HEMATOLOGIA DLA PACJENTA

Nr 1/Wrzesień 2023

Krajowa Sieć Hematologiczna
red. Aleksandra Rudnicka

Diagnostyka genetyczna w hematologii
prof. Artur Kowalik

Chłoniaki, jak je leczymy
prof. Iwona Hus

Bezpieczeństwo krwi – bezpieczeństwo pacjenta
prof. Emilian Snarski

Leki chelatujące
dr Katarzyna Budziszewska

III Konferencja Pacjentów Hematologicznych

14 września 2023 r., Katowice

Od Redakcji

Zapraszam do lektury pierwszego numeru HEMATOLOGII DLA PACJENTA – czasopisma, które powstało z myślą o pacjentach, którzy mierzą się z chorobami krwi i o ich bliskich. Mam nadzieję, że pomoże ono Wam odnaleźć się w meandrach skomplikowanego systemu ochrony zdrowia, że znajdziecie w nim wiedzę o najnowszych terapiach hematologicznych, a także porady jak zachować jakość życia w chorobie i radzić sobie z działaniami niepożądanymi leków. Jestem przekonana, że największym wsparciem dla Was będą historie, w których pacjenci i ich opiekunowie dzielą się swoim doświadczeniem życia z chorobą hematologiczną.

Moją ambicją jest też, aby HEMATOLOGIA DLA PACJENTA stała się platformą integracji organizacji wspierających chorych z chorobami hematologicznymi. Łamy tego pisma są dla Was otwarte. Piszcie o tym, co robicie w swoich organizacjach, dzielcie się dobrymi praktykami, zapraszajcie do wspólnych działań na rzecz dobra pacjentów hematologicznych – tych małych, tych dorosłych i tych w wieku senioralnym.

Czasopismo to jego autorzy. Jesteście nimi Wy – pacjenci, ale nie mogłoby ono istnieć, nie miałoby merytorycznej wartości bez wiedzy, którą przekazują nam bezinteresownie eksperci. Są to specjaliści z dziedziny hematologii, transfuzjologii, ale także leczenia wspierającego – medycyny paliatywnej, dietetyki klinicznej, psychologii. Zależy im na ta tym, aby pacjenci byli wyedukowani na temat swojej choroby i życia z nią, ponieważ u takich chorych proces leczenia przebiega łatwiej, lepiej się z nimi współpracuje.

W tym numerze przeczytacie artykuły niektórych z naszych ekspertów: prof. Iwony Hus o najnowszych metodach leczenia chłoniaków, prof. Tomasza Sachy o leczeniu pacjentów z oporną postacią przewlekłej białaczki szpikowej, prof. Artura Kowalika o diagnostyce genetycznej w hematologii. W dziale o jakości życia w chorobie dr Katarzyna Budziszewska pisze o roli terapii chelatujących u pacjentów uzależnionych od przetoczeń krwi, a prof. Emilian Snarski o metodach zapewniających bezpieczeństwo krwi, a tym samym bezpieczeństwo leczonych nią pacjentów.

Swoimi historiami dzielą się Ewelina Matuszak, która opowiada o doświadczeniach matki dziecka chorego na hemofilię i Ilona Roszkowska-Rzemieniecka, pacjentka z nocną napadową hemoglobinurią, chorobą która występuje u jednego pacjenta na milion. Swoje działania na rzecz pacjentów opisują Fundacja „Na Ratunek Dzieciom z Chorobą Nowotworową" oraz Fundacja DKMS.

Pierwszy numer HEMATOLOGII DLA PACJENTA został wydany z okazji III Konferencji Pacjentów Hematologicznych, która jest organizowana w ramach XXXI Zjazdu Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów. Dziękujemy za zaproszenie, jesteśmy zaszczyceni, że po raz kolejny możemy uczestniczyć w tym wielkim święcie polskiej hematologii. Składamy uczestnikom Zjazdu życzenia owocnych obrad.

Aleksandra Rudnicka

Aleksandra Rudnicka

W NUMERZE 1

2 OD REDAKCJI

ZMIANY SYSTEMOWE

4 KRAJOWA SIEĆ HEMATOLOGICZNA
Nadzieje i obawy z perspektywy pacjentów
red. Aleksandra Rudnicka

NASZE DZIAŁANIA

6 OGÓLNOPOLSKA STRATEGIA
Fundacji „Na Ratunek Dzieciom z Chorobą Nowotworową”
prezes Anna Apel

9 TERAPIE SKOJARZONE I OKREŚLONE W CZASIE W ONKOLOGII I HEMATOONKOLOGII
Leczenie przyszłości czy standard postępowania?

Z DOŚWIADCZEŃ PACJENTÓW

12 OPIEKA NAD DZIECKIEM Z HEMOFILIĄ
Ewelina Matuszak, prezes Fundacji Chorych na Wrodzone Skazy Krwotoczne

14 JEDNA NA MILION
O uciążliwym życiu pacjentów z nocną napadową hemoglobinurią (PNH)
Rozmowa z Iloną Roszkowską-Rzemieniecką ze Stowarzyszenia Pacjentów z PNH Jedni na milion

INNOWACJE W HEMATOLOGII

16 PRZEWLEKŁA BIAŁACZKA SZPIKOWA
Nie u wszystkich pacjentów da się ją łatwo leczyć
prof. dr hab. n. med. Tomasz Sacha

NA OKŁADCE:
Ewelina Matuszak, prezes Fundacji Chorych Na Wrodzone Wady Krwotoczne z synkiem Leosiem

18 LECZENIE CHORYCH NA NAJCZĘSTSZE TYPY CHŁONIAKÓW
prof. dr hab. n. med. Iwona Hus

20 DIAGNOSTYKA GENETYCZNA W HEMATOLOGII
Na przykładzie ostrej białaczki szpikowej
prof. dr hab. n. med. Artur Kowalik

JAKOŚĆ ŻYCIA PACJENTA HEMATOLOGICZNEGO

23 BEZPIECZEŃSTWO KRWI – BEZPIECZEŃSTWO PACJENTÓW
Przetoczenia koncentratów krwinek płytkowych u wrażliwych pacjentów – wyzwania, strategia i najlepsze praktyki
prof. dr hab. n. med. Emilian Snarski

26 LEKI CHELATUJĄCE
Lepsza jakość życia pacjentów, oszczędność dla systemu
dr n. med. Katarzyna Budziszewska

28 DOTACJA FUNDACJI DKMS
Pomoc psychologiczna pacjentom hematologicznym oraz ich bliskim w procesie leczenia i zdrowienia

30-31 ORGANIZACJE WSPIERAJĄCE PACJENTÓW HEMATOLOGICZNYCH

KRAJOWA SIEĆ HEMATOLOGICZNA

Nadzieje i obawy z perspektywy pacjentów

Rozpoczynają się prace nad systemowymi zmianami w hematologii – tworzeniem Krajowej Sieci Hematologicznej, której celem jest objęcie kompleksową i skoordynowaną opieką pacjentów hematologicznych. Pierwszym krokiem jest przeprowadzenie pilotażu KSH zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia, którego projekt został przedstawiony do konsultacji publicznej w połowie sierpnia br.

Jak czytamy w uzasadnieniu do rozporządzenia: *Planowany program rozwiązuje problemy związane z niedostateczną diagnostyką i niewłaściwym wykorzystaniem potencjału ośrodków hematologicznych, co wiąże się z nieoptymalnym leczeniem świadczeniobiorców ze schorzeniami hematologicznymi.*

Oczywiście w dobrej intencji, autorzy programu zakładają, że rozwiąże on ww. problemy. Jednak, czy tak się stanie ma to właśnie pokazać pilotaż. Czy jest to tylko niewłaściwe wykorzystanie potencjału ośrodków hematologicznych i wystarczą zmiany organizacyjne, czy może ten potencjał jest zbyt mały w zestawieniu do potrzeb, zwłaszcza kadrowych.

ZMIANY ORGANIZACYJNO-KOMPETENCYJNE FUNKCJONOWANIA OŚRODKÓW

W ramach pilotażu testowane i oceniane będzie **funkcjonowanie modelu opartego na krajowej sieci ośrodków hematologicznych, działających na trzech poziomach referencyjności: podstawowym, specjalistycznym i wysokospecjalistycznym**. Przynależność do danego poziomu będzie określana na podstawie możliwości kadrowych, sprzętowych i lokalowych danego ośrodka. Każdemu z poziomów będą przypisane konkretne kompetencje w zakresie wykonywania świadczeń.

Ośrodki poziomu podstawowego mają zapewniać opiekę ambulatoryjną lub leczenie w ramach oddziału jednego dnia lub szpitalne świadczenia hematologiczne (diagnostyka i leczenie) w ramach wyodrębnionych łóżek dla chorych hematologicznych na oddziałach chorób wewnętrznych lub oddziałach onkologicznych. Ośrodki te będą prowadziły kwalifikację do programu pilotażowego i prowadziły podstawową diagnostykę oraz kontynuację leczenia.

Wymogi dotyczące personelu w ramach oddziału onkologii klinicznej lub chemioterapii, lub chorób wewnętrznych zajmującego się pacjentami hematologiczny to: lekarz specjalista w dziedzinie hematologii (wymiar 1 etatu) lub lekarz specjalista chorób wewnętrznych czy onkologii klinicznej lub chemioterapii nowotworów w trakcie specjalizacji z hematologii z co najmniej rocznym doświadczeniem w pracy w oddziale lub poradni internistycznej lub onkologicznej. Oczywiście optymalna sytuacją byłoby zatrudnienie hematologa już na poziomie podstawowym, ale obecnie nie jest to możliwe z powodu braku odpowiedniej liczby tych specjalistów.

Minimum zatrudnienia w poradni podstawowego poziomu to hematolog na pół etatu, przyjmujący 3 razy w tygodniu. W ośrodkach hematologicznych na oddziałach podstawowego poziomu przewiduje się minimum 5 łóżek, a w ambulatorium minimum 3 stanowiska do chemioterapii. W poradniach ma być dostępna porada psychologa.

W kompetencji ośrodków poziomu specjalistycznego będzie kwalifikacja pacjentów do programu pilotażowego oraz prowadzenie kompleksowej diagnostyki (w tym diagnostyki molekularnej) i leczenie świadczeniobiorców, **a przede wszystkim ustalanie planu leczenia hematologicznego pacjenta ośrodka poziomu podstawowego.** W ośrodkach specjalistycznych będzie prowadzone leczenie pacjentów w co najmniej 5 z 18 programów lekowych wskazanych w rozporządzeniu o pilotażu. Ośrodki specjalistyczne w ramach pilotażu będą również prowadziły przetoczenia krwi; do wykonywania tych świadczeń przewidziany jest personel pielęgniarski. W poradniach ośrodków specjalistycznych przewiduje się zatrudnienie lekarza specjalisty w dziedzinie hematologii (1 etat), diagnostów laboratoryjnych (równoważnik co najmniej 2 etatów), a także – co prawda w małym wymiarze połowy etatu – psychologa i dietetyka. Pilotaż nie uwzględnia wsparcia psychologa dla pacjentów na oddziałach szpitalnych.

Zadaniem ośrodków wysokospecjalistycznych będzie zapewnienie kompleksowej diagnostyki i leczenia nowotworów hematologicznych mieloidalnych i limfoidalnych, w tym intensywnej chemioterapii ostrych białaczek szpikowych i limfoblastycznych oraz wykonywanie autologicznego lub allogenicznego przeszczepiania krwiotwórczych komórek macierzystych. Choć ośrodki na poziomie wysokospecjalistycznym będą mogły wykonywać transplantacje komórek macierzystych szpiku, to oddział o profilu transplantologia kliniczna nie jest wymagany w ich strukturze. W rozporządzeniu nie ma informacji o tym, jaki personel i w jakiej liczbie powinien być zatrudniony w przypadku braku oddziału transplantacyjnego, czy taki sam jak na oddziale transplantacji.

W ośrodkach wysokospecjalistycznych jest wymóg realizacji 14 z 18 wskazanych w rozporządzeniu programów lekowych.

Co ważne, ośrodki wysokospecjalistyczne mają zapewnić konsultację lekarza specjalisty co najmniej w dziedzinie: kardiologii, neurologii, okulistyki, chirurgii i ortopedii, a także **stosowanie procedury leczenia i oceny skuteczności leczenia bólu. Szkoda, że procedura ta pojawia się dopiero w ośrodkach wysokospecjalistycznych, bo przecież każdy pacjent ma prawo do leczenia bólu.**

KOORDYNACJA

Program pilotażowy KSH ma być prowadzony w sumie przez 32 miesiące (etap organizacji przygotowany przez krajowy ośrodek koordynujący – 4 miesiące, realizacja pilotażu – 24 miesiące, etap ewaluacji – 4 miesiące).

W ramach programu pilotażowego KSH będą leczeni pacjenci powyżej 18. roku życia z nowotworami mieloidalnymi i limfoidalnym objętymi pilotażem, którzy wyrazili zgodę na udział w programie pilotażowym po uprzednim zapoznaniu się z jego zasadami oraz wyrazili zgodę na przekazywanie danych, między ośrodkami realizującymi pilotaż. Szacuje się, że w pilotażu KSH będzie leczonych 12 194 pacjentów, a koszt programu pilotażowego KSH wyniesie około 111 585 484,74 zł. Pilotaż będzie prowadzony na terenie 6 województw: dolnośląskiego, łódzkiego, mazowieckiego, śląskiego, wielkopolskiego i zachodniopomorskiego. Będzie on realizowany przez 83 placówki.

