotnie nawraca. Każdego pacjenta leczymy kilka a nawet kilkanaście razy w ciągu życia różnymi schematami terapii. W Polsce w I linii mamy dostęp do bardzo dobrych schematów zgodnych z międzynarodowymi wytycznymi. Dla pacjentów młodszych jest to schemat DVTd z konsolidacją i auto-przeszczepieniem, a u chorych starszych schemat DRd. Niestety tymi schematami nie wyleczymy pacjenta ze szpiczakiem plazmocytowym. Kiedy choroba wraca musimy dobrać inne leki, na które choroba będzie wrażliwa. I to się staje z czasem coraz trudniejsze, ponieważ nawroty następują w coraz krótszym czasie i pojawia się oporność na poprzednie linie leczenia.

■ Jakie jest postępowanie, kiedy u pacjenta wystąpi oporność na dany lek, czy są to częste przypadki? Czy mamy inne leki, którymi możemy zastąpić ten lek, na którego działanie choroba jest oporna?

Warto przypomnieć definicję oporności, ponieważ ona jest różna w różnych schorzeniach. W przypadku szpiczaka to jest albo brak odpowiedzi w trakcie leczenia, albo nawrót w ciągu

2 miesięcy od jego zakończenia. Jest to problem powszechny, ponieważ z czasem oporność na określone leki pojawia się u każdego pacjenta. Zalecenia międzynarodowe i polskie mówią o konieczności zmiany leków najlepiej na inną klasę leków, a jeszcze lepiej, gdy to są dwie nowe klasy leków. Z czasem, w trzeciej i dalszych liniach terapii u większości pacjentów pojawia się oporność na podstawowe klasy leków, co staje się dużym problemem.

■ Taka sytuacja, kiedy choroba powraca jest trudna dla pacjentów nie tylko klinicznie, ale i psychicznie, jaki więc trzeba przyjąć plan leczenia, żeby czas remisji był jak najdłuższy?

Staramy się podać leki, na które pacjent nie jest oporny, czyli takie, które albo nie były u chorego stosowane, albo pacjent je przyjmował i one dobrze zadziałały, a nawrót wystąpił w dużej odległości czasowej od ich stosowania. Oczywiście musimy jeszcze uwzględnić inne okoliczności związane z ewentualnymi powikłaniami stosowania leków w poprzednich liniach. Np. jeżeli ktoś ma ciężką polineuropatię, to mimo wrażliwości nie zastosujemy ponownie *bortezomibu*. Jeśli ktoś ma głęboką leukopenię, czyli zmniejszoną liczbę białych krwinek, to inne terapie takie jak na przykład *lenalidomid* czy klasyczne leki chemiczne też odpadają. Staramy się jednak zawsze podać lek innej klasy albo czasami z tej samej klasy, ale silniejszy od wcześniej stosowanego.

W zeszłym roku Stowarzyszenie Onkologiczne SANITAS rozpoczęło kampanię na temat terapii skojarzonych będących kombinacją kilku leków. Na czym polega wartość i efektywność tych terapii?

Zastosowanie terapii skojarzonej jest tym bardziej istotne, im bardziej mamy do czynienia z chorobą większego ryzyka. Dotyczy to pacjentów, u których występują określone zaburzenia genetyczne, np. delecja 17p. Niestety z czasem, w kolejnych nawrotach, niekorzystne zmiany genetyczne pojawiają się u większości pacjentów. W leczeniu terapiami skojarzonymi chodzi o to, aby komórkę nowotworową zaatakować „z różnych stron”, łącząc leki, które mają odmienne mechanizmy działania. Nie jest to takie matematyczne dodawanie, gdzie $1+1=2$, ale wywołanie synergii, czyli 2 leki skojarzone ze sobą, mają silniejsze działanie, niż suma działań każdego z nich. Nie wiemy dokładnie, na którą z tych dróg leczenia pacjent jest wrażliwy. Podając więcej leków w skojarzeniu, mamy większą szansę, że któryś z nich zadziała.

Jedna z takich terapii skojarzonych z zastosowaniem przeciwciała monoklonalnego, jakim jest *izatuksymab* jest już dostępna, dla jakiej grupy pacjentów ze szpiczakiem, w jakim wskazaniu?

Izatuksymab jest to przeciwciało monoklonalne przeciwko antygenowi CD38, białku, które występuje powszechnie na nowotworowych komórkach szpiczaka mnogiego. W Polsce stosujemy skojarzenie tego leku z dwoma innymi lekami: z *pomalidomidem* i steroidem *deksametazonem*. W tej chwili ta terapia jest refundowana u pacjentów po co najmniej dwóch liniach terapii i to jest zgodne z jej rejestracją na świecie. Niestety, w Polsce mamy dodatkowe ograniczenie – to muszą być pacjenci z nieprawidłową funkcją nerek, czyli z klirensiem kreatyniny poniżej 60 ml/min/m². Na szpiczaka chorują często osoby starsze, które mają problemy z funkcjonowaniem nerek. Dla tych osób terapia skojarzona z *izatuksymabem* będzie możliwa do zastosowania i korzystna. Jednak ta terapia jest aktywna również u pacjentów, którzy mają zdrowe nerki. Oczekujemy więc rozszerzenia wskazania tej trójkowej terapii dla wszystkich pacjentów z tej populacji chorych.

W Polsce mamy już grupę pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym, którzy przeszli kilka linii leczenia i wyczerpali dotychczas dostępne schematy leczenia. Co można im zaproponować w kolejnych – 4. i 5. linii leczenia – zgodnie z rekomendacjami europejskich i światowych towarzystw naukowych, czy dla nich jest też rozwiązaniem terapia z *izatuksymabem*?

Na szczęście w przypadku tej refundacji nie ma ograniczenia linii terapii „od góry”, czyli możemy zastosować ją w każdej

linii od 3. wzwyż. Natomiast dochodzą tutaj te czynniki, o których mówiłem, czyli nie powtarzamy terapii, na którą pacjent jest oporny. Jedną z takich blokad jest *pomalidomid*, który u tych pacjentów, którzy nawracają w kolejnych liniach leczenia był już stosowany. Drugi czynnik, nie tak kategoriyczny, to wcześniejsze zastosowanie *daratumumabu* czyli leku, który też jest przeciwciałem przeciwko antygenowi CD38. To są leki, które są trochę inne, ale atakują ten sam cel i mechanizm działania jest w zasadzie podobny. Wiemy, że u pacjentów, którzy byli odporni na *daratumumab* w większości sytuacji terapia skojarzona z *izatuksymabem* będzie mniej skuteczna – albo nie da odpowiedzi, lub będą one przejściowe. Program lekowy szpiczaka plazmocytowego daje możliwość indywidualizacji leczenia, jednak konieczne są refundacje nowoczesnych immunoterapii, to jest przeciwciał bispecyficznych i terapii CART w 4. i 5. oraz dalszych liniach leczenia, a więc u pacjentów po wielu nawrotach choroby.

Pan Profesor powiedział, że terapie skojarzone polegają na synergii kilku substancji, ale pacjenci się zastanawiają czy to nie działa w odwrotną stronę, bo jeśli one mają tę synergię w kierunku pozytywnych działań, to też mogą mieć połączone działania niepożądane. Czy tak jest rzeczywiście?

Oczywiście, że tak, ale konstrukcja schematów chemioterapii jest tak przygotowana, żeby to ryzyko redukować. Zwykle nie dodaje się leków, które mają podobną toksyczność i tak jest w przypadku tej terapii skojarzonej. *Pomalidomid* może powodować dość często neutropenię, *izatuksymab* takie działanie też ma, ale w mniejszym stopniu, więc nie jest ono takie istotne. Najważniejsze jest to, że korzyści z zastosowania terapii z *izatuksymabem* przewyższają możliwe działania niepożądane.

Podsumowując, oporność i nawrotowość to największe problemy w leczeniu pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym, którzy potrzebują terapii w kolejnych liniach oraz indywidualizacji leczenia. Szpiczak jest też tą chorobą, w której pojawia się najwięcej nowych terapii umożliwiających kontynuowanie leczenia i przedłużających życie chorych, ale o nich powiemy w kolejnej rozmowie.

Dziękuję Panie Profesorze

Aleksandra Rudnicka

ZMIANY W LECZNIU CHORYCH NA NOWOTWORY MIELOPROLIFERACYJNE

Rozmowa z prof. dr. hab. n. med. Tomaszem Sachą,
kierownikiem Katedry i Kliniki Hematologii UJ CM.

■ Panie profesorze, jakie zmiany zaszły w leczeniu pacjentów z mielofibrozą w zeszłym roku?

Od zeszłego roku mamy w programie B.81 nowy lek *fedratynib*, który pojawił się w leczeniu mielofibrozy, czyli samoistnego włóknienia szpiku. Jest to lek, który możemy stosować w dwóch sytuacjach. Pierwsza sytuacja, to jest rozpoznanie tej choroby *de novo*, a druga to jest niepowodzenie lub nietolerancja leczenia *ruksolitynibem*.

■ Jaki jeszcze lek, w jakim wskazaniu otrzymali pacjenci z nowotworami mieloproliferacyjnymi w ramach listy refundacyjnej z listopada 2023 roku?

Na listopadowej liście z 2023 r. pojawił się *ruksolitynib* w nowym wskazaniu, tj. do leczenia dorosłych pacjentów z czerwienicą prawdziwą. Ten lek możemy stosować u pacjentów z grupy wysokiego ryzyka, którzy mają oporność lub nietolerancję na leczenie *hydroksymocznikiem*.

■ Wprowadzono też zmiany dotyczące zapisów programu lekowego B.81 i zmieniono jego nazwę na: Program B 81. Leczenie chorych na nowotwory mieloproliferacyjne Ph (-) (ICD-10: D45, D47.1). Czego dotyczą te zmiany?

Zmiany te dotyczą kryteriów kwalifikacji do leczenia chorych na pierwotną mielofibrozę (PMF) lub mielofibrozę w przebiegu czerwienicy prawdziwej (Post-PV MF), lub mielofibrozę w przebiegu nadpłytkowości samoistnej (Post-ET MF), czyli leczenia inhibitorami JAK2 – *fedratynibem* i *ruksolitynibem*. Polegają one na tym, że nie ma już wymogu posiadania powiększonej śledziony, czyli teraz nasze wskazania są takie same jak wskazania europejskie. Aktualnie w programie jest napisane, że to ma być powiększenie śledziony w badaniu ultrasonograficznym lub wystąpienie co najmniej 2 z 6 objawów wymienionych w formularzu MPN-SAF TSS score w nasileniu co najmniej 4, w skali od 0 do 10. Do tych objawów należą: poty nocne, utrata masy ciała, gorączka o nieznannej etiologii, bóle kostne, świąd skóry i zmęczenie. Czyli przynajmniej 2 z tych objawów muszą być w stopniu nasilenia powyżej 4 lub równe 4, albo powiększona śledziona.



Foto: <https://hematoonkologia.pl>

Różnica w zmienionym programie jest jeszcze w tym, jak te leki można stosować zgodnie ze wskazaniami europejskimi. I tu pojawia się jeszcze jedna zaporę w kwalifikacji pacjenta, czyli wskaźnik ryzyka pośredni drugi lub wyższy według IPSS – i to jest wskaźnik obliczany w momencie diagnozy – albo DIPSS, to jest dynamiczna odmiana tego wskaźnika. Możemy ją oceniać w dowolnym momencie leczenia pacjenta. To są ważne zmiany jeżeli chodzi o leczenie pacjentów z mielofibrozą.

■ Jaką rolę odgrywa śledziona w funkcjonowaniu naszego organizmu, niewiele mówi się o tym narządzie? Jakie znaczenie ma jej powiększenie u pacjentów z nowotworami mieloproliferacyjnymi?

Jest to narząd limfatyczny, który jest ważny dla naszej odporności. A jak jest ważny, to o tym świadczą historie chorych po usunięciu śledziony. Zwykle śledzionę usuwa się u osób zdrowych po wypadku komunikacyjnym w przypadku jej pęknięcia. Taki pacjent bez śledziony w sytuacji pojawienia się stanu podgorączkowego, gorączki natychmiast musi pójść do lekarza i wdrażać antybiotykoterapię. Jeśli tego nie zrobi, to grozi mu sepsa. Jest to więc bardzo ważny narząd limfatyczny. Po każdym zabiegu splenektomii (usunięcia śledziony), każdy chory powinien być zaszczepiony przeciwko bakteriom otoczkowym i na pewno obowiązuje szczepienie na grypę. Śledziona pełni zatem bardzo ważną funkcję immunologiczną. A druga funkcja – to żywe cementarzysko dla zużytych krwinek. Tam umierają płytki krwi, krwinki białe i przede wszystkim erytrocyty. W przebiegu chorób mieloproliferacyjnych śledziona zwykle się powiększa. Największe powiększenie jest właśnie w przebiegu mielofibrozy, dlatego że ta choroba polega na włóknieniu szpiku. Skoro szpik, czyli tkanka krwiotwórcza – miejsce, w którym ma powstawać krew – włóknieje, to nie ma gdzie zachodzić proces hematopoezy, czyli tworzenia krwinek. Wówczas jest on przeno-

szony głównie do śledziony, a w mniejszym stopniu do wątroby. Dlatego te narządy ulegają powiększeniu. Największe splenomegalie w obszarze chorób mieloproliferacyjnych widywane są u pacjentów z mielofibrozą.

■ Czyli śledziona przejmuje funkcję szpiku, ale nie bardzo sobie z tym radzi?

Tak właśnie się dzieje. Śledziona u pacjentów z nowotworami mieloproliferacyjnymi nie produkuje na tyle dużo krwinek, żeby to wystarczało do prawidłowego funkcjonowania organizmu. Wytwarza też krwinki czerwone nie całkiem prawidłowe i są one niewydolne w zakresie przenoszenia tlenu. Erytrocyty – czerwone krwinki, które są produkowane w śledzionie, są bardzo charakterystyczne; mają one zupełnie inny kształt, taki łezkowaty. Jest to jeden z objawów laboratoryjnych po którym rozpoznajemy, że mamy do czynienia z mielofibrozą, bo właśnie takie erytrocyty znajdują się w krwiobiegu.

■ Do Programu B.81 dodano też zapisy i wskaźniki dotyczące oceny skuteczności terapii. Jest to zgodne z aktualnym dążeniem do wprowadzania terapii, których wartość kliniczna jest potwierdzana nie tylko w badaniach klinicznych ale w rzeczywistej praktyce klinicznej, kiedy lek trafia do szerokiej

grupy pacjentów z daną chorobą. Czego dotyczą te zapisy i wskaźniki?

W tych zapisach pojawiły wskaźniki, o których NFZ chce wiedzieć. Czy pacjent uzyskał całkowitą remisję, czy jest osiągnięta remisja częściowa, czy tylko poprawa kliniczna, czy może jedynie stabilizacja choroby? Czy uzyskano odpowiedź w zakresie niedokrwistości, czy doszło do odpowiedzi śledzionowej polegającej na redukcji wielkości śledziony, czy to jest odpowiedź w zakresie objawów ogólnych, czy też mamy do czynienia z progresją choroby? I to są zapisy, dotyczące wskaźników, które są potraktowane informacyjnie. Poza, oczywiście, progresją choroby, ale to się nie zmieniło w brzmieniu z poprzednio obowiązującym programem. Czyli z kontynuacji leczenia finansowanego w ramach programu będą dyskwalifikowani pacjenci, którzy na tą terapię nie odpowiadają lub doświadczają regresji. W tym punkcie kryteria dyskwalifikacji z programu nie zmieniły się. Dodatkowy zapis w ostatniej edycji programu rzeczywiście istnieje, ale to jest tylko kwestia informacyjna, ponieważ to czy pacjent uzyska całkowitą remisję, czy ta remisja jest częściowa, czy też to będzie tylko poprawa kliniczna, nie stanowi kryterium dyskwalifikacji z dalszego leczenia w programie.

Dziękuję za rozmowę
Aleksandra Rudnicka

Zmieniamy życie pacjentów dzięki nauce™

Naszą misją jest odkrywanie, opracowywanie oraz dostarczanie innowacyjnych leków, które pomagają pacjentom przezwyciężyć poważne choroby.



NAJNOWSZE REFUNDACJE DLA PACJENTÓW HEMATOLOGICZNYCH

OBWIESZCZENIE REFUNDACYJNE NR 72

(1 listopada 2023 r.)

Nowe cząsteczko-wskazania

Ostatnia listopadowa lista z 2023 r. wprowadziła dwa leki. Do programu B.14 dodany został nowy lek **asciminib (Scemblix)** w III linii dla pacjentów z przewlekłą białaczką szpikową.

W ramach Programu B.81 LECZENIE CHORYCH NA NOWOTWORY MIELOPROLIFERACYJNE PH (-) udostępniono leczenie **ruksolitynibem (Jakavi)** dla dorosłych chorych na czerwienicę prawdziwą z grupy wysokiego ryzyka, z opornością lub nietolerancją na leczenie *hydroksymocznikiem*.

Zmiany w programach lekowych

Jednocześnie w ramach porządkowania programów lekowych wprowadzono kompleksowe zmiany w zapisach programu lekowego **B.14 LECZENIE CHORYCH NA PRZEWLEKŁĄ BIAŁACZKĘ SZPIKOWĄ** dostosowując zapisy programu do aktualnych wytycznych klinicznych w zakresie ujednolicenia kryteriów wyłączenia dla wszystkich terapii dostępnych w ramach programu, uogólnienie zapisów dotyczących stosowania inhibitorów kinazy tyrozynowej w przypadku oporności lub nietolerancji.

Ważne zmiany nastąpiły w programie **B.65 LECZENIE CHORYCH NA OSTRĄ BIAŁACZKĘ LIMFOLASTYCZNĄ** (ICD-10: C91.0). Umożliwiają one zastosowanie *blinatumomabu* u dzieci i dorosłych ze wznową, u których nie jest planowane wykonanie przeszczepienia allogenicznego krwiotwórczych komórek macierzystych (alloHSCT) oraz rozszerzenie wskazania do leczenia *tisagenlecleucel* (terapia CAR-T) także nawrotu pozaszpikowego ostrej białaczki limfoblastycznej.

Program B. 81. zmienił nazwę z LECZENIE MIELOFIBROZY PIERWOTNEJ ORAZ MIELOFIBROZY WTÓRNEJ W PRZEBIEGU CZERWIENICY PRAWDZIWEJ I NADPŁYTKOWOŚCI SAMOISTNEJ (ICD-10: D47.1) na krótszą LECZENIE CHORYCH NA NOWOTWORY MIELOPROLIFERACYJNE PH (-) (ICD-10: D45, D47.1). Dostosowano zapisy programu lekowego do aktualnych wytycznych klinicznych (wyjaśnia je prof. Tomasz Sacha na str. 12-13 tego numeru).

W zmianach do wszystkich trzech powyższych programów dodano zapisy i wskaźniki dotyczące oceny skuteczności terapii.

Zmiany w katalogu chemioterapii

Zmiany w katalogu chemioterapii dotyczyły kategorii dostępności refundacyjnej dla **dasatynibu (dasatinib)**, który z programu lekowego B.14 został przeniesiony do katalogu chemioterapii c.92.a oraz z programu lekowego B.65 do katalogu

chemioterapii c.92.b., co oznacza większą dostępność dla pacjentów.

OBWIESZCZENIE REFUNDACYJNE NR 73

(1 stycznia 2024 r.)

W pierwszym wykazie obowiązującym w roku 2024, finansowaniem ze środków publicznych zostało objętych 19 nowych cząsteczko-wskazań, w tym:

- 8 cząsteczko – wskazań onkologicznych (w tym hematoonkologicznych),
- 11 cząsteczko – wskazań nieonkologicznych,
- 10 cząsteczko – wskazań dedykowanych chorobom rzadkim.

Nowe cząsteczko-wskazania hematoonkologiczne

Polivy (polatuzumab vedotin) dodano do programu **B.12.FM LECZENIE CHORYCH NA CHŁONIAKI B-KOMÓRKOWE** (ICD-10: C82, C83, C85) w leczeniu I linii dorosłych chorych na chłoniaka rozlanego z dużych komórek B (DLBCL), z międzynarodowym indeksem prognostycznym (IPI): 3-5 *polatuzumabem vedotin* w skojarzeniu z *rytuksymabem*, *cyklofosfamidem*, *doksorubicyną* i *prednizonem*.

Darzalex (daratumumab) w formie podskórnej refundowano w ramach programu **B.54 LECZENIE CHORYCH NA SZPICZAKA PLAZMOCYTOWEGO** (ICD-10: C90.0) w leczeniu I linii dorosłych chorych na szpiczaka plazmocytozy, niekwalifikujących się do przeszczepienia autologicznego krwiotwórczych komórek macierzystych w terapii skojarzonej z *lenalidomidem* i *deksametazonem* (schemat DRd).

Adcetris (brentuksymab vedotin) w programie **B.77 LECZENIE CHORYCH NA KLASYCZNEGO CHŁONIAKA HODGKINA** (ICD-10: C81) przeniesiono do I linii leczenia dorosłych chorych na klasycznego chłoniaka Hodgkina w IV stadium zaawansowania ramach leczenia skojarzonego *brentuksymabem vedotin* z *doksorubicyną*, *winblastyną* i *dakarbazyką*.

Brukina (zanubrutynib) wprowadzono w monoterapii do programu **B.79 LECZENIE CHORYCH NA PRZEWLEKŁĄ BIAŁACZKĘ LIMFOCYTOWĄ** (ICD-10: C91.1) w leczeniu dorosłych chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową w I i kolejnych liniach.

Venclyxto (wenetoklaks) w programie **B.79 LECZENIE CHORYCH NA PRZEWLEKŁĄ BIAŁACZKĘ LIMFOCYTOWĄ** (ICD-10: C91.1) – rozszerzenie aktualnie refundowanego wskazania o populację FIT w I linii leczenia dorosłych chorych na prze-

wlekłą białaczkę limfocytową *wenetoklaksem* w skojarzeniu z *obinutuzumabem*.

Zmiany w programach lekowych – hematologia

W programie lekowym **B.15** ZAPOBIEGANIE KRWAWIENIOM U DZIECI Z HEMOFILIĄ A I B (ICD-10: D66, D67) zniesiono limit wiekowy do stosowania *rurioctocogu alfa pegol*.

Refundacja apteczna zmiany na liście 65 PLUS

W ramach refundacji aptecznej na liście 65 Plus udostępniono **Shingrix** – szczepionkę przeciw półpaścowi (rekombinowana, z adiuwantem). Jest to pierwsza szczepionka przeciw półpaścowi w refundacji do stosowania u pacjentów powyżej 65. roku życia, u których występuje wyższe ryzyko zachorowania oraz powikłań.

Szczepionka jest dostępna bezpłatnie w profilaktyce półpaśca i neuralgii półpaścowej u pacjentów w wieku 65 lat i starszych o zwiększonym ryzyku zachorowania na półpaśca tj. z: przewlekłą chorobą serca, przewlekłą chorobą płuc, cukrzycą, przewlekłą niewydolnością nerek, wrodzonym lub nabytym niedoborem odporności, uogólnioną chorobą nowotworową, zakażeniem wirusem HIV, chorobą Hodgkina, jatrogenną immunosupresją, białaczką, szpiczakiem mnogim, przeszczepem narządu łitego, reumatoidalnym zapaleniem stawów, łuszczycą, łuszczycowym zapaleniem stawów, nieswoistym zapaleniem jelit, zeszytniającym zapaleniem stawów kręgosłupa, stwardnieniem rozsianym, toczeniem układowym.

Zdaniem ekspertów konieczne jest poszerzenie wskazań do stosowania szczepionki przeciw półpaścowi także dla pacjentów hematologicznych poniżej 65. roku życia z powodu charakterystycznego dla tej grupy chorych niedoboru odporności bez względu na wiek.

OBWIESZCZENIE REFUNDACYJNE NR 74 (1 kwietnia 2024 R.)