Krajowym ośrodkiem koordynującym opiekę hematologiczną w ramach pilotażu KSH jest Instytut Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie. Do jego zadań należy opracowanie wytycznych postępowania diagnostyczno-leczniczego nowotworów objętych pilotażem, udzielanie informacji dotyczących programu pilotażowego, w tym organizacji opieki i możliwości uzyskania świadczeń opieki zdrowotnej, z wykorzystaniem środków komunikacji teleinformatycznej. **Z rozporządzenia nie wynika, czy KSH będzie prowadziła specjalną Infolinię dla pacjentów leczonych w ramach pilotażu.**

Krajowy ośrodek koordynujący KSH ma też zorganizować dla lekarzy oraz dla koordynatorów organizacyjnych programu szkolenia wprowadzające w zasady funkcjonowania pilotażu KSH, szkolenia monitorujące i warsztaty zamykające, podsumowujące realizacje programu pilotażowego. **Opiekę hematologiczną na terenie województw koordynować będą wyznaczone ośrodki poziomu wysokospecjalistycznego – wojewódzkie ośrodki koordynujące.**

KOORDYNATORZY

Kluczową rolę w pilotażu KSH będą odgrywali koordynatorzy merytoryczni programu pilotażowego w ośrodkach koordynujących, nadzorujący proces realizacji programu pilotażowego, oraz koordynatorzy merytoryczni w ośrodkach. Będą to lekarze specjaliści w dziedzinie hematologii.

W ramach pilotażu KSH zostanie wprowadzona funkcja – koordynatora organizacyjnego programu pilotażowego. Ma to być osoba posiadająca co najmniej wykształcenie średnie, do której zadań należeć będzie koordynacja diagnostyki i planu leczenia hematologicznego dla maksymalnie 40 pacjentów, w tym ustalanie terminów udzielania świadczeń zdrowotnych i nadzorowanie prowadzenia dokumentacji pacjenta oraz sprawozdawczości programu pilotażowego.

Powstaje pytanie, czy koordynator organizacyjny ma być dla pacjenta, tak jak to było w pilotażu Krajowej Sieci Onkologicznej, czy jest to *stricte* koordynator organizacyjny przewidziany tylko dla sprawnej organizacji sieci?

Jeśli koordynator ma być dla pacjenta to powinna to być osoba posiadająca minimalną wiedzę medyczną na temat jednostki chorobowej prowadzonego pacjenta i wykonywanych u niego świadczeń medycznych.

Wymaga to, dodatkowych godzin szkolenia medycznego i szkolenia z komunikacji z pacjentem, w przypadku koordynatorów nie posiadających przygotowania medycznego i nie pracujących dotąd z chorymi.

KONSYLIA

Jak wynika z rozporządzenia funkcjonowanie krajowej sieci hematologicznej będzie oparte w dużej mierze na korzystaniu z systemu teleinformatycznego, którego infrastruktura zostanie stworzona na potrzeby KSH. Między innymi z wykorzystaniem sytemu teleinformatycznego ośrodki podstawowego poziomu będą ustalały podczas konsultacji teleinformatycznej z zespołem terapeutycznym w ośrodku specjalistycznym lub wysokospecjalistycznym plan leczenia świadczeniobiorcy, czyli inaczej organizowały konsylium.

Ośrodki KSH odpowiedzialne za leczenie pacjenta, powinny mu umożliwić za pośrednictwem systemu teleinformatycznego czy też osobiście, udział w konsylium i akceptację planu leczenia. Konsylium jest bowiem kluczowym momentem terapii. Nie jest to łatwe i nie jest przewidziane w rozporządzeniu, ale tak przebiegające konsylia mogły stać się dobrą praktyką, jak to jest np. Breast Cancer Unitach. Przygotowanie konsylium z udziałem pacjenta powinno należeć do zadań koordynatora organizacyjnego. Na początku można by zacząć od organizowania takich konsyliów na poziomie ośrodków wysokospecjalistycznym, które są przecież takim referencyjnymi ośrodkami krajowej sieci hematologicznej. Byłoby to wyjście naprzeciw oczekiwaniom pacjentów.

Aleksandra Rudnicka

na ratunek dzieciom
z chorobą nowotworową FUNDACJA

OGÓLNOPOLSKA STRATEGIA

FUNDACJI „NA RATUNEK DZIECIOM Z CHOROBĄ NOWOTWOROWĄ"

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.

W Polsce każdego roku diagnozuje się nowotwór u ok. 1200 dzieci. Obecnie wyleczalność sięga nawet 80%. Wyzwań w onkologii jest jednak bardzo wiele. Brakuje środków na badania genetyczne i molekularne, które pozwoliłyby na precyzyjną diagnostykę, wcześniejsze rozpoznanie, efektywniejsze leczenie, choć z pewnością finasowanie z Funduszu Medycznego zmieni na lepsze tę sytuację. Potrzebne jest też utworzenie rejestru nowotworów dziecięcych oraz zachęcenie studentów medycyny do wyboru onkologii i hematologii dziecięcej jako ich specjalizacji.

Ogólnopolska Strategia Fundacji „Na Ratunek Dzieciom z Chorobą Nowotworową" do 2030 roku odpowiada na te wyzwania. Jej celem jest wzrost efektywności diagnozowania, coraz wyższa jakość leczenia i optymalna jakość życia ozdrowieńców. Chcemy w ten sposób urzeczywistnić naszą wizję świata, w którym każde dziecko pokona nowotwór i będzie miało szansę na zdrowe, wolne od choroby dzieciństwo.

BADANIA I INNOWACJE

Postęp w metodach leczenia, jaki dokonał się w ostatnich dziesięcioleciach, znacząco wpłynął na wskaźniki przeżywalności w przypadku nowotworów dziecięcych. Jednak około 15% dzieci wciąż nie udaje się uratować, a ponad 60-70% dziecięcych ozdrowieńców doświadcza późniejszych następstw zdrowotnych (z ang. *late effects*). Rozwój wiedzy naukowej w dziedzinie onkologii i hematologii pediatrycznej jest zatem istotny dla zwiększenia przeżywalności dzieci z chorobą nowotworową, jest również szansą na szybszą diagnozę i skuteczniejsze leczenie, a także na efektywną opiekę ozdrowieńczą.

We współpracy merytorycznej z Polskim Towarzystwem Onkologii i Hematologii Dziecięcej ustanowiliśmy w lutym 2023 r. ogólnopolski Program Grantowy, skierowany do klinik onkologii i hematologii pediatrycznej. Jego głównym celem jest zwiększenie efektywności diagnostyki i leczenia przeciwnowotworowego poprzez wsparcie rozwoju wiedzy naukowej. Program będzie realizowany do 2030 r., a jego łączny budżet wyniesie 8 mln 400 tys. zł.

Program Grantowy opiera się na trzech filarach, istotnych z perspektywy wyzwań, jakie stoją przed onkologią dziecięcą. Ma on zapewnić wsparcie finansowe dla naukowców i młodych lekarzy poprzez:

1. Finansowanie stypendiów doktorskich – co ma służyć zwiększeniu zainteresowania obszarem onkologii i hematologii dziecięcej wśród lekarzy, którzy chcą uzyskać stopień doktora nauk medycznych i pozyskaniu specjalistów do pracy w klinikach;
2. Finansowanie badań naukowych, projektów badawczych, które mają bezpośredni wpływ na poprawę diagnostyki i efektywności leczenia dzieci oraz zapewnienie jakości ich życia po leczeniu;
3. Zarządzanie danymi, czyli zapewnienie każdej klinice onkologii i hematologii dziecięcej w Polsce finansowania etatu administratora danych, w celu agregacji danych medycznych pediatrycznych pacjentów onkologicznych.

Fundacja wspiera Polskie Towarzystwo Onkologii i Hematologii Dziecięcej w tworzeniu ogólnopolskiej bazy nowotworów dziecięcych, w przyszłości wykorzystującej sztuczną inteligencję do analizy danych, rozpoznawania wzorców i wsparcia w diagnostyce.

Chcemy też wykorzystać sztuczną inteligencję do analizy histopatologicznej, aby przyśpieszyć proces diagnozy dzieci z kilku tygodni do kilkunastu minut. Wszystkie te projekty prowadzi Dział Naukowy Fundacji współpracujący z najważniejszymi interesariuszami z kraju i zagranicy. Jesteśmy członkiem kluczowych dla onkologii organizacji jak Childhood Cancer Europe, PanCare, St. Jude Global Alliance.

EDUKACJA I ŚWIADOMOŚĆ

Kluczowa dla procesu leczenia dzieci jest też szybka diagnostyka. Nie tylko umożliwienie dostępu do badań genetycznych, ale też starania, aby opiekunowie dzieci potrafili dostrzec wczesne symptomy nowotworu u dziecka.

Budowanie świadomości społecznej i wiedzy o nowotworach dziecięcych, wyzwaniach medycznych i psychospołecznych onkologicznych pacjentów pediatrycznych oraz ich rodzin w trakcie leczenia i po jego zakończeniu, jest ważnym obszarem naszej działalności.

Realizujemy ją w ramach ogólnopolskich kampanii społecznych **„Rodzice w kontakcie", kampanii 1,5%** oraz wrześniowej kampanii **„Złotej Wstążki"**, których zasięg medialny to kilka milionów odbiorców, zarówno w mediach tradycyjnych, jak również mediach społecznościowych.

WSPARCIE PSYCHOSPOŁECZNE

Równolegle do projektów medycznych, Fundacja od wielu lat prowadzi działania w obszarze wzmocnienia stanu zdrowia mentalnego chorych dzieci oraz ich rodzin. Dziesięcioosobowy Zespół Wsparcia Psychospołecznego – złożony z psychologów, pedagogów, dietetyków, neurologopedów, pracowników ds. społecznego wsparcia rodziny oraz koordynatora wolontariatu – na co dzień prowadzi psychoedukację, pomagając rodzinie na nowo określić własne role społeczne w tych pierwszych, najtrudniejszych tygodniach po postawieniu diagnozy. Członkowie Zespołu prowadzą interwencje kryzysowe i przeciwdziałają regresowi rozwojowemu dzieci, a wolontariusze przeciwdziałają nudzie szpitalnej.

Moment diagnozy jest ważny z perspektywy rozwojowej dziecka. Personel medyczny jest nastawiony na ratowanie zdrowia i życia, natomiast fundacyjni pedagodzy i psychologowie pracują nad tym, aby zapewnić dziecku prawidłowy rozwój w warunkach szpitalnych. Wszystko po to, aby jako ozdrowieniec z choroby nowotworowej nie musiało zmagać się ze stanami lękowymi i depresyjnymi, napadami paniki.

To ważne, aby rodzic dziecka rozumiał, że jeśli po powrocie do szkoły dziecko ma problemy z uczeniem się, koncentracją czy zapamiętywaniem, nie jest to wynikiem lenistwa, ale trudności będących następstwem leczenia przeciwnowotworowego. Świadomość ta umożliwia wsparcie ozdrowieńca, nie tylko w szkole, ale też w wyborze właściwej ścieżki zawodowej.

OZDROWIEŃCY

W Europie jest ponad 500 tys. ozdrowieńców. Naturalnie, przybywa ich też w Polsce, co jest rezultatem wzrostu wyleczalności. Pomimo pokonania choroby, nadal potrzebują wsparcia medycznego i psychospołecznego.

Fundacja pracuje nad długofalowym projektem Opieki Ozdrowieńczej. Obejmuje on nie tylko moment przejścia z opieki lekarza pediatry onkologa pod opiekę dla dorosłych, ale też tworzenie przychodni długofalowej opieki ozdrowieńczej.

W ramach takiej przychodni – w zależności od rodzaju przebytego nowotworu – ozdrowieńcy będą mogli dokonywać bilansów zdrowia co 2-3 lata, konsultować od strony medycznej niepokojące ich objawy, ale także otrzymać wsparcie psychologa czy doradcy zawodowego. Sprawne funkcjonowanie takich

przychodni powinna zapewnić baza danych ozdrowieńców, połączona z ogólnopolskim rejestrem nowotworów dziecięcych, ponieważ od rodzaju przyjmowanych w chorobie leków, od dawek napromieniowania, zależą m.in. tzw. późne efekty leczenia przeciwnowotworowego.

Ozdrowieńcy narażeni są na 5-krotnie wyższe ryzyko wystąpienia kolejnego nowotworu po ukończeniu 35. roku życia. Wielonarządowych powikłań po ukończeniu 40. roku życia doświadczy około 60-70% z nich. Dlatego tak ważne jest, aby zapewnić im możliwość dbałości o optymalną jakość zdrowia przez całe życie.

SYSTEM NACZYŃ POŁĄCZONYCH

Diagnoza choroby onkologicznej to nie tylko kwestia właściwego leczenia w czasie jej trwania – to również konieczność posiadania świadomości tego, jak opiekować się ozdrowieńcami, którzy przeszli różne terapie. Podobnie nie da się rozdzielić i przecenić wagi holistycznego leczenia ciała i umysłu. Wsparcie medyczne i psychologiczne muszą iść w parze, choć w powszechnej świadomości czasem zdarza się zapomnieć o tym drugim, kiedy skupiamy się przede wszystkim na wyleczeniu nowotworu.

Wielość wyzwań społecznych, jakie stoją przed nami jako społeczeństwem – także tych związanych bezpośrednio z onkologią dziecięcą – sprawia, że ich rozwiązanie wymaga ścisłej współpracy między sektorami: publicznym, NGO i biznesowym.

Terapie skojarzone i określone w czasie w onkologii i hematoonkologii

Debata na temat terapii skojarzonych i określonych w czasie w onkologii i hematologii w redakcji Medexpressu z udziałem ekspertów. Prowadzący – Piotr Wójcik, rzeczniczka Stowarzyszenia SANITAS – Aleksandra Rudnicka, dr hab. n. med. Maciej Niewada.

LECZENIE PRZYSZŁOŚCI CZY STANDARD POSTĘPOWANIA?

Onkologia i hematologia to jedne z najszybciej rozwijających się dziedzin medycyny. - *Mamy coraz więcej leków innowacyjnych, którymi skutecznie możemy leczyć pacjentów. Są to często terapie skojarzone czy też określone w czasie, które zmieniają oblicze wielu chorób uważanych jeszcze do niedawna za śmiertelne. Dziś dzięki rozwojowi medycyny, pozytywnym ocenom AOTMiT i decyzjom refundacyjnym Ministerstwa Zdrowia wiele z nich staje się schorzeniami przewlekłymi* – zwracają uwagę eksperci kliniczni. Czego zatem brakuje? Jakie wyzwania stoją przed systemem ochrony zdrowia w Polsce w zakresie stosowania terapii skojarzonych i określonych w czasie, jakie bariery należy pokonać? O tych problemach dyskutują klinicyści, farmakoekonomiści i przedstawiciele pacjentów, w ramach kampanii „Terapie skojarzone i określone w czasie – leczenie przyszłości" prowadzonej przez Stowarzyszenie na Rzecz Walki z Chorobami Nowotworowymi Sanitas.