Nowe wskazania oraz zmiany w programach lekowych w hematologii

W programie lekowym **B.79** LECZENIE CHORYCH NA PRZEWLEKŁĄ BIAŁACZKĘ LIMFOCYTOWĄ (ICD-10: C91.1) doko-

nano dwóch zmian:

1/ w I linii leczenia dorosłych chorych na PBL poszerzono wskazanie **Imbruvici (ibrutynibu)** w skojarzeniu z *wenetoklaksem* (schemat I+V), bez względu na status del17p/mutTP53

2/ od II linii leczenia dorosłych chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową bez del17p/mutTP53 w monoterapii **Calquence (akalabrutynibem)** rozszerzono dotychczas refundowane wskazania poprzez usunięcie warunków dotyczących wcześniejszego leczenia *wenetoklaksem* w skojarzeniu z przeciwciałem anti-CD20 lub z przeciwwskazaniami do tej terapii lub z toksycznością tej terapii.

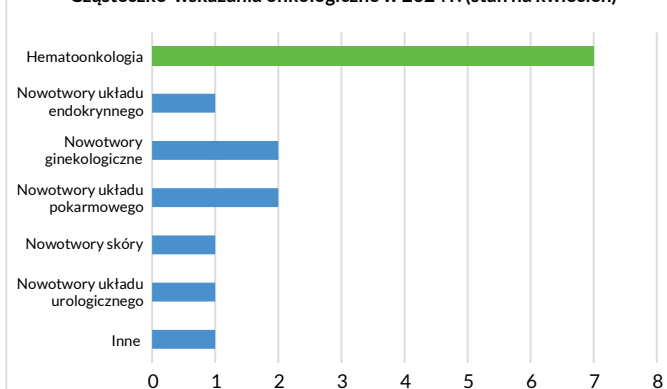
Nowe wskazania oraz zmiany w programach lekowych w hematologii

W programach lekowych **B.97** LECZENIE DOROSŁYCH CHORYCH NA PIERWOTNĄ MAŁOPŁYTKOWOŚĆ IMMUNOLOGICZNĄ (ICD-10: D69.3) oraz **B.98** LECZENIE PEDIATRYCZNYCH CHORYCH NA PIERWOTNĄ MAŁOPŁYTKOWOŚĆ IMMUNOLOGICZNĄ (ICD-10: D69.3) wprowadzono we wskazaniu *off-label* **rytuksymab** jako kolejną opcję terapeutyczną obok agonistów receptora trombopoetyny.

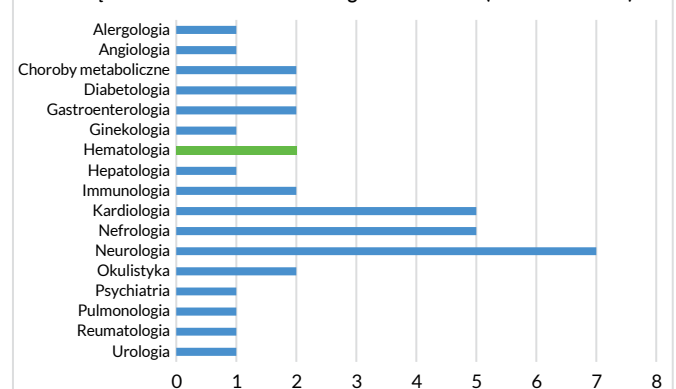
Zmiany w programach lekowych w hematologii

W programie lekowym **B.132** ZAPOBIEGANIE REAKTYWACJI CYTOMEGALOWIRUSA (CMV) I ROZWOJOWI CHOROBY U SEROPOZYTYWNYCH WZGLĘDEM CMV PACJENTÓW, KTÓRZY BYLI PODDANI ZABIEGOWI PRZESZCZEPIONIA ALLOGENICZNYCH KRWIOTWÓRCZYCH KOMÓREK MACIERZYSTYCH (ICD-10: C81, C82, C83, C84, C85, C88, C90, C91, C92, C93, C94, C95, C96, C45, D46, D47, D56, D57, D58, D61, D75, D80, D81, D82, D84) dokonano zmiany nazwy i treści tego programu lekowego w związku z objęciem refundacją **letermowiru** we wskazaniu: stosowanie letermowiru w celu zapobiegania reaktywacji cytomegalowirusa (CMV) i rozwojowi choroby u dzieci przed ukończeniem 18. roku życia, seropozytywnych względem CMV, które były poddane zabiegowi przeszczepienia allogenicznych krwiotwórczych komórek macierzystych (alloHSCt). Wprowadzono też zapisy dotyczące monitorowania wskaźników określających skuteczność leczenia terapii.

Częścisko-wskazania onkologiczne w 2024 r. (stan na kwiecień)



Częścisko-wskazania nieonkologiczne w 2024 r. (stan na kwiecień)



JAK ALICJA Z KRAINY CZARÓW

Rozmowa z prof. Jackiem Jassem
lekarzem i pacjentem
hematoonkologicznym

Prof. dr hab. n. med. Jacek Jassem onkolog kliniczny i radioterapeuta. Wieloletni kierownik Kliniki Onkologii i Radioterapii Gdańskiego Uniwersytetu Medycznego. Autor kilkuset publikacji w czasopismach naukowych krajowych i zagranicznych, kilkunastu podręczników akademickich oraz dwunastu patentów lub zgłoszeń patentowych. Założyciel (2014) i od 2018 r. prezes Polskiej Ligi Walki z Rakiem. W 2020 r. opublikował książkę *Zatrzymane w biegu*, stanowiącą osobisty zapis jego walki z chorobą nowotworową. Prof. Jacek Jassem dzieli się z czytelnikami HEMATOLOGII DLA PACJENTA swoimi refleksjami na temat tego, co jest ważne w pokonaniu choroby nowotworowej.

■ **Mówi się, że szewc bez butów chodzi, a lekarze, często zajęci pacjentami, nie zauważają, że u nich rozwija się zagrażająca życiu choroba. Jak było w przypadku Pana Profesora?**

Nie mamy immunitetu – choroba nowotworowa jest bardzo demokratyczna i dotyczy także lekarzy. Nie sądzę, żeby byli oni mniej czujni niż osoby, które nie zajmują się medycyną. Myślę również, że generalnie zachowują częściej niż całe społeczeństwo prozdrowotne zachowania. Przykładowo, lekarz z papierosem to dziś ogromna rzadkość. Moja choroba rozwijała się zupełnie bezobjawowo, więc nie mogę sobie wiele zarzucić. Szczególnie czujna okazała się moja córka (także lekarka), która zauważyła u mnie nieznacznie powiększony węzeł chłonny na szyi.

■ **Pan Profesor przed chorobą był i nadal jest znany z tego, że jest osobą bardzo aktywną, przywiązującą dużą wagę do zdrowego stylu życia, do sportu, i chyba z tego powodu diagnoza raka była też zaskoczeniem?**

Nowotwory można ułożyć na skali od tych najbardziej związanych ze stylem życia i dietą do tych, które takiego związku



nie mają. Mój należy do tej drugiej grupy. Dobra kondycja fizyczna przydała się jednak bardzo w walce z chorobą oraz w rekonwalescencji. Wróciłem do pełnej sprawności: uprawiam sport, podróżuję, uczestniczę w wydarzeniach kulturalnych i normalnie pracuję. Obecnie uważa się, że aktywność fizyczna jest korzystna zarówno w zdrowiu jak i w chorobie. Dotyczy to także chorób nowotworowych.

■ **Opowiadał Pan na Letniej Akademii Onkologicznej dla dziennikarzy, że pierwsze kroki po usłyszeniu diagnozy skierował Pan nie do lekarzy specjalistów, ale do psychoonkologa – profesor Krystyny de Walden-Gałuszko, dlaczego?**

Nie ma ludzi ze stali. Rozpoznanie choroby nowotworowej jest punktem zwrotnym w życiu każdego człowieka. Mój nowotwór wyglądał poważnie, więc jak każdy pacjent odczuwałem niepokój, troskę o przyszłość rodziny i zwyczajny lęk. Wiedziałem, że czeka mnie długa walka o powrót do zdrowia, do czego potrzebna jest równowaga psychiczna. Mnie to naprawdę pomogło.

Był Pan pod opieką znakomitego hematologa, specjalizującego się w leczeniu pacjentów z chłoniakami – prof. Jana Macieja Zauchy, ale Pan też jest onkologiem, a więc specjalistą z pokrewnego obszaru medycyny, czy to ułatwiło Wasze kontakty? Jak wyglądała Wasza współpraca, czy kiedy miał Pan wątpliwości, co do zaleceń, mówił Pan o nich profesorowi?

Maciek jest od wielu lat moim kolegą, trafił chciał, że kilka miesięcy przed zachorowaniem pomógł mi sięgnąć go do naszego uniwersytetu. Przez cały okres choroby miałem z nim doskonały kontakt i darzyłem go pełnym zaufaniem. Zawsze odpowiadał wyczerpująco i przekonująco na moje pytania. Nigdy nie zdarzyło się natomiast, abym „negocjował” z nim jakieś zalecenia – uznałem, że nie byłby to dobry pomysł.

Mimo uciążliwej terapii, także czasami dokuczliwego bólu, nie pozwolił Pan, aby choroba zmieniła Pana życie, pracę, codzienne nawyki. Czy taka aktywna postawa, nauczanie się życia z rakiem, miała wpływ na skuteczność leczenia?

Tak, to było ogromnie ważne. Jako lekarz zawsze uważałem, że chory nie powinien „uciekać w chorobę”, zamykać się w sobie, rezygnować z normalnego życia. W wielu sytuacjach choroba przynosi pewne ograniczenia, ale nie ma powodów, żeby porzucić to, co dla nas ważne i przyjemne. Przez cały okres choroby intensywnie pracowałem naukowo, ograniczyłem jedynie kontakty z pacjentami, ponieważ choroba zbiegła się z pandemią. Mój układ immunologiczny był mocno upośledzony, więc stanowiło to duże zagrożenie.

Ostatnim etapem Pana leczenia była terapia CAR-T. Jest to terapia, która prowadzona jest z intencją całkowitego wyleczenia i tak też szczęśliwie stało się w Pana przypadku. Nie jest to jednak łatwa dla pacjenta terapia i bardzo droga. Od zeszłego roku jest ona refundowana także w Polsce dla pacjentów z chłoniakiem z komórek płaszczka. Czy mógłby Pan podzielić się z naszymi czytelnikami swoim doświadczeniem tej terapii, dlaczego warto ją podjąć?

Byłem wśród pierwszych polskich pacjentów, którzy przeszli to leczenie, więc było to duże wyzwanie. W tym czasie terapia CAR-T nie była jeszcze dostępna w Polsce, musiałem zatem wyjechać za granicę. Szalała wówczas pandemia, więc wyjazd bardzo się opóźnił. Chorzy różnie reagują na leczenie CAR-T. W moim przypadku było dość ciężko, ale skończyło się dobrze. Obecnie terapia CAR-T jest dostępna w Polsce, a wskazania stopniowo się poszerzają. Zaliczam ją do przełomowych terapii w onkohematologii; w niektórych przypadkach jest jedyną szansą na wyleczenie.

W swojej książce pisze Pan o tym, jak ogromne znacznie miało w trakcie leczenia wsparcie rodziny i przyjaciół. Dla nich to też były trudne chwile, jak okazywali swoją solidarność?

Chorowanie w samotności jest ogromnie trudne. Nie chodzi tylko o pomoc w codziennych czynnościach – zakupach, gotowaniu czy podwiezieniu do lekarza, ale przede wszystkim o empatię i wsparcie psychiczne. Moja rodzina zdała doskonale ten egzamin. Żona towarzyszyła mi na co dzień i wyjechała ze mną za granicę, gdzie była przy mnie w najtrudniejszych chwilach. Ogromne wsparcie miałem wśród przyjaciół – organizowali dla mnie specjalne spotkania towarzyskie, komponowali piosenki i kuplety, odbyli rajd rowerowy w koszulkach z napisem „Jedziemy dla Jacka”. Zamówili nawet mszę w mojej intencji. Wiele osób, o których prawie zapominałem, odnowiło ze mną kontakty. Moi koledzy z zagranicy oferowali leczenie w swoich ośrodkach, a jeden przyjechał aż z Denver, aby się ze mną zobaczyć. To było naprawdę poruszające.

Znane osoby często ukrywają swoją chorobę, nie mówią o niej publicznie. Pan podjął odmienną decyzję – dlaczego?

Od czasu, kiedy zostałem onkologiem wyrażałem opinię, że nowotwór trzeba „odczarować” i zacząć traktować jak każdą inną chorobę. To żaden wstyd zachorować, a ukrywanie tego powoduje, że rodzi się wiele mitów i przesądów. Społeczeństwo wie o ludziach, którzy zmarli z powodu nowotworu, ale nie wie, ilu udało się uratować. A obecnie jest ich więcej niż połowa. Jeśli nie będziemy otwarcie o tym mówić, pozostaniemy zawsze w okowach niewiedzy. Pokazywanie pozytywnych przykładów bywa skuteczniejsze niż statystyki medyczne. Los sprawił, że mogłem dać temu osobiste świadectwo. Okazało się, że dla chorych to ważne – to z ich inspiracji powstała książka „Zatrzymane w biegu”, w której opisałem swoje przeżycia.

Na ostatnim Forum Pacjentów w Warszawie powiedział Pan, że czuje się jak Alicja z Krainy Czarów, która ogląda świat z obu stron lustra. Mówił Pan o sobie jako o lekarzu, który jest też pacjentem i widzi system ochrony zdrowia z obu perspektyw. Co zobaczył Pan w tym lustrze jako pacjent?

Doświadczyłem prawie wszystkiego, co moi pacjenci – lęku, skomplikowanych zabiegów diagnostycznych, chemioterapii, radioterapii, bólu i całej gamy powikłań związanych z leczeniem. Tam, gdzie to możliwe, prosiłem, aby nie stosować znieczulenia ogólnego, bo chciałem przeżyć to pełniej. Myślę, że w ten sposób lepiej rozumiem teraz chorych i, jako jeden z nich, jestem dla nich bardziej przekonujący.

Dziękuję za rozmowę
Aleksandra Rudnicka

HEMOFILIA – PRAWNE UWARUNKOWANIA PODAWANIA CZYNNIKA KRZEPNIĘCIA

Paulina Szykuła-Woźniak, pielęgniarka, mama 9-letniego Leosia chorego na hemofilię wyjaśnia, jak powinni postępować rodzice dzieci z tą chorobą, kiedy muszą podać lek dożylnie w szpitalu lub w placówce podstawowej opieki zdrowotnej i spotykają się z odmową, na jakie akty prawne i dokumenty mogą się powołać w takiej sytuacji.



Hemofilia to przewlekła, dziedziczona choroba polegająca na zaburzeniu procesu krzepnięcia krwi. Jest spowodowana niedoborem lub całkowitym brakiem jednego z białek, czynników krzepnięcia krwi, które pełnią ważną rolę w procesie krzepnięcia. Chorzy z hemofilią krwawią dłużej niż osoby, u których proces krzepnięcia krwi przebiega prawidłowo. Może u nich wystąpić krwawienie do stawów lub mięśni nawet bez wcześniejszego urazu, z tego powodu leczenie polega na ograniczaniu samoistnych krwotoków.

TYPY HEMOFILII

Wyróżnia się dwa typy hemofilii:

- **hemofilię A** spowodowaną niedoborem czynnika VIII
- **hemofilię B** (zwaną również chorobą Christmаса) spowodowaną niedoborem czynnika IX

Oba typy hemofilii mają takie same objawy i są dziedziczone w ten sam sposób, ale ich leczenie przebiega inaczej w zależności od tego, którego czynnika krzepnięcia brakuje w organizmie chorego. Ustalenie, którego czynnika krzepnięcia – czynnika VIII czy czynnika IX – brakuje pacjentowi i jaki jest poziom jego niedoboru, odbywa się w trakcie specjalistycznych badań krwi.

Hemofilia A występuje u około 1 na 5000 mężczyzn. Hemofilia B występuje rzadziej, u około 1 na 30 000 mężczyzn. Około 30-50% kobiet, które są nosicielkami, może chorować na hemofilię w łagodniejszej postaci. Hemofilia występuje u osób ze wszystkich grup etnicznych i części świata.

Hemofilia występuje w postaci ciężkiej, umiarkowanej lub łagodnej, w zależności od stopnia niedoboru czynnika krzepnięcia.

Poziom czynnika VIII lub czynnika IX we krwi mierzą specjaliści laboratoryjni. Ogólnie im niższy poziom czynnika, tym większe problemy z krwawieniem będzie odczuwać nieleczona osoba z hemofilią.

Postać ciężka – poziom czynnika poniżej 1% normy

- Skłonność do siniaczenia, włączając siniaczenie okolic ust i nosa
- Krwawienie do stawów i mięśni, które może wystąpić bez wyraźnej przyczyny
- Krwawienie po zabiegu stomatologicznym lub chirurgicznym, bądź po urazie, w tym po niewielkich uderzeniach i po upadkach.

Postać umiarkowana – poziom czynnika 1-5% normy

- Skłonność do siniaczenia
- Krwawienie w wyniku niewielkiego urazu
- Sporadyczne samoistne krwawienie
- Prawdopodobieństwo wystąpienia problemów po zabiegu stomatologicznym lub chirurgicznym, bądź po poważniejszym urazie.

Postać łagodna – poziom czynnika ponad 5% normy

- Skłonność do siniaczenia
- Krwawienie występuje zwykle wyłącznie po urazie lub zabiegu stomatologicznym (usunięcie zęba), bądź chirurgicznym
- Osoba z taką postacią hemofilii może nigdy nie mieć problemów wymagających interwencji lekarskiej, także może nie otrzymać diagnozy aż do późniejszego etapu życia, jeśli nie uprawia sportów kontaktowych lub nie ma za sobą żadnych urazów bądź operacji
- U kobiet mogą również występować obfite i dłuższe miesiączki.

OBJAWY HEMOFILII

U osób z hemofilią nie dochodzi częściej do zranień lub szybszego krwawienia. W większości przypadków niewielkie skaleczenia i zadrapania nie stanowią problemu. Jednak u tych chorych krwawienie zwykle jest dłuższe po większych

skaleczeniach lub mniejszych zabiegach, takich jak usunięcie zęba. Może trwać kilka dni. Nie ma powodu, dla którego osoby z hemofilią nie mogłyby przejść operacji, jeśli zastosowane zostanie odpowiednie leczenie.

W ciężkiej postaci hemofilii głównym problemem jest krwawienie wewnętrzne do stawów lub mięśni. U osób z ciężką postacią hemofilii naczynia krwionośne w stawach lub mięśniach, w których doszło do niewielkich pęknięć, mogą nie przestawać krwawić. Krwawienia takie czasami nazywa się „samoistnymi”, ponieważ nie da się określić wyraźnej przyczyny ich powstania, takiej jak upadek lub uderzenie.

OBJAWY HEMOFILII U DZIECI

U dzieci pierwszym objawem hemofilii są siniaki, które pojawiają się często, kiedy dzieci zaczynają raczkować lub chodzić. Kiedy dzieci przechodzą z raczkowania do chodu, siniaki mogą występować na kolanach i łokciach. Pojawiają się też, jeśli dziecko uderzy się twardą zabawką, bądź upadnie na twardą nawierzchnię. Kiedy dzieci zaczną wstawać i chodzić samodzielnie, siniaki mogą pojawić się na pośladkach, po nagłych upadkach lub powrotach do siadu. Siniaki mogą wyglądać groźnie, ale nie wymagają zwykle zastosowania leczenia. Jeśli jednak towarzyszą im opuchlizna i ból, leczenie może pomóc.

RÓŻNE METODY LECZENIA HEMOFILII

Istnieją różne metody leczenia hemofilii. Ich stosowanie zależy od postaci choroby. Niezwłocznie i skutecznie zastosowane leczenie oraz zapobieganie krwawieniom znacząco zmniejszają ryzyko wystąpienia powikłań oraz wystąpienia problemów w życiu szkolnym, domowym i rodzinnym.

Krwawienie można opanować lub można mu zapobiec zastępując brakujący czynnik we krwi poprzez podanie koncentratu czynnika krzepnięcia. Poziom czynnika VIII lub czynnika IX zwiększa się jedynie na jakiś czas, więc infuzje należy powtarzać. W przypadku niewielkiego krwawienia jedna infuzja może wystarczyć, żeby je zatamować. Przy poważniejszym krwawieniu lub podaniu pierwszej infuzji z opóźnieniem, niezbędne może być powtarzanie leczenia raz lub dwa razy dziennie do

momentu ustania krwawienia. Leczenia potrzebuje każda osoba z hemofilią, która krwawi. Należy je również zastosować w celu zapobieżenia krwawieniu, jeśli osoba z hemofilią ma przejść operację lub doznała urazu wiążącego się z ryzykiem wystąpienia krwawienia.

PODAWANIE CZYNNIKA KRZEPNIĘCIA

Koncentrat rekombinowanego czynnika VIII i czynnika IX wytwarza się z użyciem technologii genetycznej, a nie z krwi. Podaje się dożylnie do krwioobiegu igłą do wstrzykiwań. U małych dzieci powinno się stosować na skórze krem znieczulający przed zastrzykiem, żeby zmniejszyć ból. Przekłucie spowodowane igłą jest niewielkie i nie powoduje nadmiernego krwawienia.

Koncentraty czynnika o standardowym działaniu pozostają we krwi przez względnie krótki okres i wymagają powtórzenia dawki profilaktycznie co 2–3 dni w przypadku hemofilii A i dwa razy w tygodniu w przypadku hemofilii B.

Leczenie można przeprowadzać również czynnikiem o wydłużonym okresie półtrwania, który jest produktem z czynnikami VIII lub IX. Pozostają one w krwioobiegu dłużej. Stosując te leki liczba wstrzyknień profilaktycznych w celu zapobieżenia krwawieniu może być niższa.

Od kilku lat jest dostępne przeciwciało, które naśladuje działanie czynnika VIII – *emicizumab*. Jest to lek podawany podskórnie w celu zapobieżenia krwawieniu lub zmniejszeniu krwawienia u osób z ciężką postacią hemofilii typu A. Jest on podawany raz na tydzień, raz na dwa tygodnie lub raz w miesiącu. Niestety w Polsce jest to lek refundowany dla nielicznej grupy dzieci.

KORZYŚCI Z LECZENIA PROFILAKTYCZNEGO

Leczenie regularnymi infuzjami czynnika krzepnięcia ma na celu zapobieganie długotrwałym szkodom powstałym w wyniku krwawienia do stawów i mięśni. Profilaktyka polega na eliminowaniu krwawienia samoistnego, które pojawia się bez wyraźnej przyczyny. Zmniejsza również ryzyko wystąpienia krwawienia na skutek mniejszych urazów.

Badania wykazały, że leczenie profilaktyczne daje dzieciom największą szansę na wejście w dorosłość bez uszczerbku dla ich stawów.

To, jak częste są infuzje, jest ustalane indywidualnie, ale zwykle odbywają się one raz na dwa dni w przypadku hemofilii A i 2-3 razy w tygodniu w przypadku hemofilii B, ponieważ czynnik IX dłużej utrzymuje się we krwi.

PODAWANIE PROFILAKTYKI W DOMU

Większość osób z ciężką postacią hemofilii i niektóre z umiarkowaną postacią choroby uczą się podawania sobie czynnika krzepnięcia w domu. Podawania tego czynnika w domu uczą się też rodzice dzieci chorych na hemofilię. Leczenie w domu ma wiele plusów:

- umożliwia regularne podawanie leku,
- można je zastosować zaraz po wystąpieniu krwawienia,
- nie obciąża zbytnio grafiku domowego, szkolnego i zawodowego,
- daje rodzicowi/osobie z hemofilią większą niezależność i kontrolę,
- zmniejsza liczbę niezbędnych wizyt w szpitalu,
- wcześniej zastosowane skraca okres powrotu do zdrowia i zmniejsza ryzyko wystąpienia trwałego urazu.