WARTOŚĆ LECZENIE SKOJARZONEGO

Współczesna medycyna coraz częściej wymaga stosowania leczenia skojarzonego, obejmującego (w różnych kombinacjach i sekwencjach) chirurgię, farmakoterapię i radioterapię, a także podejścia wielodyscyplinarnego i współpracy zarówno specjalistów, jak i ośrodków medycznych.

Upowszechnienie się tej strategii terapeutycznej zarówno, jeśli chodzi o leczenie skojarzone lekami o różnym mechanizmie działania, jak i kojarzenia leczenia systemowego z radioterapią czy chirurgią przyczyniło się w dużym stopniu do poprawy wyników leczenia pacjentów onkologicznych. Jednak nie tylko dostęp do nowych innowacyjnych terapii stanowi dziś najistotniejszy problem, jeśli chodzi o leczenie chorych na nowotwory. Zdaniem ekspertów równie ważna, co dostęp do leków, jest organizacja leczenia onkologicznego w Polsce.

Uczestnicy debaty on-line: Maciej Miłkowski – Podsekretarz Stanu w Ministerstwie Zdrowia, dr hab. n. med. Bożena Cybulska-Stopa, mecenas Marcin Pieklak, prof. dr hab. n. med. Krzysztof Giannopoulos.

Konferencja prasowa na temat terapii skojarzonych i określonych w czasie z udziałem ekspertów. Magdalena Władysiuk – wiceprezydent HTA Consulting, Katarzyna Lisowska – prezes Fundacji PER HUMANUS, prof. Anna Czarnecka – Narodowy Instytut Onkologii w Warszawie, dr n.med. Magdalena Knetki-Wróblewska – Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie w Warszawie, prof. Krzysztof Jamroziak – Warszawski Uniwersytet Medyczny, red. Aleksandra Rudnicka – prowadząca konferencję.

Pacjent powinien móc być przekazywany z jednego ośrodka do drugiego tak, aby cykl leczenia określony w czasie i kolejność leczenia, był zachowany. Niestety nadal w wielu przypadkach tak się nie dzieje.

- Pojedynczo stosowane metody – chirurgia, radioterapia, leczenie systemowe – nie mogą doprowadzić do wyleczenia wielu chorych na nowotwory. Dużo większą efektywność mają skojarzenia metod leczenia, w tym łączne stosowanie tradycyjnych metod i nowoczesnych terapii. Istotą leczenia skojarzonego w raku płuca jest zachowanie odpowiedniej sekwencji postępowania, dobry przepływ chorego między ośrodkami, po to, żeby ścieżka pacjenta była jak najkrótsza i wyniki leczenia chorych były jak najlepsze. Szansę daje ustawa o Krajowej Sieci Onkologicznej, w której najważniejsze znaczenie powinny mieć ośrodki kompleksowego postępowania w nowotworach płuca – zwraca uwagę prof. dr hab. n. med. Maciej Krzakowski Krajowy Konsultant w Dziedzinie Onkologii Klinicznej.

TERAPIE SKOJARZONE W SZPICZAKU

Zupełnie inaczej sytuacja przedstawia się w hematoonkologii, chociażby w szpiczaku plazmocytowym, gdzie terapie skojarzone stosowane są jednoczasowo, stanowiąc wyzwanie dla systemu ochrony zdrowia i publicznego płatnika.

- Postęp w terapii szpiczaka jest bardzo dynamiczny i można powiedzieć, że co kilka miesięcy rejestrowane są nowe przełomowe terapie, które poprawiają rokowania pacjentów. Kojarzenie tych terapii z dotychczasowymi metodami leczenia – coraz rzadziej stosowanymi klasycznymi lekami chemicznymi oraz stosowanymi już od jakiegoś czasu „starszymi lekami celowanymi" – wpływa na dalszą poprawę czasu bez nawrotu choroby oraz całkowitego czasu przeżycia. Rozwój medycyny i dostęp do nowoczesnych terapii spowodował, że dla wielu pacjentów szpiczak stał się chorobą przewlekłą – wyjaśnia prof. dr hab. n. med. Krzysztof Jamroziak.

- Obecnie w leczeniu występuje tendencja do kojarzenia dwóch nowych oryginalnych leków, które stanowią ogromną wartości dla pacjenta z uwagi na skuteczność takich połączeń, a tym samym tworząc ogromne wyzwania refundacyjne, którym coraz skuteczniej starają się sprostać Ministerstwo Zdrowia, Konsultant Krajowa w Dziedzinie Hematologii i eksperci kliniczni – dodaje profesor.

- Specyfika systemowych terapii skojarzonych powoduje, że klasyczne podejście farmakoekonomiczne nie sprawdza się, gdyż koszt leczenia jednego pacjenta terapiami skojarzonymi, gdy porównamy go z monoterapią, zawsze będzie większy. Mimo to Ministerstwu Zdrowia udało się znaleźć narzędzia, by zrefundować w ostatnim czasie terapie trój- a nawet czterolekowe, z których dwa leki są lekami oryginalnymi – zwraca uwagę prof. dr hab. n. med. Krzysztof Giannopoulos.

- Ogromne podziękowania należą się Panu ministrowi Maciejowi Miłkowskiemu, który konsekwentnie poprawia dostępność do nowych innowacyjnych leków i któremu, mimo ogromnego wyzwania, jakim jest refundacja terapii skojarzonych, udało się doprowadzić do końca negocjacje i od 1 lipca wprowadzić na listę leków refundowanych schemat leczenia izatuksymabem, w połączeniu z pomalidomidem, deksameta-

zonem. Ta terapia jest obecnie dostępna dla chorych na szpiczaka plazmocytowego i jest odpowiedzią na największe potrzeby, które ostatnio definiowaliśmy – dodaje profesor.

TERAPIE OKREŚLONE W CZASIE W PBL

Przykładem ewolucji w medycynie jest również leczenie przewlekłej białaczki limfocytowej(PBL). Podobnie jak w leczeniu szpiczaka plazmocytowego tak i w terapii PBL odchodzi się od leczenia chemioterapią. Nowym standardem w leczeniu przewlekłej białaczki limfocytowej są terapie celowane określone w czasie. Z każdą kolejną linią PBL staje się coraz trudniejsza do leczenia, dlatego ważne jest, żeby już na samym początku pacjent otrzymał najbardziej optymalną terapię.

- Zgodnie z najnowszymi rekomendacjami amerykańskich i europejskich towarzystw naukowych terapie celowane określone w czasie są wskazywane jako preferowane u wszystkich pacjentów z PBL. Określony czas terapii to szereg korzyści dla pacjenta: skrócony okres ekspozycji na lek, ograniczenie toksyczności i – co najważniejsze dla chorego – stosunkowo szybki powrót do zwykłego życia bez przyjmowania leków – podkreśla prof. dr hab. n. med. Iwona Hus, prezes Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów, kierownik Kliniki Hematologii Państwowego Instytutu Medycznego MSWiA w Warszawie. *- To na co czekamy to dostęp do tych terapii dla młodszej grupy pacjentów z przewlekłą białaczką limfocytową* – dodaje profesor.

- Mimo ewidentnych korzyści z zastosowania terapii określonych w czasie i rekomendacji ekspertów, wielu pacjentów obawia się, co będzie, jak skończą terapię. Zadają szereg pytań. Czy zakończenie leczenia nie będzie miało wpływu na progresję choroby? Co jest podstawą tego, że pacjent może już terapię zakończyć? Dotyczy to zarówno pacjentów z PBL jak i z czerniakiem – dostrzega problem Aleksandra Rudnicka.

CO ZDANIEM EKSPERTÓW JEST NAJWIĘKSZYM WYZWANIEM?

- System ochrony zdrowia w Polsce wymaga ciągłego rozwoju, także pod kątem zmian dotyczących procesów refundacyjno-cenowych dla leków. Z roku na rok rośnie liczba rejestrowanych terapii złożonych i wymaga to zastanowienia się nad dwoma aspektami: pierwszy jak oceniać w HTA te terapie, a po drugie, w jaki sposób można nawiązać wczesny dialog z MZ w zakresie nowych rozwiązań finansowych – podkreśla Magdalena Władysiuk wiceprezydent HTA Consulting.

Zdaniem ekspertów niezbędne jest wypracowanie przez Ministerstwo Zdrowia i wdrożenie takich mechanizmów, które pozwolą na szybszy dostęp pacjentów do terapii skojarzonych. Powinny wśród nich być zarówno rozwiązania w zakresie wczesnego rozpoznawania, oceny technologii złożonych pod względem ich wartości klinicznej, ale również finasowania.

Od 2028 roku wszystkie leki onkologiczne, będą oceniane także w ramach tak zwanego JCA, czyli Joint Clinical Assessment, a więc oceny klinicznej już nie tylko na potrzeby rejestracji, ale także na potrzeby refundacji. Zdaniem ekspertów od HTA będzie to cenne źródło informacji na temat klinicznego benefitu wynikającego ze skojarzenia leków i argument do ewentualnych negocjacji z poszczególnymi producentami.

POTRZEBNA JEST EDUKACJA PACJENTÓW O TERAPIACH SKOJARZONYCH

- Problemem, z którym dziś musimy się zmierzyć, to edukacja pacjentów. Obecnie w Polsce dzięki decyzjom Ministerstwa Zdrowia mamy dostęp do coraz większego wachlarza terapii ukierunkowanych na różne punkty uchwytu zmian w komórce nowotworowej, które stosowane łącznie są dużo bardziej skuteczne niż monoterapia, ale wywołują też wątpliwości i pytania ze strony pacjentów, bo jeżeli tych leków jest kilka, o kilku mechanizmach działania, to co z działaniami niepożądanymi, czy one też się nie kumulują, czy leczenie nie jest bardziej obciążające? Tu niezbędna jest edukacja. Jako stowarzyszenie staramy się cały czas poszerzać wiedzę pacjentów i zwracać uwagę na korzyści wynikające z zastosowania tego typu schematów leczenia, między innymi prowadząc kampanie edukacyjne. Postęp medycyny, który dokonał się w ostatnich latach, powoduje, że nowotwory można leczyć coraz skuteczniej terapiami celowanymi czy immunoterapią, a wiele z nich dzięki takiemu leczeniu staje się chorobami przewlekłymi – zaznacza Aleksandra Rudnicka rzeczniczka Stowarzyszenia na Rzecz Walki z Chorobami Nowotworowymi SANITAS.

Sanitas
Stowarzyszenie na Rzecz Walki z Chorobami Nowotworowymi

Nagrania filmowe z debaty ekspertów w Medexpresie i konferencji prasowej kampanii „Terapie skojarzone i określone w czasie – leczenie przyszłości" są dostępne na stronach: sanitas.sanok.pl oli-onko.pl

PARTNERZY

abbvie Bristol Myers Squibb sanofi

FUNDACJA CHORYCH na wrodzone skazy krwotoczne

OPIEKA NAD DZIECKIEM Z HEMOFILIĄ

Ewelina Matuszak, prezes Fundacji Chorych na Wrodzone Skazy Krwotoczne

Hemofilia jest chorobą genetyczną, tak więc gdy wystąpi już raz w danej rodzinie, możemy przewidywać, że wystąpi kolejny raz. W przeszłości medycyna nie dysponowała lekami, które pomogłyby zatrzymać krwawienie. Obecnie mamy leki, które zapobiegają krwawieniom. Niestety, w Polsce są refundowane leki starej generacji, podawane dożylnie, co jest szczególnie dotkliwe dla małych dzieci. Jak wygląda życie dzieci z hemofilią i ich rodzin opowiada Ewelina Matuszak, mama Leosia.

Nazywam się Ewelina, jestem mamą 1,5 rocznego chłopca – Leosia, chorego na ciężką postać hemofilii A. Jestem także córką hemofilika, nosicielką mutacji. Z chorobą tą miałam styczność właściwie od zawsze. Od małego patrzyłam na cierpienie mojego taty, na wylewy, które coraz bardziej niszczyły jego stawy i ograniczały ruchomość. Na szczęście, dzięki czynnikom krzepnięcia, hemofilia nie jest już tą samą straszną, niebezpieczną, często śmiertelną chorobą, którą była jeszcze 30 lat temu.

Pokolenie mojego ojca było właściwie pierwszym, które otrzymało leki. Po latach bólu, okładania obrzmiałych narządów lodem, usztywniania kończyn gipsem, transfuzji krwi, krioprecypitatu pojawił się cudowny lek, który działał. Było to tak przełomowe, jak wynalezienie koła. Zmieniło całe dotychczasowe życie zarówno chorych, jak również ich rodzin. Pamiętajmy bowiem, iż choruje nie tylko jedna osoba, ale cała rodzina. Życie chorych kręciło się wyłącznie dookoła szpitala. Gdy więc wszedł nowy lek, liofilizowany koncentrat krzepnięcia, życie zaczęło się zmieniać. Chorzy, którzy mieli zniszczone stawy, przykurcze w kończynach, problemy z poruszaniem się, mogli zacząć żyć. Nie mogli żyć normalnie, gdyż choroba wyrządziła ogromne spustoszenie, ale skończyły się lata pełne bólu z powodu wylewów dostawowych lub domięśniowych.

Niestety, leczenie hemofilii ma drugą stronę medalu. Dzieci od około 1 roku życia mają zapewnione leczenie profilaktyczne, które polega na dożylnym podaniu leku 2, 3 razy w tygodniu. Proszę sobie wyobrazić dwu- czy trzylatka, który musi być kłuty co dwa dni, jakie to jest przeżycie dla niego i dla rodziców. Reaguje tak samo, jak zdrowe dziecko przy pobraniu krwi – krzykiem, płaczem, wyrywaniem się i strachem.

Chciałabym powiedzieć głośno i wyraźnie – owszem, profilaktyka dla dzieci jest, profilaktyka ta ratuje dzieci przed kalectwem, a nawet śmiercią. Jednak jest to leczenie, w którym od 15 lat nic się nie zmieniło. Nauka i medycyna z każdą chwila idą do przodu – leczenie hemofilii w Polsce od wielu lat stoi w miejscu.