Na początku rodzice przechodzą szkolenie na temat podawania leczenia dziecku przeprowadzane przez pielęgniarzy specjalizujących się w leczeniu hemofilii.

Jednakże, co zrobić w sytuacji, kiedy rodzic nie jest w stanie podać dożylnych leków swojemu dziecku? W takim przypadku należy zgłosić się do najbliższej medycznej placówki lub do placówki POZ z praktyką lekarza rodzinnego, do którego się przynależy.

ZADANIA PIELĘGNIARKI I POŁOŻNEJ POZ W ŚWIELE AKTÓW PRAWNYCH

Niestety, wciąż zdarzają się przypadki nieprawidłowego udzielania pomocy chorym na hemofilię: zwleknięcia lub wręcz odmowy podania czynnika, co powoduje zagrożenie zdrowia i życia chorego. Problem ten opiera się często na niewiedzy w kwestii samej choroby, a także aktów prawnych regulujących podaż dożylną w POZ w zakresie zarówno profilaktyki, jak i leczenia aktywnego krwawienia.

Do jakich więc aktów prawnych możemy się odwołać w sytuacji, gdy placówka POZ odmawia wykonania podania drogą dożylną czynnika krzepnięcia?

Zadania pielęgniarki i położnej podstawowej opieki zdrowotnej określone są ustawą z dnia 15 lipca 2011 roku o zawodzie pielęgniarki i położnej, a także rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 27 listopada 2019 roku w sprawie zakresu zadań lekarza podstawowej opieki zdrowotnej, pielęgniarki podstawowej opieki zdrowotnej i położnej podstawowej opieki zdrowotnej.

W załączniku nr 2 do powyższego rozporządzenia w części A, ustęp 4, punkt 2 czytamy, iż do zadań pielęgniarki POZ w zakresie świadczeń leczniczych należy: „podanie leków różnymi drogami i technikami zleconymi przez lekarza, w tym wykonanie iniekcji domięśniowych, dożylnych, podskórnych, śródskórnych oraz wykonanie wlewów dożylnych”.

W Ustawie o zawodzie pielęgniarki i położnej odnajdujemy zapisy:

Rozdział 2, art. 4.1. „Wykonywanie zawodu pielęgniarki polega na udzielaniu świadczeń zdrowotnych, w szczególności na: 1) rozpoznawaniu warunków i potrzeb zdrowotnych pacjenta; 2) rozpoznawaniu problemów pielęgnacyjnych pacjenta; 3) planowaniu i sprawowaniu opieki pielęgnacyjnej nad pacjentem; 4) samodzielnym udzielaniu w określonym zakresie świadczeń zapobiegawczych, diagnostycznych, leczniczych i rehabilitacyjnych oraz medycznych czynności ratunkowych; 5) realizacji zleceń lekarskich w procesie diagnostyki, leczenia i rehabilitacji; 6) orzekaniu o rodzaju i zakresie świadczeń opiekuńczo-pielęgnacyjnych”.

Rozdział 2, Art. 12.1. „Pielęgniarka i położna są obowiązane, zgodnie z posiadanymi kwalifikacjami zawodowymi, do udzielenia pomocy w każdym przypadku, gdy zwołana w jej udzieleniu mogłaby spowodować stan nagłego zagrożenia zdrowotnego”, **Art. 13.** „Pielęgniarka i położna mają prawo wglądu do dokumentacji medycznej pacjenta oraz do uzyskania od lekarza pełnej informacji o stanie zdrowia pacjenta, rozpoznaniu, proponowanych metodach diagnostycznych, leczniczych, rehabilitacyjnych, zapobiegawczych i dających się przewidzieć następstwach podejmowanych działań, w zakresie niezbędnym do udzielanych przez siebie świadczeń zdrowotnych.”, a także **Art. 15.1.** „Pielęgniarka i położna wykonują zlecenia lekarskie zapisane w dokumentacji medycznej”.

Wszystkie powyższe zapisy prawne działają na korzyść pacjenta i są podstawą do podania leku pacjentowi przez pielęgniarkę POZ.

NARODOWY PROGRAM LECZENIA CHORYCH NA HEMOFILIE I POKREWNE SKAZY KRWOTOCZNE

Leczenie chorych na hemofilię regulowane jest przez Narodowy Program Leczenia Chorych Na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne. W programie tym istnieje zapis: „(...) 5. ustawa z dnia 15 lipca 2011 r. o zawodach pielęgniarki i położnej, na podstawie której wydano rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 28 lutego 2017 r. w sprawie rodzaju i zakresu

świadczeń zapobiegawczych, diagnostycznych, leczniczych i rehabilitacyjnych udzielanych przez pielęgniarkę albo położną samodzielnie bez zlecenia lekarskiego, umożliwiające pielęgniarkom i położnym podawanie produktów krwiopochodnych, rekombinowanych koncentratów czynników krzepnięcia oraz desmopresyny, w stanach nagłego zagrożenia zdrowotnego”.

Narodowy Program Leczenia Chorych Na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne reguluje również dokumenty prawne, którymi może posługiwać się chory na hemofilię. Jest to Karta Choroego oraz Karta Postępowania. Oba te dokumenty wystawia lekarz prowadzący pacjenta. Są prawnie obowiązujące dokumenty, które pozostają równocześnie zleceniem lekarskim na podanie czynnika krzepnięcia.

W Karcie Postępowania odnaleźć można zapis, który brzmi: „Niniejsza karta jest jednocześnie zleceniem dożylnego podania koncentratu czynnika krzepnięcia/*desmopresyny/emicizumabu*. Koncentrat czynnika krzepnięcia/*desmopresyny/emicizumabu* można podawać w każdej placówce służby zdrowia, w tym w POZ oraz SOR/IP, jak również w warunkach domowych (bez obecności lekarza). Opóźnienie podania koncentratu czynnika krzepnięcia/*desmopresyny* może spowodować znaczny uszczerbek na zdrowiu, a nawet zagrożenie życia. W przypadku pierwszych objawów krwawienia (np. bolesność, niewielki obrzęk, uczucie rozpierania stawu) lub urazów niosących duże ryzyko krwawienia (urazy głowy, brzucha) należy jak najszybciej podać koncentrat czynnika krzepnięcia/*desmopresyny* w odpowiedniej dawce, a dopiero potem rozpocząć niezbędne badania diagnostyczne. Pacjent objęty leczeniem domowym posiada przy sobie lub w domu odpowiedni preparat. Należy go użyć w sytuacji krwawienia lub konieczności podania dawki profilaktycznej.”



ZMIENIAMY MYŚLENIE O HEMOFILII

Kampania edukacyjna
mająca na celu
wsparcie osób
chorujących na hemofilię,
ich rodzin oraz bliskich.



ORGANIZATOR
KAMPANII:



[www. KrokDlaHemofilii.pl](http://www.KrokDlaHemofilii.pl)

SZCZEPIENIA ZALECANE U PACJENTÓW HEMATOLOGICZNYCH

Prof. dr hab. n. med. Iwona Hus, kierownik Kliniki Hematologii Państwowego Instytutu Medycznego MSWiA w Warszawie porusza problem szczepień u pacjentów hematologicznych. Profesor Hus wyjaśnia od czego zależy efektywność szczepień, kiedy jest optymalny czas ich wykonywania oraz omawia szczepionki zalecane u pacjentów hematologicznych.



CZY NALEŻY SZCZEPIĆ PACJENTÓW ONKOHEMATOLOGICZNYCH?

Szczepienia generalnie u wszystkich osób, także zdrowych, są bardzo ważne, ponieważ infekcji jest coraz więcej. Dzięki rozwojowi nauki mamy na nie szczepionki. Ruchy antyszczepionkowców utrudniają jednak ich pełne wykorzystanie w zapobieganiu wystąpienia chorób zakaźnych, szczególnie niekorzystnie wpływając na zwiększenie infekcji w grupach ryzyka, czyli w przypadku pacjentów onkologicznych i hematologicznych.

Wśród pacjentów hematologicznych ryzyko zakażeń jest największe, ponieważ mają oni duże niedobory odporności. Zarówno lekarze, jak i pacjenci zadają wiele pytań odnośnie szczepień: jakie grupy pacjentów onkohematologicznych szczepić, kiedy ich szczepić, na jakim etapie leczenia? Pytania te wynikają z tego, że pacjenci z nowotworami układu krwiotwórczego i chłonnego mają różne ryzyko zakażeń wynikające z samej choroby oraz leczenia, które w różnym stopniu wpływa na upośledzenie odporności.

SKUTECZNOŚĆ KLINICZNA SZCZEPIEŃ

Skuteczność kliniczna szczepień jest trudna do udowodnienia u chorych na nowotwory, między innymi dlatego, że dane które mamy dotyczą głównie osób zdrowych, chociaż coraz częściej prowadzone są obecnie randomizowane badania dotyczące chorych na nowotwory. Większość rekomendacji do szczepień oparta jest na odpowiedzi serologicznej, ale w przypadku szczepień równie ważna jest odpowiedź komórkowa. Mamy bardzo różne grupy chorych i nie u wszystkich

były prowadzone badania skuteczności klinicznej szczepień. Poza tym w ciągu ostatnich lat zmieniają się metody leczenia. W wielu chorobach wychodzimy z ery chemioterapii. Mamy nowe terapie celowane, które często są stosowane w sposób ciągły i bywa, że trudno szczepienia zastosować u chorych, którzy są nimi leczeni.

KIEDY SZCZEPIĆ OPTYMALNIE?

Określenie optymalnego czasu szczepień jest często trudne. Część chorych na nowotwory o powolnym przebiegu (tzw. indolentne) nie wymaga leczenia przez wiele lat od rozpoznania, co pozwala na przeprowadzenie szczepień, jednak stopień protekcji w momencie rozpoczęcia leczenia jest nieznanym. Optymalny czas szczepienia to ten, kiedy chorzy nie są leczeni. U pacjentów nieleczonych w momencie rozpoznania nowotworu powinniśmy rozpocząć program szczepień. Chorzy hematologiczni mają takie same zalecenia do szczepień, jak chorzy onkologiczni. Wiemy, że pacjenci z nowotworami krwi mają głębsze deficyty odporności, ale chorzy na guzy łagodne nie mają innych zasad szczepień. Dotyczy to szczepień przeciw COVID 19, a także innych szczepionek.

U chorych wymagających natychmiastowego leczenia, przeprowadzenie szczepień po ustaleniu rozpoznania jest niemożliwe. W sytuacji, kiedy pacjent wymaga natychmiastowego leczenia, np. w ostrych białaczkach lub agresywnych chłoniakach, musimy zrezygnować ze szczepienia i rozpocząć leczenie. Chyba, że uda się nam zaszczepić pacjenta minimum na dwa tygodnie przed rozpoczęciem leczenia.

Trzeba pamiętać, że szczepionki stosowane u chorych z zaburzeniami odporności, czyli właśnie u chorych na nowotwory, są szczepionkami inaktywowanymi (to znaczy, że nie istnieje ryzyko zakażenia w przypadku niedoboru odporności, tak jak mogłoby się to wydarzyć w przypadku szczepionek żywych). Takie szczepionki należy podać minimum dwa tygodnie przed rozpoczęciem leczenia, żeby ta szczepionka mogła zacząć działać. Podaje się je nie wcześniej niż trzy miesiące po zakończeniu chemioterapii i/lub radioterapii.

W przypadku transplantacji komórek krwiotwórczych szczepimy chorego, jeśli można, po sześciu miesiącach po tym leczeniu, a najwcześniej po trzech miesiącach.

LECZENIE A SKUTECZNOŚĆ SZCZEPIEŃ

Stosowane leczenie ma wpływ na efektywność szczepienia. Leczenie, które wpływa niekorzystnie na skuteczność szczepień to przede wszystkim stosowane w hematologii przeciwciała anty-CD20, ale bardzo wiele innych terapii wpływa również na mniejszą skuteczność szczepień.

U pacjentów leczonych przeciwciałami monoklonalnymi, czyli między innymi *rytuksymabem*, uważa się, że potrzeba minimum sześć miesięcy, ale w dobie COVID-19 w wielu badaniach wykazano, że jeszcze po roku trudno było wyindukować odpowiedź na szczepienie przeciw COVID-19.