W głowie rodziców jest jedna myśl: jak ochronić dziecko przed wylewami. Dom zamieniamy w bezpieczną przystań, otuloną

piankami, gąbkami, z zabezpieczonymi kantami. Każdy uraz, pojawiający się siniak to pytanie: czy to wylew? Szczególnie trudne jest to dla matek, których ojciec czy też brat, wujek, nie miał hemofilii. Zderzają się z nieznaną im chorobą. Ja wiem, jak wyglądały wylewy u mojego ojca. One nie mają pojęcia, co oznacza słowo wylew. Spanikowane trafiają na internetowe forum dla rodziców, gdzie otrzymują wsparcie. Mogą 24/7 korzystać z pomocy innych osób.

Rozpoczęcie profilaktyki jest najtrudniejszym momentem leczenia, gdyż „łamie" psychikę rodziców. Muszą unieruchomić swoje niespełna roczne dziecko i wkłuć się do żyły, aby podać lek. Często nie udaje się to za pierwszym czy drugim razem. Towarzyszy temu ogromny stres i strach rodzica, a także płacz dziecka.

Gdy dożylne podanie leku jest utrudnione, dziecku wszczepiany jest port, za pomocą którego odbywa się wlew. Jakiś czas temu oglądałam film instruktażowy z podania leku do portu. Na wstępie wyświetlono napis: sterylność podczas podaży do portu równa się sterylności podczas zabiegu operacyjnego. Ciężko to sobie wyobrazić, że rodzice w domu muszą stworzyć tak sterylne warunki, jak chirurdzy w sali operacyjnej. Dodatkowo każdy zabieg, jak zwyczajne usunięcie zębów mlecznych odbywa się pod kontrolą hematologa. Każda podwyższona temperatura u dziecka może oznaczać zakażenie portu.

Reasumując, można dojść do wniosku, iż z jednej strony jest to zwykły wlew do żyły, zaś z drugiej mnóstwo możliwych komplikacji. Podaż czynnika ratuje przed kalectwem fizycznym, jednocześnie zostawia ślad w psychice.

Wraz z rozwojem medycyny pojawiają się nowe leki podawane w sposób podskórny raz na 2 tygodnie. To kolejne przełomowe wydarzenie. Po etapie wynalezienia koła, jesteśmy na etapie wynalezienia samochodu. Z tego powodu postanowiliśmy wraz z innymi rodzicami założyć **Fundację Chorych na Wrodzone Skazy Krwotoczne**, aby walczyć o dostęp do leków dla coraz szerszej grupy pacjentów. Jest to inicjatywa rodzicielska, która powstała z potrzeby serca matek, ojców oraz samych chorych.

Nasza Fundacja skupia grono młodych rodziców. Jesteśmy pokoleniem Facebooka, Instagrama, Twittera. Internet i media społecznościowe to nasza codzienność. W dzisiejszych czasach przepływ informacji jest natychmiastowy. Wiemy, jak wygląda leczenie w innych krajach. Mamy kontakt z ludźmi na całym świecie, czytamy posty na międzynarodowych grupach dotyczących leczenia hemofilii. Skoro jesteśmy świadomi postępu, jaki dokonał się w leczeniu hemofilii na całym świecie, to nie możemy się pogodzić się z tym, jak to wygląda w Polsce, jak bardzo leczenie jest przestarzałe.

Zależy nam na wprowadzeniu nowoczesnych terapii – czynników długodziałających (podawanych w mniejszej objętości i rzadziej) oraz leków podskórnych (podawanych wg wskazań lekarza co jeden, dwa, a nawet cztery tygodnie!). Leki te, dostępne w Europie i na świecie dla chorych na hemofilię, diametralnie zmieniają życie. Moim marzeniem i marzeniem wielu rodziców jest zindywidualizowana terapia dobrana do małego pacjenta.

JEDNA NA MILION

O uciążliwym życiu pacjentów z ultrarzadką chorobą hematologiczną, jaką jest nocna napadowa hemoglobinuria (PNH), rozmawiamy z Iloną Roszkowską-Rzemieniecką ze Stowarzyszenia Pacjentów z PNH Jedni na milion.

Jak wygląda życie pacjentów z nocną napadową hemoglobinurią?

Jest trudne, bo to trudna choroba. Uciążliwe jest również jej leczenie, które wiąże się z częstymi pobytami w szpitalu. My, pacjenci z PHN spotykamy się z dużym niezrozumieniem, ponieważ wyglądamy na osoby zdrowe. Zanim zdiagnozowano u mnie nocną napadową hemoglobinurię (PNH) nieraz słyszałam, że wymyślam sobie chorobę, jestem hipochondryczką, ciągle narzekam, że coś mnie boli. Trudno było innym zrozumieć, że przez cały czas odczuwam zmęczenie i często po prostu nie mam siły wstać z łóżka. Z tego rodzaju problemami zmagają się pacjenci z PNH. Życie z tą chorobą wiąże się również z lękiem, strachem o przyszłość – pacjenci mają bowiem świadomość, że skutki PHN, takie jak zakrzepica czy niewydolność nerek, w każdej chwili mogą przyczynić się do śmierci. Można więc powiedzieć, że życie z hemoglobinurią jest jak życie z tykającą bombą.

Kiedy pojawiły się u Pani pierwsze objawy choroby?

Myślę, że towarzyszyły mi mniej więcej od 26. roku życia. Pracowałam, studiowałam, ale pomimo młodego wieku bardzo źle się czułam. Mogę powiedzieć, że pierwszym objawem był permanentny brak siły i energii. Poza tym codziennie bolała mnie głowa, często bolał mnie brzuch.

Zrobiłam morfologię krwi i wyniki nie były prawidłowe. Lekarze zalecali mi odpoczynek, zmianę trybu życia, zdrowe odżywianie, długi i regularny sen, chociaż już wtedy dużo spałam. Zastosowałam się do tych zaleceń. Więcej odpoczywałam, ale wyniki tylko nieznacznie się poprawiły. Nadal były nieprawidłowe. Kolejny lekarz powiedział, że przyczyną mojego stanu zdrowia może być palenie papierosów, kazał mi więc zrezygnować z palenia, co akurat było dobre. Sugerował, że może to być rak płuca. Na szczęście to się nie potwierdziło, ale ze strachu porzuciłam dalszą diagnostykę.

Prawidłową diagnozę postawiono, gdy była Pani w ciąży…

Tak, miało to miejsce w 2018 roku, kiedy byłam w pierwszej ciąży. Czułam, że jest ze mną źle. Postanowiłam, że tym razem, szczególnie ze względu na dziecko, dokończę diagnostykę. Mój stan był na tyle kiepski, że udało się przyspieszyć badania. Trafiłam do Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie. Podejrzewano u mnie białaczkę, co w perspektywie ciąży było ogromnym stresem. Ucieszyłam się, gdy okazało się, że to jednak nie jest to. Ale radość trwała dosłownie chwilę. Diagnoza: nocna napadowa hemoglobinuria była dla mnie szokiem, nigdy wcześniej nie słyszałam o podobnej chorobie. Lekarze bali się o mnie – mieli pacjentkę w ciąży, do tego tak bardzo chorą... Obawiałam się, czy uda mi się donosić ciążę, czy moja córka będzie zdrowa, czy stres i sama choroba jej nie zaszkodzą. Bałam się, czy zdążę wychować moje dziecko, jak będzie wyglądała nasza przyszłość? Tych niewiadomych w głowie pojawiło się bardzo dużo. Byłam przerażona i załamana. Kiedy dowiedziałam się, że PNH dotyka tylko 1 osobę na milion, zadawałam sobie pytanie, dlaczego akurat mnie to spotkało?!

Jak w czasie ciąży wyglądało leczenie?

Niezbędne były transfuzje krwi. Nigdy nie wiedziałam, jak zareaguje na nie mój organizm, kiedy będzie spadek hemoglobiny, od czego to zależy. Pamiętam, że był to bardzo trudny czas – frustrujący, wymęczający. Na szczęście urodziłam zdrowe dziecko i to była największa radość.
Dowiedziałam się także, że leczenie PNH jest refundowane, jednak w tamtym momencie nie kwalifikowałam się do programu lekowego (stosowanym w nim lekiem był i jest *ekulizumab*). I wtedy okazało się, że jestem w kolejnej ciąży. Moje wyniki znów się pogorszyły, a to spowodowało, że zostałam zakwalifikowana do leczenia. Był to przełomowy moment, ponieważ dostałam nadzieję. Co prawda na krótko, bo potem okazało się, że terapia ta wiąże się z wlewami dożylnymi, na które co dwa tygodnie muszę zgłaszać się do szpitala. Biorąc pod uwagę, że jest to leczenie do końca życia, perspektywa ta była dołująca.

Jak łączy Pani pracę, życie rodzinne z leczeniem wymagającym codwutygodniowych wizyt w szpitalu?

Na pewno nie jest to łatwe, zwłaszcza że jestem matką dwójki małych dzieci. Ale zawsze powtarzam sobie, że przynajmniej mam blisko do szpitala – leczę się w Warszawie, gdzie mieszkam. A przecież są pacjenci, którzy na podanie leku muszą przyjeżdżać z odległych krańców Polski, wstawać w dniu wlewu o 3 rano, by dojechać na wizytę. W małym powiatowym szpitalu nikt nie poda im leku. Pacjenci aktywni zawodowo muszą co 2 tygodnie zwalniać się z pracy, a jeśli mogą, to pracują w szpitalnej poczekalni z laptopem na kolanach. Mój pracodawca jest na szczęście wyrozumiały, lecz z rozmów z innymi chorymi wiem, że w wielu przypadkach takie codwutygodniowe zwolnienia lekarskie lub urlopy wypoczynkowe nie są dobrze widziane. Dodatkowo niektórzy pacjenci źle czują się po wlewach, dlatego na podanie leku przyjeżdżają z mężem/żoną, rodzicami. To frustrujące, że musisz prosić kogoś o pomoc, być ciężarem.
Jednym zdaniem, życie pacjentów z PHN i ich rodzin podporządkowane jest leczeniu. Znam też chorych, którzy właśnie ze względu na tę uciążliwość terapii zdecydowali, że nie będą jej rozpoczynali.

Czy jest dziś dla pacjentów z PNH inna perspektywa?

To jest kolejna frustracja, ponieważ są dwie inne możliwości leczenia, z których mogliby skorzystać polscy chorzy, ale nie są one refundowane.
Jedną z nich jest *rawulizumab* (stanowi unowocześnioną formę refundowanego *ekulizumabu*), z którego korzysta już rzesza pacjentów z Europy czy Stanów Zjednoczonych. Ten lek wymaga podawania tylko raz na 2 miesiące, co stanowi wielką zmianę jakości naszego życia, podporządkowanego uciążliwemu leczeniu. *Ekulizumab* dał chorym nadzieję na życie, ale chcemy też żyć normalnie. Przypominam, że większość pacjentów z PNH to osoby młode, z małymi dziećmi, pracujące. Nie chcemy być dla nikogo obciążeniem, a jesteśmy. Są chorzy, którzy właśnie z powodu uciążliwości leczenia nie chcą powiększać rodziny, ponieważ obawiają się, że nie będzie miał kto zająć się dzieckiem, kiedy oni co dwa tygodnie będą musieli stawić się w szpitalu. Przykro, kiedy słyszymy, że leczenie *rawulizumabem* to tylko wygoda chorych. Dla nas i naszych rodzin ta wygoda oznacza tylko 6-7 wizyt w szpitalu rocznie, podczas gdy dziś musimy ich odbyć nawet 26! To nie jest normalne: jesteśmy niewolnikami tego leczenia i nic nie możemy z tym zrobić. Zmiana, wydłużenie okresu wolnego od wlewów i wiążących się z nimi wizyt w szpitalu do 8 tygodni jest wielkim marzeniem nas, chorych z PNH.
Ekulizumab i *rawulizumab* działają na kluczowy objaw choroby, tym samym minimalizują ryzyko poważnych incydentów zakrzepowych i przedwczesnego zgonu. Ale pomimo terapii u 10% pacjentów utrzymuje się niedokrwistość. W tej grupie istnieje możliwość zastosowania innej opcji terapeutycznej – *pegcetacoplanu*, który może być podawany w iniekcjach.
Wierzę, że nasze marzenie się spełni, a także, że dzięki rozwojowi medycyny w przyszłości w ogóle nie będziemy musieli leczyć się w szpitalach, co traumatyzuje pacjentów, tylko będziemy w domu przyjmować leki w formie zastrzyków czy tabletek.

Marzenie pacjentów z PNH spełniło się! Od 1.09. 2023 r. na nowej liście leków refundowanych (wywiad odbył się przed tym terminem) program leczenia chorych z PNH poszerzono o dwa preparaty: *rawulizumab* (długodziałający inhibitor białka C5 dopełniacza) i *pegcetakoplan* (II linia leczenia pacjentów, u których wystąpiła niedokrwistość po leczeniu inhibitorem białka C5 dopełniacza).

PRZEWLEKŁA BIAŁACZKA SZPIKOWA

Nie u wszystkich pacjentów da się ją łatwo leczyć

Profesor Tomasz Sacha o leczeniu polskich pacjentów z przewlekłą białaczką szpikową, które dzięki wprowadzeniu sprawdzonych leków generycznych oryginalnej substancji – *imatynibu* jest w pełni dostępne dla polskich chorych oraz o tym, jak istotne znaczenie miała refundacja substancji *ponatynib* dla określonej grupy pacjentów z ostrą białaczką szpikową.

Foto: https://hematoonkologia.pl

Zapis fragmentu rozmowy z prof. dr hab. n. med. Tomaszem Sachą, kierownikiem Katedry i Kliniki Hematologii UJ CM przeprowadzonej przez red. Aleksandrę Rudnicka na vlogu oli-onko.pl 22 maja 2022 r.

Panie profesorze, co jest przyczyną powstania przewlekłej białaczki szpikowej?

Dla przewlekłej białaczki szpikowej charakterystyczny jest chromosom Philadelphia, który powstaje u pacjenta na początku rozwoju tej choroby i jest przyczyną jej dalszego rozwoju. W jego obrębie powstaje gen BCR, który produkuje białko o charakterze enzymu, mające 1000-krotnie większą aktywność niż inne prawidłowe kinazy tyrozynowe.

Odkrywszy ten mechanizm jesteśmy w stanie wyprodukować leki, które w pewnym konkretnym miejscu to białko enzymatyczne blokują, doprowadzając do tego, że komórki przestają się dzielić w sposób niekontrolowany i następnie mogą być poddane kontroli naszego układu immunologicznego. Dzięki temu jesteśmy w stanie zahamować tę chorobę i cofnąć jej rozwój.

Na podstawie jakich badań stwierdzamy, że u pacjenta wystąpiła remisja choroby?

Wykonujemy badanie morfologii z rozmazem, które informuje czy została osiągnięta odpowiedź hematologiczna, badanie cytogenetyczne na poziomie chromosomów sprawdzające, czy uzyskano odpowiedź cytogenetyczną oraz badania metodami biologii molekularnej, które dają nam bardzo głęboki wgląd i jesteśmy w stanie metodą ilościowej reakcji łańcuchowej, czyli PCR, wykryć jedną komórkę nowotworową wśród miliona komórek zdrowych. U dużej części chorych jesteśmy w stanie doprowadzić do zniknięcia komórek, które mają ekspresję genu BCR-ABL. Okazuje się jednak, że do osiągnięcia bardzo długotrwałej remisji i znacznego przedłużenia przeżycia nie jest to konieczne; wystarczy osiągnięcie większej odpowiedzi molekularnej, a to udaje się w bardzo dużej grupie chorych.

Jakie leki wywołują remisję przewlekłej białaczki szpikowej?

Jak wspomniałem, mamy leki, które są inhibitorami, czyli blokerami kinaz tyrozynowych, a kinazą tyrozynową jest enzym powstający na matrycy genu BCR-ABL, który działa w sposób niekontrolowany u chorych na białaczkę szpikową. Leki te zostały wdrożone szeroko w świecie do leczenia PBSz w roku 2000. Mamy 23 lata doświadczeń z tymi lekami. Najpierw zauważyliśmy, że one znakomicie doprowadzają do remisji hematologicznej, potem cytogenetycznej, a później nawet na poziomie molekularnym.

Musieliśmy nauczyć się, jak ta remisja molekularna przebiega, przypisując jej odpowiednie znaczenia. Wiemy, że osiągnięcie kolejnych etapów konkretnych odpowiedzi ma znaczenie dla dalszego leczenia, dlatego wyznaczone zostały punkty czasowe. W przebiegu tego procesu określamy tzw. optymalną odpowiedź, mamy też nieoptymalną odpowiedź, no i mamy oczywiście niepowodzeniem leczenia.

W 2000 r. pierwszym lekiem, pierwszym inhibitorem kinaz tyrozynowych był *imatynib*. W 2014 r. w Polsce zostały zarejestrowane generyki tego leku, a lek oryginalny przestał być refundowany. Muszę powiedzieć, że już wtedy ten dostęp

do leczenia w Polsce na szczęście był dobry, za nami były czasy, kiedy musiałem jedno opakowanie *imatynibu* dzielić nożyczkami wśród kilkunastu pacjentów, którzy przychodzili do naszej poradni. Natomiast rzeczywiście wprowadzenie generyków *imatynibu* spowodowało, że nakłady na to leczenie spadły diametralnie, dlatego że do tego czasu takie jedno opakowanie, miesięczna kuracja kosztowała w graniach 9,5 tys. zł, a w tej chwili oscyluje w okolicach 200/300 zł za miesiąc.

Jest jednak nieliczna grupa pacjentów z przewlekłą białaczką szpikową, którzy nie odpowiadają na leczenie dostępnymi inhibitorami kinaz tyrozynowych, u których leczenie nie jest łatwe. Jaka to populacja pacjentów i jaki lek jest im potrzebny?

Tym lekiem jest *ponatynib*. Jest to lek, który był badany u chorych nie odpowiadających na poprzednie linie leczenia. Przeprowadzono szereg badań klinicznych, w których *ponatynib* stosowano w II, III, IV, a także I linii. Jest to lek, który działa na komórki z mutacją wywołująca oporność na wszystkie do tej pory stosowane inhibitory. Jest to mutacja T315I w obrębie genu ABL.

Jaki jest mechanizm działania tego leku i w jakich sytuacjach klinicznych go stosujemy?

U pacjentów z opornością, kształt kieszonki, do której mają wpasowywać się inhibitory kinaz tyrozynowych zmienia się i leki stosowane w leczeniu PBSz już nie pasują do tej kieszonki, w związku z tym gen BCR-ABL i enzym BCR-ABL nie są hamowane. A *ponatynib* przyłącza się w trochę innym miejscu. Jemu ta zmiana konformacji, czyli kształtu tej kieszonki, nie przeszkadza. On potrafi zablokować komórki z bardzo wieloma mutacjami, łącznie z mutacją T315I, która daje oporność na pozostałe inhibitory. Ta mutacja występuje u chorych na szczęście stosunkowo rzadko. Natomiast jeżeli wystąpi, to żaden z tych innych inhibitorów poza *ponatynibem* nie działa. *Ponatynib* stosujemy w sytuacji nietolerancji lub niepowodzenia leczenia poprzednimi inhibitorami kinaz tyrozynowych czyli *imatynibem*, *dazatynib*, *bosutynibem* lub *nilotynibem*. W sytuacji oporności jest tak, że leczymy pacjenta najpierw inhibitorem I generacji, potem sięgamy po inhibitor II generacji i jeżeli występuje oporność na to leczenie, to ostatnie zalecenia ELN mówią o tym, że już nie sięgamy po kolejny inhibitor z tej drugiej półki, tylko sięgamy właśnie po *ponatynib*.

W sytuacji nietolerancji, kiedy pacjent nie toleruje *imatynibu*, nie toleruje *nirnilotynibu, dazatynibu, bosutynibu*, wtedy przychodzi kolej na *ponatynib*. Trzecia sytuacja to taka, kiedy pacjenci, u których mamy niepowodzenie leczenia *imatynibem* i sprawdzamy, co jest przyczyną tej oporności i okazuje się, że u pacjenta występuje mutacja T315I, to wtedy nie sięgamy już po żaden z innych inhibitorów, tylko od razu podajemy *ponatynib*.

Jakie są działania niepożądane ponatynibu i czy sobie z nimi radzimy?

Jest to lek, który działa bardzo dobrze, jest bardzo skuteczny, ale musi pozostawać w rękach doświadczonych hematologów, dlatego że wywołuje u kilkunastu procent pacjentów działania niepożądane w obrębie układu sercowo naczyniowego. Stwierdzono w badaniach klinicznych, że dochodzi do powikłań w obrębie mózgu dających udary niedokrwienne, dochodzi do zawałów serca. Podając ten lek oceniamy dokładnie czynniki ryzyka choroby sercowo-naczyniowej. Sprawdzamy dokładnie, czy nie ma innych modyfikowalnych czynników ryzyka, czy pacjent pali papierosy, nie ma otyłości, czy ma dobrze kontrolowane nadciśnienie.

W tej chwili, trzeba to powiedzieć, że te działania niepożądane stosowania *ponatynibu* znacznie się zmniejszyły, a to dzięki temu, że nauczyliśmy się leczyć tym lekiem. Dawniej, w badaniu klinicznym, stosowaliśmy dawkę 45 mg, która standardowo była podawana na początku leczenia. Okazało się, że przy tej dawce powikłań jest dosyć sporo. Po kolejnych badaniach okazało się, że można tę dawkę zmniejszyć.

Po osiągnięciu remisji cytogenetycznej okazuje się, że każde zmniejszenie o jeden poziom dawkowania, czyli z 45 do 30, z 30 do 15 mg na dobę zmniejsza ryzyko powikłań zatorowo-zakrzepowych o 30 proc. W związku z tym pacjenci, którzy uzyskują dobrą odpowiedź w trakcie leczenia – co dzieje się nawet w przeciągu pierwszych dwóch, trzech miesięcy – natychmiast jak tylko uda się to potwierdzić, mają podawane mniejsze dawki. Redukujemy dawkę w większości przypadków do 15 mg, w niektórych przypadkach do 30 mg. Ta dawka jest w stanie podtrzymać tę odpowiedź i ją pogłębić, natomiast ma zdecydowanie mniej działań niepożądanych. W mojej opiece pozostaje kilku pacjentów otrzymujących *ponatynib* właśnie w dawce 15 mg już od wielu lat, ponieważ on był wcześniej dostępny w ramach badań klinicznych w naszym kraju, ale także w ramach programu wczesnego dostępu, w ramach darowizn od producenta.
Obecnie, po 6-letnich staraniach, od 2020 r. *ponatynib* jest refundowany w Polsce dla pacjentów z przewlekłą białaczką szpikową i ostrą białaczką limfoblastyczną z obecnym chromosomem Philadelphia.

Dziękuję za rozmowę
Aleksandra Rudnicka

LECZENIE CHORYCH NA NAJCZĘSTSZE TYPY CHŁONIAKÓW

Prof. dr hab. n. med. Iwona Hus, prezes Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów omawia terapie stosowane w leczeniu chłoniaków i aktualne zmiany w programach lekowych, których wprowadzenie poprawia rokowania pacjentów.

Hematologia jest dynamicznie rozwijającą się dziedziną medycyny. Korzystne zmiany w standardach postępowania, poprawiające skuteczność leczenia, obserwujemy niemal na każdej hematologicznej konferencji naukowej. Ten trend dotyczy również chłoniaków, czyli nowotworów układu chłonnego.

CHŁONIAKI – CO TO ZA CHOROBA?

Szacuje się, że chłoniaki stanowią ok. 2-5% zachorowań na wszystkie nowotwory złośliwe. Chłoniaki to heterogenna grupa nowotworów złośliwych, które powstają w wyniku klonalnej proliferacji limfocytów B, limfocytów T i komórek NK na różnych etapach dojrzewania.

Pierwszy objaw chłoniaków to najczęściej powiększenie węzłów chłonnych, ale często objawy bywają niespecyficzne i mogą być mylone z objawami przeziębienia, przemęczenia, czy innych częstych chorób. Klinicyści dzielą chłoniaki na dwie grupy: agresywne (o szybkim przebiegu) oraz indolentne (o wolniejszym przebiegu). W klasyfikacji WHO wyróżnia się kilkadziesiąt typów chłoniaków, które tradycyjnie dzieli się na dwie grupy: chłoniaki Hodgkina (HL – 10%) i chłoniaki nie-Hodgkina (NHL – 90%). Jako najczęściej występujące chłoniaki wymienia się: chłoniaka rozlanego z dużych komórek B (DLBCL – 20-30% przypadków), chłoniaka grudkowego (FL – ok. 20% przypadków). Chłoniak Hodgkina (HL) stanowi około 10% przypadków.

LECZENIE WYBRANYCH TYPÓW CHŁONIAKÓW

Chłoniak Hodgkina to choroba uznawana za dobrze poddającą się leczeniu. Pacjenci najczęściej otrzymują chemioterapię, radioterapię lub połączenie tych dwóch metod jako leczenie pierwszego rzutu. Większość przypadków HL jest chemiowrażliwa, co sprawia, że duża grupa pacjentów może być wyleczona. W leczeniu pacjentów w nawrocie stosowany jest *brentuksymab wedotin,* który jest w Polsce refundowany w tym wskazaniu. Badania wskazują, że lek ten jest również skuteczny w I linii leczenia chorych z chłoniakiem Hodgkina, w której nie jest on dostępny. Jest to ciągle niezaspokojona potrzeba pacjentów.

DLBCL, czyli chłoniak rozlany z dużych komórek B jest zwykle leczony chemioimmunoterapią w pierwszej linii z intencją wyleczenia (rozpowszechnione postępowanie R-CHOP, czyli czyli połączenie *rytuksymabu* z *cyklofosfamidem, doksorubicyną, winkrystyną* i *prednizonem*). Całkiem niedawno, bo w 2022 roku, w Polsce udostępniono też w ramach programu lekowego innowacyjne terapie dla pacjentów z nawrotowym/opornym na leczenie DLBCL – terapie

CAR-T, czyli leki tworzone indywidualnie dla każdego pacjenta z wykorzystaniem jego własnych limfocytów, oraz nowy koniugat przeciwciało – lek (*polatumumab wedotyny*) i przeciwciało anty-CD19 (*tafasytamab*).

NOWE MOŻLIWOŚCI LECZENIA CHŁONIAKÓW

Postęp w dostępie do nowoczesnych technologii lekowych w Polsce jest ogromny, a kolejne listy refundacyjne przynoszą dobre informacje dla pacjentów. Rejestrację Europejskiej Agencji Leków (EMA) otrzymują coraz to nowe terapie, dzięki którym możliwa jest dalsza poprawa rokowania pacjentów. Nie wszystkie te leki są obecnie refundowane w Polsce.
Przykładem jest *polatuzumab wedotyny* w skojarzeniu ze standardową chemioterapią. Jest to pierwsza terapia od 20 lat, która wykazała przewagę kliniczną nad dotychczasowym standardem leczenia w pierwszej linii leczenia chłoniaków rozlanych z dużych komórek B. Jej znaczenie wynika z faktu, że największą szansę na trwałe wyleczenie daje skuteczne postępowanie w pierwszej linii leczenia, a dla 40% pacjentów z DLBCL rokowanie i szanse na trwałe wyleczenie w pierwszej linii przy zastosowaniu schematu R-CHOP są niepomyślne. Zastosowanie *polatuzumabu wedotyny* pozwala zmniejszyć ryzyko progresji, nawrotu choroby i zgonu o 27% w porównaniu do obecnego standardu leczenia. Zastosowanie w pierwszej linii leczenia schematu Pola-R-CHP może zmniejszyć liczbę chorych wymagających terapii w drugiej linii leczenia o 27% w ciągu 10 lat w porównaniu z dotychczasowym standardem leczenia. Szczególną korzyść z leczenia odnoszą chorzy z niekorzystnym ryzykiem (3-5 punktów w skali IPI, *International Prognostic Index*).