Immunizacja szczepionkami inaktywowanymi może być prowadzona w okresie leczenia podtrzymującego lub mniej intensywnego przeciwnowotworowego. jednak nie można traktować jej jako równoważną ze szczepieniami osób z prawidłowym układem odporności. Nawet jeśli u części chorych nie uzyskamy odpowiedzi lub jeśli uzyskamy mniejszą odpowiedź, to i tak chory odniesie korzyść ze szczepienia.

Przeciwwskazane jest podawanie pacjentom hematologicznym szczepionek żywych przeciwko: np. BCG, półpaścowi, i doustnych szczepionek przeciw polio.

Niektóre szczepionki żywe inaktywowane możemy stosować, ale trzeba pamiętać, że musi upłynąć odpowiedni czas od zakończenia leczenia. Są to szczepionki przeciwko: wirusowi żółtej febry, ospy wietrznej/półpaśca (VZV), a także z niskim mianem wirusa świnki, odry i różyczki.

SZCZEPIENIA PRZECIWKO GRYPIE

Szczepienia, które mają najwyższy stopień rekomendacji, to szczepienia na grypę.

Należy pamiętać o tym o tym, że u pacjentów chorych na nowotwory częstość hospitalizacji z powodu grypy jest czterokrotnie większa, a śmiertelność jest dziesięciokrotnie większa w porównaniu do zdrowej populacji.

Szczepienia sezonowe przeciwko grypie to standardowo jedna dawka szczepionki inaktywowanej. Istnieją dane o korzystnym efekcie podania drugiej dawki szczepionki u części pacjentów, którzy nie odpowiadają na pierwszą dawkę. Na przykład w przypadku szpiczaka zaleca się w odstępie miesiąca podanie dwóch dawek.

W przypadku pacjentów hematologicznych siła dowodów na skuteczność szczepionek przeciw grypie nie jest tak duża jak w przypadku zdrowej populacji, ale uważa się, że zmniejszają one śmiertelność i częstość powikłań. Nie chodzi o samo uniknięcie zakażenia wirusem, zachorowania na grypę, ale o zapobieżenie możliwego wystąpienia poważnych powikłań, na przykład zapalenia mięśnia sercowego, czy wtórnego nadkażenia bakteryjnego. Dane wskazują na przewagę korzyści nad ryzykiem szczepień na grypę u pacjentów onkohematologicznych.

SZCZEPIENIE PRZECIW PNEUMOKOKOM

Drugą szczepionką, która ma bardzo dużą siłę rekomendacji jest szczepienie przeciw pneumokokom. Jest to najczęstszy patogen wywołujący zapalenie płuc nie tylko u osób chorych na nowotwory hematologiczne, ale ogólnie na nowotwory. Jest to generalnie szczepionka zalecana u osób powyżej 65. roku życia. Większość szczepień jest zalecana u małych dzieci i potem ta populacja znowu wrażliwa, to są chorzy powyżej 65. roku życia. To okienko pomiędzy 18. a 65. rokiem życia, to są chorzy z zaburzeniami odporności, których należy szczepić. Jeżeli popatrzymy na chorych na nowotwory hematologiczne, to ryzyko inwazyjnej choroby pneumokokowej, bo tego się boimy, nie miejscowych zmian wywołanych przez pneumokoki, jest 35 razy większe, a największe u chorych na szpiczaka, ponieważ to jest 65 razy większe ryzyko w porównaniu do zdrowej populacji. Odpowiedź jest gorsza, chociaż większość

rekomendacji ogólnie takie szczepienia u chorych na nowotwory zaleca.

Mamy tutaj dwie opcje. Szczepienie jednorazowe najnowszą szczepionką skoniungowaną przeciw 20 serotypom, czyli szczepionką PCV20 lub w dwóch etapach; najpierw szczepionką PCV13 i po 8 tygodniach podanie szczepionki polisacharydowej PPSV23 w celu poszerzenia spektrum odporności.

SZCZEPIENIA PRZECIWKO WIRUSOWEMU ZAPALENIU WĄTROBY TYPU B

Szczepienia te są zalecane u pacjentów na przewlekłe choroby wymagające hospitalizacji oraz przetoczeń preparatów krwiopochodnych, którzy nie posiadają ochronnego miana przeciwciał anty-HBs oraz anty HBs-AG(-) oraz anty HBc(-).

Mamy program szczepień WZW już u noworodków. Młode osoby, to w większości zaszczepieni pacjenci. Jeżeli chodzi o starsze osoby, część pacjentów jest zaszczepiona, ponieważ mieli np. zabiegi operacyjne, ale część osób nie była szczepiona. W związku z tym u naszych pacjentów onkohematologicznych sprawdzamy miano przeciwciał poszczepiennych, czyli anty-HBs. Ewentualnie można doszczepić pacjenta. Natomiast przed rozpoczęciem wielu metod leczenia, które wiążą się z ryzykiem reaktywacji wirusa WZW B musimy wykonać badania w kierunku antygeny i przeciwciał anty-HBc total.

U pacjentów onkohematologicznych rekomendowany jest schemat dla osób z obniżoną odpornością (0, 1, 2, 6 miesięcy). Schemat tzw. przyspieszony (1-7-21 dni) cechuje się niską skutecznością na poziomie nie przekraczającym 30%. Jest on zalecany pacjentom, którzy mają być poddani operacji, nie dotyczy chorych na nowotwory.

Należy liczyć się z możliwością niewytworzenia ochronnego miana przeciwciał lub ich szybkiego obniżania się. W sytuacji braku odpowiedzi można schemat powtórzyć z zastosowaniem podwójnej dawki szczepionki (40 mg). W przypadku obniżenia stężenia antyciał-HBs < 10 IU/l zaleca się podanie dawki przypominającej.

Jeżeli wyniki sugerują, że pacjent przebył WZW typu B, powinien otrzymywać leki, które zmniejszą ryzyko reaktywacji.

WIRUS SARS-COV-2 (COVID19)

Wiemy, że ten wariant wirusa, który jest teraz dominujący nie ma tak ciężkiego przebiegu. Atakuje on bardziej górne drogi

oddechowe, niż płuca. Jednak chorzy z zaburzeniami odporności mogą mieć ciężki przebieg tej choroby. Może ona u pacjentów hematologicznych opóźniać rozpoczęcie chemioterapii.

Chorzy na nowotwory mają większe w porównaniu do populacji ogólnej ryzyko COVID-19. U pacjentów z białaczkami jest ono 11 razy większe, a u chorych na chłoniaki 8 razy i wiąże się ono z większą częstością hospitalizacji i śmiertelnością.

Odpowiedź poszczepienna jest słabsza u chorych na nowotwory hematologiczne w porównaniu do populacji ogólnej, ale takie szczepienia są zalecane. Pamiętajmy też o szczepieniach otoczenia: służby zdrowia, rodzin i bliskich osób, które przebywają z tymi pacjentami.

SZCZEPIONKA PRZECIW PÓŁPAŚCOWI (VZV)

Nową szczepionką wprowadzoną w tym roku, zlecaną także pacjentom onkohematologicznym jest szczepionka przeciwko półpaścowi. Częstość występowania półpaśca u osób z nowotworami układu krwiotwórczego i chłonnego, otrzymujących leczenie przeciwnowotworowe (immunosupresyjne) jest do 10 razy większa niż w całej populacji (31 na 1000 osobolat w porównaniu z 3,2 na 1000 osobolat). Półpasiec występuje nawet u 1/4 chorych na nowotwory układu chłonnego, a więc u pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym, przewlekłą białaczką limfocytową, chłoniakiem Hodgkina i chłoniakami nie Hodgkina.

Półpasiec wywoływany jest przez wirus ospy wietrznej – półpaśca. Na półpaśca chorują osoby, które przebyły wcześniej zakażenie wirusem ospy wietrznej. Półpasiec może mieć przebieg nawrotowy. Jeżeli ktoś raz zachoruje na półpaśca, nie znaczy, że nie zachoruje ponownie. To czego się boimy w przypadku półpaśca, to znacznie poważniejszych powikłań niż tych, które występują u osób zdrowych. Chociaż ból neuropatyczny u osób zdrowych też może w bardzo dużym stopniu wpływać na upośledzenie jakości życia. Boimy się półpaśca ocznego i usznego, ponieważ układ odpornościowy nie panuje nad tą infekcją.

Choroby, które wiążą się z ryzykiem zachorowania na półpaśca to także immunosupresja jatrogena. W tej grupie będziemy mieć pacjentów po przeszczepach, pacjentów leczonych z powodu chorób autoimmunologicznych, będziemy mieć chorych zakażonych wirusem HIV. Zwiększone ryzyko zachorowania na półpaśca dotyczy chorych na nowotwory hematolo-

giczne i onkologicznych, a także pacjentów po transplantacjach i chorych z przewlekłymi chorobami serca, wątroby, płuc, nerek. Czynniki zwiększające ryzyko półpaśca, to także cukrzyca i depresja.

Od 1 stycznia 2024 roku w Polsce jest refundowana szczepionka rekombinowana przeciw półpaścowi czyli Shindrix. Refundacja wynosi 50% tak, jak w przypadku innych szczepień u dorosłych.

Wskazaniem do szczepienia jest profilaktyka półpaśca i neuralgii półpaścowej. Jest to bardzo silny ból, z powodu którego pacjenci wymagają leczenia w poradni bólu. Są to też osoby w wieku 65 lat i starsze, które dodatkowo mają następujące czynniki ryzyka: nowotwory hematologiczne, guzy łite, choroby autoimmunologiczne, RZS, nieswoiste zapalenia jelit, zeszytniające zapalenie stawów kręgosłupa, stwardnienie rozsiane, toczeń układowy. To są pacjenci, którzy otrzymują leczenie immunosupresyjne po przeszczepieniu narządów lub komórek krwiotwórczych. Chorzy, których układ odporności nie funkcjonuje prawidłowo, nie jest w stanie zwalczyć zakażenia wirusowego.

Szczepionka przeciw półpaścowi zalecana jest przez towarzystwa naukowe wszystkim osobom powyżej 50 roku życia, ponieważ wiek też jest poważnym czynnikiem ryzyka.

Wraz z nim zmniejsza się odporność organizmu na choroby zakaźne. Pacjenci pomiędzy 18. a 50. rokiem życia, którzy mają zaburzenia odporności, też powinni być szczepieni przeciw półpaścowi.

SZCZEPIONKA PRZECIW RSV

Drugą nową szczepionką, która też jest już dostępna w Polsce dla osób 65 lat i starszych jest szczepionka na RSV (syncytialny wirus oddechowy).

RSV to wysoce zakaźny wirus, który najczęściej współistnieje z innymi wirusami układu oddechowego występującymi sezonowo. Jest on ważną przyczyną chorób układu oddechowego u niemowląt, małych dzieci i osób starszych oraz osób starszych z chorobami przewlekłymi.

Po COVID-19 wiemy trochę więcej o zakażeniach wirusowych. Wiemy, że mamy test combo przeciwko trzem chorobom zakaźnym, czyli: grypie, COVID-19 i RSV. Jest to test do samodzielnego użycia, który można kupić w aptece. Stosujemy testy, ale przede wszystkim szczepmy się, zwłaszcza jeśli mamy niższą odporność z powodu choroby hematoonkologicznej.

PODZIĘKOWANIE

Szanowna Pani Profesor

Dziękujemy za wspieranie organizacji pacjentów hematologicznych w działaniach na rzecz poprawy jakości opieki nad pacjentami z nowotworami układu krwiotwórczego i pacjentami z chorobami krwi. Jesteśmy wdzięczni za możliwość prezentowania naszych stanowisk podczas konferencji pacjentów organizowanych na Zjazdach Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów w czasie, gdy pełniła Pani funkcję prezesa tej organizacji. Doceniamy Pani poparcie dla inicjatyw naszych organizacji, m.in. w przygotowanie raportów przedstawiających sytuację polskiej hematologii, a także Pani zaangażowanie w edukację pacjentów. Pani głos na forach publicznych na temat naszych problemów i potrzeb pomagał nam w uzyskaniu dostępu do innowacyjnych terapii będących podstawą w leczeniu pacjentów hematoonkologicznych. Dziękując Pani za dotychczasową partnerską współpracę w roli prezesa PTHiT, jesteśmy przekonani, że nadal możemy liczyć na Pani wsparcie jako wybitnego naukowca, osoby o ogromnej wiedzy w obszarze hematologii, ale przede wszystkim lekarza. Pani wiedza i empatia jest dla nas nieustająco bardzo cenna i potrzebna.

red. Aleksandra Rudnicka

KAMPANIA „CODZIENNE WYZWANIA DZIECI CHORYCH NA HEMOFILIĘ I ICH RODZICÓW”

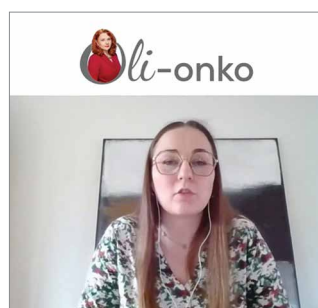


Fundacja Sanguis Hemofilia i Pokrewne Skazy Krwotoczne przygotowała kampanię „Codzienne wyzwania dzieci chorych na hemofilię i ich rodziców”. W ramach kampanii powstało 7 podcastów – rozmów z rodzicami i ekspertami. Partnerem medialnym kampanii jest oli-onko.pl

Kampania jest prowadzona na social mediach Fundacji Sanguis Hemofilia i Pokrewne Skazy Krwotoczne: Facebooku, stronie i YOU TUBE, a także na platformie medialnej oli-onko: vlogu www.oli-onko.pl, You Tube i Facebooku oli-onko.



EWELINA MATUSZAK,
mama 1,5-letniego Leosia,
prezes Fundacji Sanguis
Hemofilia i Pokrewne Skazy
Krwotoczne.



KAROLINA JASIŃSKA,
mama 4-letniego Jasia
i 2,5-letniego Feliksa.

CO TRZEBA ZMIENIĆ W LECZENIU DZIECI Z HEMOFILIĄ

Ewelina Matuszak, jako córka hemofilika, doskonale pamięta, jak wyglądało życie z tą chorobą jej ojca, kiedy nie było skutecznego leczenia. Obecnie w Polsce na hemofilię choruje 6000 osób, w tym 350 dzieci z ciężką postacią hemofilii A i 50 z postacią hemofilii B. Hemofilia to choroba związana z występowaniem wrodzonych skazy krwotocznych.

W Polsce w ramach programu profilaktycznego B.15 dzieci mogą być leczone rekombinowanym koncentratem czynnika krzepnięcia długo działającym bądź krótko działającym. Jednak w rzeczywistości do tego pierwszego – długo działającego – nie mają dostępu, a to oznacza, że muszą dożylnie przyjmować czynnik krzepnięcia dwa, trzy razy w tygodniu zamiast np. raz czy dwa razy w miesiącu.

Polska jest jedynym krajem w Unii Europejskiej, w którym dzieci z hemofilią nie mają realnego dostępu do czynników krzepnięcia o przedłużonym działaniu. Od kilku lat jest także lek podawany podskórnie. Mimo że jest on drogi, na jego refundację zdecydowały się 23 z 27 państw w Europie. U nas jest on dostępny dla około 20 pacjentów pediatrycznych, a potrzebuje go 70. Niektórzy eksperci uważają, że zastosowanie portów rozwiązuje problem z podawaniem leku. Niestety, jak to wynika to z doświadczenia rodziców, nie jest to prawdą – założenie portu na kilka miesięcy a używanie go przez całe życie, to ogromna różnica.

HEMOFILIA – TA SAMA CHOROBA INNE LECZENIE, INNE ŻYCIE

Obydwaj synowie Pani Karoliny 4-letni Jaś i 2,5-letni Feliks są chorzy na hemofilię. Feliks ma lek podawany dożylnie, co wiąże z 2 lub 3 podaniami tygodniowo. Jaś ma lek podawany podskórnie, Pani Karolina z własnego doświadczenia wie, jaka jest różnica w jakości życia dzieci leczonych lekami podawanymi w tak różny sposób i jak jest różnica w wyzwaniach w opiece nad nimi.

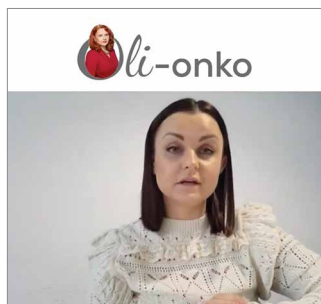


WOJCIECH BALAWEJDER,
tata 8-letniego Bartka.

NASZA CODZIENNOŚĆ DOSTOSOWANA JEST DO PODAWANIA LEKU SYNOWI

Wojciech Balawejder, mówi jakie były pierwsze objawy choroby u jego synka, jeszcze w wieku niemowlęcym. Przedstawi trudności, które wraz z żoną musieli pokonać, by podawać

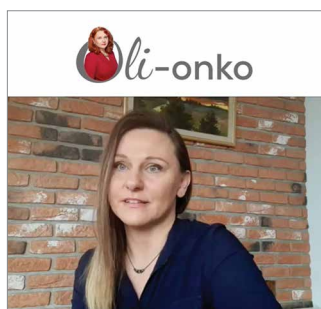
dożylnie lek o działaniu profilaktycznym dziecku, a także o decyzji o założeniu portu do wlewów Bartkowi. Niestety nie zmieniła ona traumatycznej sytuacji związanej z leczeniem Bartka. Spełniły się najgorsze obawy związane z portem, który trzeba było usunąć operacyjnie. Urwanie portu, pobyt w szpitalu wpłynęły bardzo źle na psychikę Bartka, który nie może zaakceptować tej procedury.



EWA MIRUS,
mama 4-letniego Nikodema.

WRÓCIŁIMY DO TEGO SAMEGO PUNKTU

Ewa Mirus, opowiada o trudnościach związanych z podawaniem leku synkowi, u którego dożylna terapia kilka razy w tygodniu doprowadziła do tego, że chłopiec boi się i unika każdego dotyku, nie chce się przytulić do bliskich osób. Założenie portu dziecku nie podniosło komfortu jego leczenia. Pani Ewa zwróciła się o pomoc do psychologa. Psychoterapia powoli zmieniła reakcję Nikosia na leczenie. Niestety, kiedy port się zatkał, uraz powrócił. Nikoś i jego mama nadal muszą mierzyć się z dożylną terapią, ponieważ sam uraz psychiczny nie jest kryterium kwalifikacji dzieci z hemofilią do profilaktyki podskórnej.

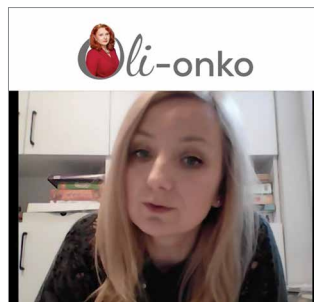


ANNA JELSKA,
mama 6-letniego Ignacego
i 18-letniego Mateusza.

HEMOFILIA U PROGU DOROSŁEGO ŻYCIA

Pani Anna Jelska ma dwóch synów chorych na hemofilię: 6-letniego Ignacego i 18-letniego Mateusza. Mateusz jest więc już osobą u progu dorosłego życia. Chłopiec i jego rodzice wraz z dorastaniem syna mierzyli się z problemami, które trzeba było rozwiązać, aby mógł on chodzić do szkoły, jeździć na wycieczki ze swoją klasą, podróżować zagranicę. Słowem, mimo choroby prowadzić takie życie jak jego rówieśnicy. Psychiczne trudności związane z chorobą nasiliły się zwłaszcza w okresie dojrzewania. Ogromne wyzwanie pojawiło się, kiedy Mateusz zamieszkał w internacie i musiał nauczyć się sam podawać sobie lek. Obecnie Mateusz jest pod opieką lekarzy,

którzy leczą dorosłych; także to przejście, nie było dla niego łatwe.



Mgr AGNIESZKA PIŁAT,
psycholog i psychoterapeuta.

W HEMOFILII POMOC PSYCHOLOGA DLA PACJENTÓW I ICH BLISKICH JEST NIEZBĘDNA

Mgr Agnieszka Piłat mówi o najważniejszych wyzwaniach, jakie stoją przed małymi pacjentami z hemofilią i ich rodzinami, o problemach, które pojawiają się u nastoletnich pacjentów z hemofilią w wieku dojrzewania i młodych dorosłych. Zaznacza, że hemofilia to choroba specyficzna, której leczenie nie polega na połykaniu tabletki, ale u większości pacjentów wiąże się z podawaniem leku dożylnie lub przez port przez całe życie. Ma to wpływ na przykre, często bolesne doznania fizyczne małych pacjentów. Taki bardzo obciążający sposób leczenia ma też znaczenie dla rozwoju dziecka, dla psychiki jego rodziców, funkcjonowania całej rodziny. Dlatego w hemofilii pomoc psychologa dla pacjentów i ich bliskich jest niezbędna.



**Prof. dr hab. n.med.
JAN STYCZYŃSKI,**
konsultant krajowy
w dziedzinie onkologii
i hematologii dziecięcej.

PROGRAM LEKOWY DLA DZIECI Z HEMOFILIĄ WYMAGA ZMIAN

Prof. dr hab. n. med. Jan Styczyński podkreśla, że program lekowy dla dzieci z hemofilią w Polsce daleki jest aktualnych standardów leczenia tej choroby w Europie, gdzie dostępne są nowoczesne terapie o przedłużonym czasie działania. Ich zastosowanie umożliwia zmniejszenie dożylnego podawanie leków z dwóch, czy trzech razy w tygodniu do podażi raz na dwa czy kilka tygodni. W 23 z 27 państw europejskich refundowany jest także lek podawany podskórnie. W Polsce otrzymuje go tylko 23 małych pacjentów, a jest on potrzebny dla 70 dzieci z hemofilią. Dostęp do leków o przedłużonym czasie działania i leków podskórnych zmieniłby jakość życia małych pacjentów i ich rodzin, pozwoliłby lekarzom na zlecenie terapii dostosowanych do potrzeb i stanu klinicznego chorych.

CHCEMY, ŻEBY BYŁO FAJNIE

Stowarzyszenie na Rzecz Dzieci z Chorobami Krwi w Lublinie jest jedną z najstarszych organizacji pozarządowych w makroregionie lubelskim, zostało założone w kwietniu 1991 roku. Osoby działające w Stowarzyszeniu dokładają starań, aby pobyt na oddziale nie był przez dzieci kojarzony tylko z leczeniem, ale także z miłymi chwilami, żeby dzieci wspominając o szpitalu mówiły, że było fajnie.

Celem statutowym naszych działań jest opieka nad dziećmi dotkniętymi chorobami krwi i chorobami rozrostowymi, ich rodzinami oraz udzielanie im pomocy. Stowarzyszenie obejmuje opieką wszystkie dzieci z chorobami krwi i chorobami nowotworowymi, które leczone są w Klinice Hematologii, Onkologii i Transplantologii Dziecięcej UM w Dziecięcym Szpitalu Klinicznym w Lublinie wraz z rodzicami i zdrowym rodzeństwem.

Od ponad 30 lat działamy dla naszych podopiecznych, dbając o poprawę warunków ich leczenia. Staramy się, aby czas spędzony na oddziale szpitalnym nie kojarzył się dzieciom tylko z leczeniem, ale też z przyjemnymi chwilami. Organizujemy 3 razy w tygodniu zajęcia arteterapii oraz warsztaty tematyczne dla dzieci. Razem celebруем urodziny i święta.