Warto również wspomnieć o najczęstszym z chłoniaków indolentnych, chłoniaku grudkowym. Wyniki leczenia immunochemioterapią pierwszej linii pozwalają u większości chorych uzyskać długą odpowiedź, ale z każdą kolejną linią leczenia chłoniak staje się coraz bardziej oporny na leczenie, istotne wydaje się zatem zwrócenie uwagi na zabezpieczenie opcji terapeutycznych dla pacjentów, którzy potrzebują kolejnych linii leczenia. Wyniki badań klinicznych ostatnich lat przyczyniły się do rejestracji nowych leków także dla tej grupy pacjentów. Dużą skuteczność wykazano w badaniach klinicznych z przeciwciałem bispecyficznym *mosunetuzumabem.* Około 80% pacjentów z nawrotowym lub opornym na leczenie chłoniakiem grudkowym (FL) odpowiedziało na leczenie już po niespełna 1,5 miesiąca terapii, a ok. 60% pacjentów uzyskało całkowitą remisję. U większości chorych, którzy uzyskali całkowitą odpowiedź (CR) trwała remisja utrzymuje się przez ponad 2 lata. Z powyższych względów *mosunetuzumab* bez wątpienia stanowi właściwą odpowiedź na niezaspokojone potrzeby w leczeniu trzeciej oraz kolejnych linii chłoniaka grudkowego.

ZMIANY W I LINII LECZENIA PBL

Istotne zmiany pojawiły się w ostatnim czasie w leczeniu pierwszej linii przewlekłej białaczki limfocytowej. W badaniach klinicznych 2. i 3. fazy wykazano skuteczność schematów leczenia skojarzonego bez chemioterapii u młodszych chorych, bez istotnych chorób współistniejących. Dotychczas ta strategia była oceniana przede wszystkim u chorych starszych obciążonych chorobami współistniejącymi. Obecnie wiadomo, że również chorzy młodsi odnoszą większą korzyść z leczenia bez chemioterapii (*wenetoklaks* i *obinutuzumab*) zarówno w odniesieniu do dłuższego czasu do progresji choroby, jak i mniejszej toksyczności w postaci zakażeń i wtórnych nowotworów w porównaniu do immunochemioterapii. Drugim schematem bez chemioterapii, który uzyskał rejestrację EMA do leczenia pierwszej linii chorych na PBL jest *wenetoklaks* z *ibrutynibem*.
Dostęp do omawianych terapii pozwoliłby na dalszą optymalizację leczenia chorych na nowotwory układu chłonnego w Polsce, zwiększając skuteczność przy dobrej tolerancji leczenia.

OBWIESZCZENIE REFUNDACYJNE NR 71 (1 WRZEŚNIA 2023 R.)

Na liście refundacyjne obowiązującej od 1 września 2023 r. znalazły się dwa leki dla pacjentów hematoonkologicznych:

1/ Terapia CAR-T (*breksukabtagen autoleucel*) w leczeniu chorych na chłoniaki B-komórkowe (ICD-10: C82, C83, C85) w II lub kolejnych liniach u dorosłych pacjentów z opornym lub nawrotowym chłoniakiem z komórek płaszcza (MCL), którzy uprzednio otrzymali co najmniej dwie linie leczenia systemowego, w tym inhibitor kinazy tyrozynowej Brutona.

2/ *Ruksolitynib* dla pacjentów od 12 roku życia z ostrą lub przewlekłą chorobą przeszczep przeciwko gospodarzowi (GvHD) po przeszczepieniu allogenicznych krwiotwórczych komórek macierzystych i z niewystarczającą odpowiedzią na leczenie kortykosteroidami (ICD-10:T86.0).

DIAGNOSTYKA GENETYCZNA W HEMATOLOGII

na przykładzie ostrej białaczki szpikowej

Prof. dr hab. n. med. Artur Kowalik, kierownik Zakładu Diagnostyki Molekularnej Świętokrzyskiego Centrum Onkologii w Kielcach na przykładzie ostrej białaczki szpikowej przedstawia złożoność badań diagnostycznych w hematologii, wymagających diagnostyki genetycznej z zastosowaniem najnowszych technologii (NGS).

Dynamiczny rozwój metod biologii molekularnej, a zwłaszcza sekwencjonowania następnej generacji (NGS) umożliwił zgromadzenie nowej wiedzy o podłożu genetycznym chorób nowotworowych. Dzięki tej wiedzy rozwinęła się, i nadal bardzo dynamicznie rozwija, farmakoterapia w postaci terapii celowanych nakierowanych na specyficzne cele molekularne, która jest skuteczniejsza oraz lepiej tolerowana przez pacjentów w porównaniu do klasycznej chemioterapii.

OSTRA BIAŁACZKA SZPIKOWA (AML)

Jednym z nowotworów, którego diagnostyka i stratyfikacja do terapii ukierunkowanych molekularnie zależą od zastosowania nowoczesnych testów diagnostycznych jest **ostra białaczka szpikowa (AML, ang. *acute myeloid leukemia*).**

To choroba układu krwiotwórczego, w której dochodzi do niekontrolowanego gromadzenia się komórek nowotworowych (blastów – niedojarzałe białe krwinki) w szpiku kostnym. Rozrost blastów powoduje zakłócenie prawidłowego funkcjonowania szpiku, a tym samym wytwarzania krwinek. Zaburzenia mogą dotyczyć krwinek czerwonych, krwinek białych oraz płytek.

Ostatecznie prowadzi to do produkcji nieprawidłowych komórek krwi, co może wpływać na zdolność organizmu do zwalczania infekcji, prowadzić do anemii lub problemów z krwawieniem. Dodatkowo **AML charakteryzuje się bardzo dużą dynamiką, przez co kluczowe dla efektów leczenia jest wczesne rozpoznanie i wdrożenie leczenia.**

Choroba również może się rozprzestrzeniać poza szpik, a wtedy blasty lokalizują się w skórze, dziąsłach czy układzie nerwowym. Niekiedy komórki białaczkowe mogą tworzyć lity guz zwany mięsakiem szpikowym.

EPIDEMIOLOGIA AML

AML jest najczęstszym typem ostrej białaczki u dorosłych, który stanowi około 80% wszystkich zachorowań na ostre białaczki. Szacuje się, że w każdym roku w Polsce zapada na nie 550 osób w wieku <60 r.ż. i około 800 w wieku >60 r.ż. Częściej jest diagnozowana u mężczyzn. Średni wiek zachorowania to 65 lat, a ryzyko rozwoju wzrasta wraz z wiekiem i powyżej 65. roku życia jest 10-krotnie wyższe w porównaniu do osób młodych w wieku 30-35 lat. **Co ważne, AML ma najniższy wskaźnik przeżywalności wśród wszystkich białaczek.**

CZYNNIKI RYZYKA ROZWOJU AML

Czynniki ryzyka rozwoju AML to: leczenie w przeszłości chemioterapią lub radioterapią, płeć męska, starszy wiek, palnie tytoniu, narażenie na promieniowanie w środowisku (np. promieniowanie jonizujące) lub na działanie substancji chemicznej – benzenu. Występowanie w przeszłości zaburzeń

układu krwiotwórczego, takich jak zespół mielodysplastyczny, a także występowanie pewnych zespołów lub zaburzeń dziedzicznych takich jak:

- pierwotne niedobory odporności: zespół ataksja-teleangiektazja, zespół Brutona, SCID, zespół Wiskotta i Aldricha, niedobór IgA, zespół Shwachmana i Diamonda,
- zespół Downa, zespół Blooma, niedokrwistość Diamonda i Blackfana, niedokrwistość Fanconiego i inne,
- mutacje germinalne (dziedziczne) w następujących genach: TP53, RUNX1, GATA2 i CEBPA, które wykazują związek z rodzinnym występowaniem AML.

OBJAWY

Wczesne objawy AML mogą obejmować: łatwe siniaczenie lub krwawienie, bladość lub utratę normalnego koloru skóry, utratę wagi lub utratę apetytu, osłabienie lub poczucie zmęczenia, gorączkę, infekcje, duszność, szum w uszach. **Objawy AML mogą również przypominać te powodowane przez grypę.**

DIAGNOSTYKA AML

Dla postawienia rozpoznania przeprowadza się następujące badania:

- Badanie fizykalne oraz wywiad.
- Morfologia krwi z rozmazem.
- Badanie immunofenotypu z wykorzystaniem cytometrii przepływowej.
- Biopsja szpiku kostnego.
- Biopsja guza w przypadku mięsaka szpikowego.
- Immunofenotypowanie.
- **Diagnostyka genetyczna: cytogenetyka wraz z cytogenetyką molekularną, badanie genetyczne metodą qPCR, badanie metodą NGS.**

KLASYFIKACJA AML ELN 2022

Dzięki postępom, jakie dokonały się ostatnio w badaniach podstawowych wiemy, że AML nie jest jedną chorobą, ale grupą chorób. Aktualna klasyfikacja wyróżnia:

a) 10 podtypów AML z nawracającymi nieprawidłowościami genetycznymi tj. ≥10% blastów w szpiku (BM) lub krwi obwodowej (PB),

b) mięsak szpikowy i AML o niejednoznacznym pochodzeniu,

c) kategorie oznaczone jako AML (≥20% blastów w BM lub PB) lub MDS/AML (10-19% blastów w BM lub PB),

d) proliferacje mieloidalne związane z zespołem Downa.

Powyższe jednostki jasno wskazują, na dużą złożoność grupy ostrych białaczek szpikowych, a tym samym złożoność wykonania prawidłowej diagnostyki dla postawienia rozpoznania.

Dla postawienia pełnej diagnozy oraz zaklasyfikowania pacjenta z ostrą białaczką szpikową do odpowiedniej grupy prognostycznej konieczne jest wykonanie badania cytogenetycznego oraz badań molekularnych z wykorzystaniem techniki qPCR jak i Sekwencjonowania Następnej Generacji (NGS).

Obecnie również wykrywane mutacje mają znaczenie predykcyjne, tj. umożliwiają dodanie do standardowej chemioterapii leków ukierunkowanych molekularnie, np. w przypadku wykrycia mutacji w genie FLT3 czy w genach IDH1/2. Tego typu kombinacje terapii zwiększają ich skuteczność.

DIAGNOSTYKA GENETYCZNA

W badaniu cytogenetycznym określamy zaburzenia dotyczące liczby oraz struktury chromosomów, a w badaniach genetycznych określamy zaburzenia na poziomie sekwencji DNA (np. mutacje, translokacje).

Aby wykonywać badania genetyczne ośrodek leczący musi posiadać w swoich strukturach: specjalistyczne laboratorium posiadające przygotowaną kadrę diagnostów laboratoryjnych oraz sprzęt to wykonywania badań cytogenetycznych, badań FISH oraz badań molekularnych metodą PCR oraz NGS. Materiałem, jaki pobiera się od pacjenta do wykonania badania genetycznego jest szpik kostny lub krew.

Konwencjonalna analiza cytogenetyczna jest obowiązkowa w ocenie AML. Jeśli konwencjonalna cytogenetyka zawiedzie, hybrydyzacja fluorescencyjna *in situ* jest alternatywą w celu wykrycia specyficznych nieprawidłowości, takich jak fuzje genów RUNX1::RUNX1T1, CBFB::MYH11, KMT2A (MLL) iMECOM (EVI1) lub nieprawidłowości chromosomowe związane z mielodysplazją, np. utrata części chromosomu: 5q, 7q lub 17p.

Dodatkowo dla pacjentów z wykrytymi mutacjami w NPM1 i CBF, zaleca się oznaczenie ilościowe transkryptów z wykorzystaniem metody ilościowego PCR (qPCR) lub cyfrowego (dPCR) w czasie diagnozy, a następnie monitorowanie choroby resztkowej (MRD) w trakcie trwania leczenia pacjenta. Monitorowanie choroby resztkowej służy zwiększeniu skuteczności leczenia poprzez wczesne

wykrywanie wznowy oraz szybkie rozpoczęcie kolejnej linii leczenia. Należy zaznaczyć, że obecnie trwają intensywne badania (również w naszym kraju) dotyczące wykorzystania techniki NGS (ocena kilkudziesięciu mutacji w jednym teście) w monitorowaniu MRD u pacjentów z AML.

Ostatnie zalecenia 2022 European LeukemiaNet wskazują na konieczność oceny przynajmniej kilkudziesięciu zaburzeń genetycznych dla prawidłowej diagnostyki pacjenta w kierunku AML (Tabela 1).

Tabela 1: Testy genetyczne w diagnostyce AML

ANALIZA GENETYCZNA	PREFEROWANY CZAS UZYSKANIA WYNIKU
Cytogenetyka	5-7 dni
Badania w kierunku mutacji genów wymagane do ustalenia rozpoznania i identyfikacji celów terapeutycznych do zastosowania leków ukierunkowanych molekularnie	
FLT3, IDH1, IDH2	3-5 dni
NPM1	3-5 dni
CEBPA, DDX41, TP53, ASXL1, BCOR, EZH2, RUNX1, SF3B1, SRSF2, STAG2, U2AF1, ZRSR2	Pierwszy cykl
Badania w kierunku wykrycia rearanżacji	
PML::RARA, CBFB::MYH11,RUNX-1::RUNX1T1, rearanżacje KMT2A, BCR::ABL1, inne geny fuzyjne (jeśli dostępna ich ocena)	3-5 dni
Dodatkowe geny zalecane do badania w momencie diagnozy	
ANKRD26, BCORL1, BRAF, CBL, CSF3R, DNMT3A, ETV6, GATA2, JAK2, KIT, KRAS, NRAS, NF1, PHF6, PPM1D, PTPN11, RAD21, SETBP1, TET2, WT1	

Przestawiona powyżej złożoność diagnostyki genetycznej AML (kombinacja metod oraz mnogość testów) dotyczy również innych nowotworów hematologicznych takich jak np. przewlekła białaczka limfocytowa (CLL).