Rozwijamy akcję pod hasłem „Gwiazdy na Rzecz Dzieci”, która ma na celu organizację na oddziale spotkań ze znanymi osobami. Chcemy, żeby dzieci mogły na żywo spotkać osoby, które ich rówieśnicy spotykają na stadionach sportowych, w kinie czy na koncertach. Do tej pory naszych podopiecznych odwiedzili m.in.: zawodnicy Platinum Motor Lublin (dwukrotny Mistrz Polski) razem z mistrzem świata Bartoszem Zmarzlikiem, mistrzynią Polski z MKS Funfloor Lublin, mistrzynią Polski AZS UMCS Lublin. Chcemy rozwijać ten projekt, ponieważ widzimy, że sprawia on ogromną radość naszym podopiecznym oraz ich rodzicom. Dzieci dostają autografy, upominki i robią sobie zdjęcia, którymi później mogą pochwalić się przed rówieśnika-

Kiedyś w trakcie takiej akcji usłyszałam piękne zdanie od młodej pacjentki „Wie pani dlaczego ja robię tyle zdjęć, bo chcę pokazać moim kolegom i koleżankom, że tu też jest fajnie”. To hasło przyświeca nam przy organizacji kolejnych spotkań i atrakcji, mimo tego że jest to szpital i ciężkie leczenie, chcemy, żeby było fajnie.



**STOWARZYSZENIE NA RZECZ
DZIECI Z CHOROBYMI KRWI
W LUBLINIE**



Spotkanie z Platinum Motor Lublin, na zdjęciu Bartosz Zmarzlik, jedyne Polak w historii, który aż czterokrotnie wygrał Indywidualne Mistrzostwa Świata na żużlu, wielokrotny medalista innych rozgrywek żużlowych

mi. Liczymy, że kolejne znane osoby przyjmą nasze zaproszenie.

Od 2022 roku na oddziale, dzięki otrzymanemu wsparciu z Fundacji DKMS, zakupiliśmy okulary VR. Dzięki okularom i prowadzonym warsztatom dzieci podczas kilkumiesięcznej hospitalizacji mogą robić to, na co mają ochotę, zwiedzają świat i odkrywają nowe pasje. Dzięki temu projektowi nawet lot w kosmos jest możliwy, a po podróży pełnej przygód można poleżeć na tropikalnej plaży słuchając szumu morza. Okulary są elementem prowadzonej psychoterapii.

W ostatnim czasie przeprowadzono remont oddziału. Przy wsparciu sponsorów zebraliśmy środki na zakup nowego wyposażenia. Powstała piękna sala „Spizarnia talentów”, gdzie odbywają się warsztaty i spotkania oraz kuchnia dla rodziców. Na oddziale została zamontowana podłoga interaktywna, dzięki której dzieci rehabilitowane są przez zabawę.

Aktualnie czekamy na nowe wyposażenie sal dla pacjentów.

Te wszystkie wprowadzone zmiany przyczyniają się do podniesienia jakości leczenia dzieci. Mają pozytywny wpływ na ich samopoczucie psychiczne podczas hospitalizacji, co przekłada się na lepsze efekty leczenia. Jako Stowarzyszenie pragniemy dalej się rozwijać i podnosić poziom naszej opieki pozamedycznej.



Zabawa na podłodze interaktywnej w świetlicy oddziałowej



Okulary VR dostępne dla rodziców i dzieci przebywających na Oddziale



Świetlnica oddziałowa Spizarnia talentów



„DOBRO W GENACH”

Fundacja „Na Ratunek Dzieciom z Chorobą Nowotworową” zaprosiła 8 lutego br. do Centrum Nauki Kopernik na Wieczór Dobroczyńności i Nauki „Dobro w genach”. Na spotkaniu przedstawiono działania prowadzone przez Fundację w celu zapewnienia wszechstronnego wsparcia dzieciom, nastolatkom oraz ich rodzinom w chorobie nowotworowej.

Zorganizowany przez Fundację „Na Ratunek Dzieciom z Chorobą Nowotworową” wieczór pokazał moc systematycznego, ukierunkowanego wsparcia na rzecz zwiększania efektywność diagnozowania i poprawy jakości leczenia małych pacjentów, którego przykładem jest Program Grantowy stworzony z inicjatywy Fundacji przy współpracy z Polskim Towarzystwem Onkologii i Hematologii Dziecięcej.

Trwająca i rozwijająca się współpraca z biznesem jest kluczowa dla realizacji ambitnych planów Fundacji, opartych o wspólne wartości i wizję świata, w którym nowotwór będzie chorobą uleczalną dla wszystkich dzieci.

Podczas spotkania prof. dr hab. n. med. Agata Pastorczał przedstawiła prezentację o innowacjach w diagnozowaniu nowotworów u dzieci. Spotkanie uświetnił koncert znakomitej wokalistki jazzowej Agi Zaryan. Jak przystało na wieczór dobroczynności, odbyła się też akcja dzieł sztuki i przedmiotów ofiarowanych przez artystów i sportowców, z której dochód został przekazany na rzecz statutowych działań Fundacji.



Wystąpienie dr Anny Apel, prezes Fundacji „Na Ratunek Dzieciom z Chorobą Nowotworową”



na ratunek dzieciom
z chorobą nowotworową FUNDACJA

ST. JUDE GLOBAL ALLIANCE

Anna Apel – prezes Zarządu Fundacji „Na Ratunek Dzieciom z Chorobą Nowotworową”, członek Zarządu europejskiej organizacji PanCare, członek zespołu „Ozdrowieńcy” Childhood Cancer International Europe; doktor ekonomii, ukończyła Sustainable Business Strategies na Harvard Business School oraz Sustainable Finance we Frankfurt School of Management.



WSZYSTKIE DZIECI NA CAŁYM ŚWIECIE POWINNY MIEĆ TAKĄ SAMĄ SZANSĘ NA ŻYCIE

St. Jude Global Alliance zrzesza podmioty i instytucje zaangażowane we wspólną wizję poprawy jakości opieki zdrowotnej i zwiększenia wskaźnika przeżywalności dzieci z nowotworami i chorobami krwi na całym świecie. Ta międzynarodowa sieć skupia ponad 200 członków w ponad 82 krajach świata. W 2023 roku dołączyła do niej Fundacja „Na Ratunek Dzieciom z Chorobą Nowotworową”.

ST. JUDE I ST. JUDE GLOBAL ALLIANCE

St. Jude Children's Research Hospital to jeden z największych i najbardziej renomowanych szpitali na świecie zajmujących się badaniami nad nowotworami u dzieci. Szpital jest organizacją *non-profit* i nie obciąża rodzin kosztami leczenia. Co roku zapewnia opiekę dla ok. 8 600 pacjentów z całego świata. Przez ostatnie 60 lat badania i metody leczenia stosowane w St. Jude pozwoliły na poprawę wskaźnika przeżywalności pediatrycznych pacjentów onkologicznych w USA z poziomu 20% do 80%, a w przypadku niektórych rodzajów nowotworów nawet do 94%. W St. Jude na leczenie mogą liczyć wszyscy pacjenci, niezależnie od rasy, wyznania czy możliwości finansowych. W ramach globalnej misji ratowania dzieci na całym świecie szpital zainwestował ponad 100 milionów dolarów w inicjatywę międzynarodową.

Od 2018 roku działa też St. Jude Global Alliance. To światowy ruch prowadzący program walki z nowotworami u dzieci, skupiający osoby i instytucje zaangażowane we wspólną wizję poprawy jakości opieki zdrowotnej i zwiększenia wskaźnika

przeżywalności dzieci z nowotworami i chorobami krwi na całym świecie. Zarówno St. Jude, jak również członkowie St. Jude Global Alliance podejmują inicjatywy w zakresie rozwoju kompetencji, edukacji i działalności badawczej. Łączy ich przekonanie, że wszystkie dzieci na całym świecie powinny mieć taką samą szansę na życie.

Partnerstwo z St. Jude Global Alliance jest dla nas bardzo ważne – mówi dr Anna Apel, prezes Zarządu Fundacji „Na Ratunek Dzieciom z Chorobą Nowotworową”. Nasza Fundacja już dziś finansuje badania, współtworzy bazę nowotworów dziecięcych do celów medycznych i naukowych. Partnerstwo z innymi podmiotami oraz instytucjami w ramach globalnej sieci St. Jude Global Alliance otwiera nowe szanse na wymianę wiedzy, doświadczeń, możliwość współpracy w gronie osób i podmiotów, które łączy wspólna wartość, jaką jest zdrowie i życie dzieci chorych onkologicznie.

W grudniu 2023 roku odbyła się doroczna konwencja St. Jude Global Alliance Convening 2023, podczas której w gronie przedstawicieli świata nauki, medycyny, organizacji pacjentów wymieniano się pomysłami, dobrymi praktykami, debatowano o tym, jak zapewnić najlepsze możliwe wsparcie dzieciom chorym na nowotwór.

Uważamy, że tylko w takim dialogu, między organizacjami, decydentami i kluczowymi interesariuszami z wielu dziedzin, możemy jako Fundacja urzeczywistniać wizję świata, w którym wszystkie dzieci pokonają nowotwór i będą miały szansę na wolne od choroby dzieciństwo – dodaje dr Anna Apel.

KONFERENCJA HEMATOLOGIA DLA PACJENTÓW

w ramach XXXI Zjazdu Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów



Od lewej: prof. Artur Kowalik, prof. Iwona Hus, red. Aleksandra Rudnicka, prof. Ewa Lech-Marañda, członkini Zarządu Stow. Hematoonkologiczni – Katarzyna Lisowska, prof. Piotr Radziwon, prezes Ewelina Matuszak

W ramach XXXI Zjazdu Hematologów i Transfuzjologów 14 września 2023 r. w Katowicach odbyła się III Konferencja Organizacji Pacjentów Hematologicznych pod hasłem – HEMATOLOGIA DLA PACJENTÓW.

W wydarzeniu uczestniczyło 30 liderów reprezentujących pacjentów z chorobami krwi – dzieci i dorosłych. Gośćmi konferencji byli: **prof. Ewa Lech-Marañda** – konsultant krajowa w dziedzinie hematologii, **prof. Piotr Radziwon** – konsultant krajowy w dziedzinie transfuzjologii klinicznej, **prof. Artur Kowalik** – kierownik Zakładu Diagnostyki Molekularnej ŚCO w Kielcach oraz przedstawicielki pacjentów **Katarzyna Lisowska** ze Stowarzyszenia Hematoonkologiczni i **Ewelina Matuszak**, prezes Fundacji SANGUIS I Hemofilia i Pokrewne Skazy Krwotoczne. Debatę moderowały **prof. Iwona Hus** – prezes Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów oraz **red. Aleksandra Rudnicka**.

Tematami poruszonymi na konferencji były: projekt pilotażu Krajowej Sieci Hematologicznej, zmiany organizacyjne dotyczące krwiolecznictwa i transfuzjologii, znaczenie pierwszej linii leczenia oraz terapii określonych w czasie w leczeniu nowotworów krwi, zapewnienie diagnostyki molekularnej w hematologii, refundacja leczenia chelatującego w postaci tabletek u pa-

cientów poddawanych transfuzjom oraz szczepień u chorych po transplantacjach komórek macierzystych szpiku, a także dostępność do nowoczesnych terapii dla pacjentów z hemofilią. W drugiej części konferencji **Anna Apel** – prezes Fundacji „Na Ratunek Dzieciom z Chorobą Nowotworową”, **Ewa Nawrot** – koordynator ds. Współpracy z Organizacjami Pacjentów Fundacji DKMS, **Jolanta Czernicka-Siwecka** – prezes Fundacji ISKIERKA i **Natalia Bursiewicz** – prezes Fundacji ACTIV RICOVERY przedstawiły działania swoich organizacji na rzecz zmian systemowych i wsparcia pacjentów hematologicznych. Konferencji towarzyszyły warsztaty, podczas których **prof. Wiesław W. Jędrzejczak** przedstawił najnowsze terapie hematologiczne, a **dr Tomasz Czerw** nowe rodzaje przeszczepień komórek macierzystych i nowe wskazania w terapii CAR-T. Liderzy organizacji pacjentów wzięli udział w corocznym spotkaniu, w czasie którego zastanawiali się nad tym, jaka powinna być definicja organizacji pacjentów oraz dzielili się swoimi doświadczeniami w działaniach na rzecz zmian systemowych w ochronie zdrowia.

Organizatorami Konferencji były: Polskie Towarzystwo Hematologów i Transfuzjologów oraz Stowarzyszenie SANITAS.



POLSKIE TOWARZYSTWO
HEMATOLOGÓW
I TRANSFUZJOLOGÓW



PARTNERZY