Dodatkowo konieczność wykonywania różnych badań genetycznych na etapie diagnozy to również znaczny koszty i dodatkowo bardzo duże trudności w finansowaniu badań cytogenetycznych, qPCR oraz NGS. Również są trudności w rozliczaniu badań genetycznych zlecanych z poziomu poradni hematologicznych i stosowanych do monitorowania skuteczności leczenia pacjentów tak jak ma to miejsce w przypadku leczenia przewlekłej białaczki szpikowej (CML) z wykorzystaniem inhibitorów kinaz.

PROBLEMY

Obserwujemy obecnie dynamiczne zwiększenie dostępu do nowoczesnych leków dla pacjentów z nowotworami hematologicznymi, a zwłaszcza z AML. Niestety zwiększenie dostępu do zaawansowanej diagnostyki genetycznej jest ciągle w tyle, a tym samym utrudnia dostęp do nowoczesnego i refundowanego leczenia.

Na ten obraz składa się kilka kwestii:

a) utrudniony dostęp do finansowania badań genetycznych ze środków Narodowego Funduszu Zdrowia (brak możliwości refundacji badań z materiału pobranego w trybie ambulatoryjnym),

b) niewystarczające finansowanie złożonych badań,

c) brak możliwości łączenia procedur wykonywanych dla jednego pacjenta,

d) niedobory kadrowe,

e) braki sprzętowe.

WYZWANIA NA NIEDALEKĄ PRZYSZŁOŚĆ

W celu poprawy dostępności do zaawansowanej oraz niezbędnej diagnostyki dla postawienia właściwego rozpoznania a tym samym prowadzenia optymalnego leczenia pacjentów z chorobami onkohematologicznymi trzeba szybko rozwiązać następujące problemy:

- umożliwienie finansowania badań wykonywanych na materiale pobranym ambulatoryjnie (w poradni hematologicznej),
- zwiększenie finansowania badań poprzez możliwość łączenia procedur („trzech koszyków") dla wykonywania pełnych badań (cytogenetycznych oraz molekularnych), dla postawienia prawidłowego rozpoznania choroby onkohematologicznej lub wprowadzenie „czwartego koszyka" wycenionego na około 8 tys. zł.
- uzupełnienie braków kadrowych oraz opracowanie planu efektywnego szkolenia dotyczącego zaawansowanej diagnostyki onkohematologicznej,
- uzupełnienie braków sprzętowych w postaci zakupu nowoczesnego sprzętu dla laboratoriów referencyjnych zajmujących się diagnostyką onkoheamtologiczną,

Skrót artykułu prof. Artura Kowalika z raportu BADANIA GENETYCZNE W POLSCE. STAN ONECNY, POTRZEBY, PROBLEMY, ROZWIĄZANIA. Pełny tekst artykułu jest dostępny w pliku na stronach: oli-onko.pl, sanitas.sanok.pl, all-can.pl

BEZPIECZEŃSTWO KRWI – BEZPIECZEŃSTWO PACJENTÓW

Przetoczenia koncentratów krwinek płytkowych u wrażliwych pacjentów – wyzwania, strategia i najlepsze praktyki

Prof. dr hab. n. med. Emilian Snarski, kierownik Klinicznego Oddziału Hematologii Szpitala Uniwersyteckiego im. Karola Marcinkowskiego w Zielonej Górze omawia problem bezpieczeństwa krwi, ryzyka infekcji krwi związanego z zakażeniem bakteryjnym oraz metody inaktywacji patogenów, które mogą temu zapobiec.

Krwinki płytkowe (trombocyty) są ważnym składnikiem krwi, istotnym w zapobieganiu i kontroli krwawień. Według Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w 2020 roku w Polsce przetoczono około 120 000 jednostek KKP (koncentratów krwinek płytkowych). Stosowane w aktywnych krwawieniach przy urazach i operacjach, płytki krwi są również krytyczną terapią wspomagającą w zapobieganiu krwawieniom u pacjentów onkohematologicznych, którzy otrzymują ponad połowę wytworzonych ogółem jednostek płytek krwi.

Biorąc pod uwagę zależność systemu opieki zdrowotnej od tego ratującego życie składnika krwi, potrzebne są środki w celu zapewnienia bezpieczeństwa i samowystarczalności. Krwinki płytkowe mają unikalne cechy, które wymagają szczególnej uwagi podczas ich wytwarzania i obchodzenia się z nimi. Na przykład **płytki krwi są przechowywane w temperaturze pokojowej, co czyni je podatnymi na proliferację bakterii i wpływa na relatywnie krótki czas przydatności wynoszący 5-7 dni.**

STRATEGIE OCHRONY PACJENTÓW PRZED TTBI

Badania przeprowadzone w Stanach Zjednoczonych i innych krajach wykazały, że **ryzyko kontaminacji bakteriami jednostki KKP wynosi od 1 na 1500 do 1 na 2500 jednostek KKP**, nawet jeśli stosuje się badania przesiewowe hodowli bakteryjnej.[1] Pacjenci onkologiczni, otrzymujący profilaktyczną lub doraźną terapię płytkową z powodu trombocytopenii związanej z leczeniem, mogą otrzymywać wielokrotne transfuzje płytek krwi, co dodatkowo zwiększa **ryzyko infekcji bakteryjnej związanej z przetoczeniem (TTBI, ang. *transfusion transmited bacterial infection*)**.

W Polsce obecnie nie ma wymogu badania KKP na obecność bakterii ani stosowania metod zapobiegającym zakażeniom bakteryjnym przed przetoczeniem składnika, jednak niektóre ośrodki rozpoczęły pilotażowe testy technologii inaktywacji patogenów (PIT) lub zaczęły z niej korzystać rutynowo.

Centra krwiodawstwa w wielu krajach europejskich i Ameryce Północnej wprowadziły strategie ograniczania ryzyka kontaminacji bakteriami w celu ochrony pacjentów przed TTBI. Niemcy zdecydowały się skrócić termin przydatności KKP do 4 dni, co miało dramatyczny wpływ na zwiększony poziom przeterminowania oraz niszczenia jednostek KKP, ale nie wpłynęło istotnie na częstość występowania TTBI.[2] Inne kraje wymagają, aby wszystkie wytwarzane

jednostki KKP były poddawane testom mikrobiologicznym lub PIT.

Podczas badań przesiewowych na obecność bakterii za pomocą hodowli ważna jest objętość i czas pobrania próbki ze składnika płytkowego. Ostatnie badania wykazały większe ryzyko wyników fałszywie ujemnych, gdy hodowla bakteryjna jest prowadzona przy użyciu próbek o objętości <16 ml i/lub próbek pobranych <48 godzin po pobraniu.[3]

W związku z tym **aktualnie stosowana metoda zwana jest techniką wielkoobjętościowego, opóźnionego pobierania próbek (LVDS)**, została przyjęta na szczeblu krajowym przez Narodową Służbę Zdrowia Zjednoczonego Królestwa[4] w 2011 r. oraz przez Kanadyjski system krwiodawstwa i Héma-Québec[5,6] w 2015 r. Podobne podejście stosowanych badań przesiewowych na obecność bakterii lub zastosowanie drugorzędowego środka bezpieczeństwa (szybkich testów) jest wymagane przez Amerykańską Agencję ds. Żywności i Leków (FDA)[7], gdy wytwarzane KKP nie są poddawane działaniu technologii inaktywacji patogenów PIT (Tabela 1).

TECHNOLOGIE INAKTYWACJI PATOGENÓW

Technologie inaktywacji patogenów PIT mają na celu inaktywację szerokiej gamy bakterii (a także wirusów, pierwotniaków i leukocytów), które mogą być obecne podczas pobierania płytek krwi od dawcy. Dwa systemy PIT do przetwarzania KKP otrzymały znak CE; jednak tylko jeden system PIT został przyjęty jako krajowy standard opieki w danym kraju i wykazano znaczne różnice w zdolnościach do inaktywacji patogenów w obu systemach. **Spośród dwóch metod dostępnych obecnie w Polsce stosowanie PIT z amotosalenem/UVA (INTERCEPT) zostało wprowadzone jako krajowy standard opieki** (tj. inaktywowane jest >50% wytwarzanych KKP) w wielu krajach, w tym w Szwajcarii, Francji i Wielkiej Brytanii czy Stanach Zjednoczonych. W krajach, w których stosuje się INTERCEPT, stwierdza się zmniejszenie częstości TTBI, często do zera.

Niedawne badanie przeprowadzone w Wielkiej Brytanii wykazało, że spośród dwóch certyfikowanych CE systemów PIT tylko technologia amotosalen/UVA skutecznie i nieodwracalnie chroni przed zakażeniem bakteryjnym podczas całego okresu przechowywania.[10]

Sprzeciw wobec zastosowania dodatkowych metod redukujących ryzyko zakażeń KKP (dodatkowych testów mikrobiologicznych lub PIT) wiąże się z ryzykiem zmniejszenia dostępności preparatów KKP (ze względu na utratę składnika podczas pobierania próbek lub jego przetwarzania) lub zwiększeniem kosztów ich uzyskiwania.

W badaniach zaadresowano te dwie wady związane z procesami redukcji ryzyka zakażeń KKP. Zwiększone przez PIT koszty mogą być minimalizowane przez wykorzystanie zlewanych preparatów oraz zmiany operacyjne innych etapów wytwarzania, przy jednoczesnym zwiększeniu dostępności KKP. PIT może również pozwolić na wydłużenie terminu przydatności KKP, poprawiając ich dostępność i zwiększając efektywność kosztową.[11]

Innym podejściem jest obniżenie minimalnej zawartości płytek krwi dla dawki terapeutycznej u dorosłych (w Polsce obecnie 3,0x10[11]). Może ono zapewnić składniki, które są tak samo skuteczne i bezpieczne jak KKP w wyższych dawkach, pomimo utraty płytek krwi w wyniku

Tabela 1: Bakteryjne pobieranie próbek płytek krwi w Wielkiej Brytanii, Kanadzie i Stanach Zjednoczonych[8,9]

KRAJ (służba krwi lub agencja regulacyjna)	**Opóźnienie przed pobraniem próbki** (godz.)	**Objętość próbki** (ml)	**Tlenowe** (ml)	**Beztlenowe**	**Czas wstrzymania** (godz.)
Wielka Brytania (NHSBT)	≥36	16[b]	8	8	6
Kanada (kanadyjskie służby krwi)	≥36	20[cd]	8-10	8-10	6
Kanada (Héma-Québec)	≥48	20[w]	10	10	12
Stany Zjednoczone (FDA)[e]	≥48	16	8	8	12

[a] Dane z Wielkiej Brytanii i Kanady oparte są na rutynowym stosowaniu BacT /Alert®, Biomérieux , Marcy- l'Étoile , Francja). Wytyczne amerykańskiej FDA dotyczące 7-dniowego LVDS wymagają użycia urządzenia do badania bakteryjnego oznaczonego jako „środek bezpieczeństwa". Obejmuje to system BacT/Alert.
[b] Pobieranie próbek podzielonej jednostki.
[c] Pobieranie próbek pojemnika macierzystego.
[d] Dla podwójnych KKP z aferezy, objętość 40 ml, z 3 butelkami tlenowymi i jedną beztlenową.
[e] Dotyczy tylko KKP z aferezy. Próbki każdej jednostki KKP z podzielonej aferezy należy pobierać oddzielnie.

Photo by Aman Chaturvedi on Unsplash

pobierania próbek lub przetwarzania. Rzeczywista zawartość płytek krwi może być wskazana na etykiecie każdego składnika, co pozwala klinicystom na określenie dawki dostarczanej z każdą transfuzją. Ta zmiana nie tylko poprawia praktykę kliniczną, ale pozwala na bardziej efektywne wykorzystanie każdej jednostki KKP uzyskanej od dawców.

PODSUMOWANIE – BEZPIECZEŃSTWO I DOSTĘPNOŚĆ KKP DLA PACJENTA

Ostatecznym celem transfuzji jest zawsze posiadanie bezpiecznego składnika krwi dostępnego dla każdego potrzebującego pacjenta. Przewiduje się, że wraz ze starzeniem się polskiego społeczeństwa wzrastać będzie liczba chorób wymagających przetaczania koncentratów krwinek płytkowych, co spowoduje większe zapotrzebowanie na zaopatrzenie w płytki krwi.

Obecnie podejmowane są działania na rzecz zwiększania samowystarczalności w zakresie zaopatrzenia w krew i jej składniki. Przyjęcie strategii ograniczania ryzyka kontaminacji bakteryjnych stosowanych w innych krajach, w połączeniu z obniżeniem dawki terapeutycznej (dla dorosłych) i wdrożeniem usprawnień procesów, może pomóc w zapewnieniu zarówno bezpieczeństwa, jak i dostępności ratujących życie składników krwi – w tym KKP.

Z powodu następujących zmian demograficznych oraz wzrastającej liczby schorzeń, które zwiększają zapotrzebowanie na składniki krwi – konieczne jest rozważenie stabilnych oraz ciągłych inwestycji w bezpieczeństwo oraz zapewnianie dostępność krwi i jej składników tak, aby zapewnić zaopatrzenie i samowystarczalność w płytki krwi u 100% pacjentów w Polsce teraz i w przyszłości.

[1] Dumont LJ, et al. Screening of single-donor apheresis platelets for bacterial contamination: the PASSPORT study results. Transfusion. 2010;50:589-599.
[2] Vollmer T, Hinse D, Diekmann J, Knabbe C, Dreier J. Extension of the Storage Period of Platelet Concentrates in Germany to 5 Days by Bacterial Testing: Is it Worth the Effort? Transfus Med Hemother. 2019 Apr;46(2):111-113. doi: 10.1159/000499543. Epub 2019 Mar 14. PMID: 31191197; PMCID: PMC6514479.
[3] Hong H, Xiao W, Lazarus H, et al. Detection of septic transfusion reactions to platelet transfusions by active and passive surveillance. Blood. 2016;127(4):496-502. DOI:10.1182/blood-2015-07-655944.
[4] McDonald C, Allen J, Brailsford S, et al. Bacterial screening of platelet components by National Health Service Blood and Transplant, an effective risk reduction measure. Transfusion. 2017;57(5):1122-1131. doi:10.1111/trf.14085.
[5] Ramirez-Arcos S, Evans S, McIntyre T, et al. Extension of platelet shelf life with an improved bacterial testing algorithm [published correction appears in Transfusion. 2021 Oct;61(10):3054]. Transfusion. 2020;60(12):2918-2928. doi:10.1111/trf.16112.
[6] Delage G, Bernier F. Bacterial culture of platelets with the large volume delayed sampling approach: a narrative review. Ann Blood 2021;6:30.
[7] US Food and Drug Administration. Bacterial Risk Control Strategies for Blood Collection Establishments and Transfusion Services to Enhance the Safety and Availability of Platelets for Transfusion. Final Guidance for Industry, December 2020.
[8] Kamel H, Ramirez-Arcos S, McDonald C; ISBT Transfusion-Transmitted Infectious Disease Bacterial Working Party Bacterial Subgroup. The international experience of bacterial screen testing of platelet components with automated microbial detection systems: An update. Vox Sang. 2022;117(5):647-655.
[9] US Food and Drug Administration. Bacterial Risk Control Strategies for Blood Collection Establishments and Transfusion Services to Enhance the Safety and Availability of Platelets for Transfusion. Final Guidance for Industry, December 2020
[10] McDonald C, Bearne J, Aplin K, et al. Assessing the inactivation capabilities of two commercially available platelet component pathogen inactivation systems: effectiveness at end of shelf life. Vox Sanquinis. 2021.
[11] Davison N, and Wills A. ABSTRACT P-094: Key drivers of cost-effectiveness for an amotosalen/ultraviolet a platelet pathogen inactivation technology. Vox Sanquinis. 2021 ISBT Abstracts: 70.
[12] Benjamin R, Katz L, Gammon R, et al. The argument(s) for lowering the US minimum required content of apheresis platelet components. Transfusion. 2019;59:779-788.

LEKI CHELATUJĄCE

Lepsza jakość życia pacjentów, oszczędność dla systemu

Transfuzje są procedurą stosowaną bardzo często u pacjentów hematologicznych. Ich groźnym działaniem niepożądanym jest odkładanie żelaza w organizmie. Dzięki lekom chelatującym można powstrzymać ten proces. Terapia ta nie jest jednak dostępna dla wszystkich pacjentów, o czym rozmawiamy z dr n. med. Katarzyną Budziszewską, kierownikiem Oddziału Diagnostyki Hematologicznej Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie.

Pani doktor, krew jest naturalnym lekiem, który nie ma swojego syntetycznego odpowiednika. Transfuzje krwi są jedną z metod leczenia pacjentów z chorobami hematologicznymi. U pacjentów z jakimi chorobami ta metoda jest najczęściej stosowana?

Powszechne określenie transfuzja krwi jest faktycznie przetoczeniem koncentratów krwinek czerwonych i jest nieodłącznym elementem leczenia przede wszystkim pacjentów z tzw. zespołami niewydolności szpiku u osób dorosłych i są to anemie aplastyczne oraz choroby nowotworowe takie jak zespoły mielodysplastyczne czy pierwotne zwłóknienie szpiku. Druga grupa to choroby wrodzone występujące u dzieci takie jak talasemie. W tych jednostkach chorobowych mówimy o stałym, systematycznym przetaczaniu preparatów krwi. Krew jest tutaj nieodzownym lekiem dla tych chorych.

Transfuzje są procedurą ratującą życie, jednak przewlekłe podawanie koncentratu czerwonych krwinek (erytrocytów) powoduje działania niepożądane. Na czym one polegają i w jakim sposób zagrażają pacjentom?

Krew jest lekiem ratującym życie – to nie jest slogan. Dzięki przetoczeniom pacjenci z zespołami mielodysplastycznymi żyją. Nie mniej jednak przetoczenia krwi, jak każdy lek, niosą ze sobą również powikłania. Możemy rozróżnić powikłania wczesne oraz późne, czyli odległe w czasie, będące efektem sumujących się przetoczeń. Te wczesne związane są z samą transfuzją. To przede wszystkim reakcje hemolityczne i reakcje alergiczne. Z kolei odległe powikłania są związane przede wszystkim z immunizacją pacjenta. Mówiąc kolokwialnie jest to „uczulenie" pacjenta na przetaczane preparaty i związane z tym reakcje, przede wszystkim niszczenia krwinek czerwonych czy też reakcji alergicznych w odpowiedzi na kolejne przetoczenie. Natomiast drugim bardzo poważnym i niekorzystnym efektem przetoczeń jest tzw. stan przeładowania żelazem – 1 ml przetaczanej krwi to 1 mg żelaza. Każde 2 jednostki przetoczonego koncentratu krwinek czerwonych to ponad 0,5 g żelaza. To powoduje, że pacjent, który otrzyma 100 jednostek, dostanie również 20 g żelaza, a to już bardzo dużo. Chory, którego zapotrzebowanie to 2 jednostki na miesiąc, otrzyma te 100 jednostek już po 4 latach. Żelazo odkłada się w komórkach narządów głównie miąższowych tj. wątroba, serce, trzustka, przysadka mózgowa. To niesie za sobą konsekwencje w postaci niewydolności tych narządów. Takie przeładowanie żelazem komórek wątroby może prowadzić do marskości wątroby, zwiększa ryzyko wystąpienia nowotworu wątroby. Jeżeli żelazo odkłada się w sercu, prowadzi to do niewydolności serca. Jeżeli uszkadza narządy endokrynne takie jak przysadka czy trzustka, to może prowadzić

do cukrzycy, niedoczynności przysadki, tarczycy. Z kolei uszkodzenie stawów spowodowane nadmiarem żelaza prowadzi do artropatii. Nadmiar wolnego żelaza, który znajduje się w organizmie zwiększa także ryzyko infekcji bakteryjnych czy grzybiczych. Przeładowanie żelazem jest poważnym stanem, który wpływa niekorzystnie na funkcjonowanie organizmu i zwiększa tzw. indeks chorób współistniejących u pacjenta, który już ma przewlekłą chorobę nowotworową.

Czy są leki, które mogą powstrzymać proces odkładania się żelaza w organizmie chorego leczonego przetoczeniami czerwonych krwinek?

Tak, w takiej sytuacji podaje się leki wiążące żelazo określane mianem terapii chelatującej. Są to leki, które mają związać nadmiar żelaza, znajdującego się jeszcze w surowicy, i nie doprowadzić do odkładania się go, a tym samym do uszkadzania komórek w istotnych życiowo narządach. Najstarszym lekiem jest *deferoksamina*, która musi być podawana w postaci wlewu dożylnego, podskórnego i to trwającego kilka, kilkanaście godzin dziennie. Im dłużej ten lek chealtujący jest podawany, a powinien być podawany 10/12 godzina na dobę 7 dni w tygodniu, tym większa jest szansa na związanie i „zabranie" z organizmu większej ilości żelaza. Leczenie *deferoksaminą* prowadzimy głównie w warunkach szpitalnych, chociaż możliwe jest podawanie w warunkach domowych, ale pod warunkiem zakupu specjalnej pompy.
Jest też lek doustny – *deferazyroks*, który również wiąże żelazo. Zaletą tego leku jest możliwość przyjmowania doustnie, w postaci tabletek. *Deferazyroks*, jak do tej pory nie jest objęty refundacją. W ostatnim czasie pojawił się na rynku lek generyczny *deferazyroksu*, ale również on jest stosunkowo drogi, co niestety ogranicza możliwość jego stosowania. Istnieje ogromna potrzeba, aby dla pacjentów leczonych przetoczeniami, ten lek był zdecydowanie bardziej dostępny.

Jacy chorzy są kwalifikowani do leczenia chelatorami według międzynarodowych i polskich zaleceń?

Według europejskich zaleceń są dwa parametry, którymi kierujemy się kwalifikując do tego leczenia. Jest to sumaryczna ilość przetoczeń, jaką pacjent już otrzymał oraz stężenie ferrytyny. W Europie stężenie ferrytyny już powyżej 1000 ng/ml jest wskazaniem do leczenia chelatującego. Natomiast jeśli chodzi o przetoczenia to już po przetoczeniu 20-25 jednostek koncentratów krwinek czerwonych mamy wskazanie do włączenia leczenia chelatującego.

Jaka jest korzyść kliniczna i dla jakości życia pacjenta z zastosowania terapii chelatujących?

Jeśli pacjent ma stale wdrożoną terapię chelatującą, to dzięki niej żelazo nie odkłada się w organizmie. To powoduje, że jesteśmy w stanie zapobiegać albo chociaż znacznie opóźnić uszkodzenia narządowe, co przekłada się w konsekwencji na zapobiegnie rozwojowi niewydolności tych narządów. Jakość życia pacjenta z cukrzycą, marskością wątroby czy niewydolnością serca jest znacznie gorsza niż w sytuacji stosowania terapii chelatującej.

Czy terapie chelatujące różnią się, np. działaniami niepożądanymi, czy można je dobrać do stanu klinicznego pacjenta, chorób współistniejących?

Decyzja o podaniu terapii chelatującej jest poprzedzona wieloma badaniami, zawsze musi uwzględniać występowanie chorób współistniejących. W kwestii działań niepożądanych terapie chelatujące trochę różnią się między sobą. *Deferoksamina* daje więcej powikłań neurologicznych związanych z narządami zmysłów: wzrokiem, słuchem. Natomiast *deferazyroks* daje więcej powikłań związanymi z zaburzeniami jelitowymi, żołądkowymi, niewydolnością nerek. U pacjentów z przewlekłą chorobą nerek, to *derefoksamina* będzie skuteczniejsza i bezpieczniejsza niż *deferozyroks*.

Czy w Polsce terapie chelatujące są standardem leczenia? A może są jakieś przeszkody w stosowaniu chelatorów: ograniczenia organizacyjne związane z podawaniem tych leków, czy związane z ich refundacją?

Terapie chelatujące są standardem leczenia i powinny być zalecane. Tylko ten standard jest czasami trudny do zastosowania. Jeżeli chodzi o stosowanie *deferoksaminy*, która jest dostępna, to podawanie jej jest trudniejsze organizacyjnie. Jeżeli chcemy to robić w warunkach domowych, to pacjent musi posiadać pompę. A jeśli lek podajemy w szpitalu, to musimy zapewnić miejsce dla tego pacjenta na oddziale i jest to kilkudniowa hospitalizacja. Takie podanie leku także wpływa na komfort i jakość życia pacjenta, bo codziennie przez wiele godzin jest podłączony do urządzeń, którymi jest podawany lek. Z kolei doustne stosowanie leku też jest utrudnione, ponieważ lek nie jest refundowany. Jego koszt jest wysoki - rzędu kilkuset złotych miesięcznie, więc nie każdy pacjent może sobie ten lek kupić. Lek w postaci tabletek jest dla pacjenta znacznie wygodniejszy, przyjmuje go w domu i nie jest ograniczony przez wielogodzinne podawanie leku dożylnie. Pacjent może prowadzić normalne życie.
Warto tutaj wspomnieć także o obciążeniu dla całego systemu ochrony zdrowia, bo jeśli pacjent nie otrzymuje terapii chelatującej, występuje u niego więcej powikłań, niewydolność narządów, które generują wielochorobowość, a ta znacznie zwiększa koszty leczenia. Z drugiej strony prowadzenie terapii chelatującej nawet tańszym lekiem, ale z koniecznością pobytu w szpitalu, nie tylko pogarsza jakość życia pacjentów, ale generuje dodatkowe, niemałe koszty hospitalizacji.

DOTACJA FUNDACJI DKMS

Pomoc psychologiczna pacjentom hematologicznym oraz ich bliskim w procesie leczenia i zdrowienia

Wiele osób kojarzy Fundację DKMS przede wszystkim jako Ośrodek Dawców Szpiku, a jest to również organizacja, która działa na rzecz poprawy warunków i jakości leczenia pacjentów z nowotworami i chorobami układu krwiotwórczego. Aby nieść tę pomoc najbardziej efektywnie w 2022 roku powołano do życia inicjatywę „Dotacja Fundacji DKMS". Jest to projekt grantowy, skierowany do organizacji pozarządowych, które pomagają zarówno pacjentom przebywającym w klinkach transplantacyjnych i na oddziałach hematologicznych w całej Polsce, jak i w domach, już po zakończeniu leczenia.

Głównym celem Dotacji Fundacji DKMS jest udzielenie wsparcia finansowego tym organizacjom, które w ramach zgłoszonych projektów będą niosły pomoc psychologiczną pacjentom hematologicznym oraz ich bliskim w procesie leczenia i zdrowienia. Ponadto, jest to obszar, który wymaga szczególnej uwagi. Niestety nie we wszystkich placówkach psycholodzy i psychoonkolodzy dostępni są na pełny etat, a na specjalistów przypada zbyt wielu chorych. Nie wszędzie zapewnione są odpowiednie warunki lokalowe – brak osobnego gabinetu nie pozwala na dobrą, wspierającą i dającą poczucie bezpieczeństwa pracę z pacjentem. Często zdarza się też tak, że psycholog angażowany jest dopiero wówczas, gdy pacjent jest w dużym kryzysie i wymaga pilnej, doraźnej pomocy. Brak jest kompleksowej opieki psychologicznej, która obejmowałaby zarówno pacjentów jak i ich bliskich.

O dotacje mogą ubiegać się organizacje pozarządowe działające na rzecz pacjentów z nowotworami i chorobami układu krwiotwórczego: stowarzyszenia, fundacje, instytucje pożytku publicznego. Wnioski składać można w dwóch kategoriach – wsparcia psychologicznego małych i młodych pacjentów hematologicznych (do 18 r.ż.) oraz wsparcia psychologicznego dorosłych pacjentów hematologicznych.

– *Rehabilitacja psychoonkologiczna stanowi realne wsparcie leczenia i ma na celu pomoc pacjentowi w nauczeniu radzenia sobie ze stresem, kryzysem i zmianami, jakie niesie choroba. Jest to proces, w którym niezbędne jest zbudowanie relacji i zaufania między pacjentem a terapeutą. To z kolei wymaga sprzyjających warunków czasowych i lokalowych, które na chwilę obecną, nie są zapewniane* – przyznaje prof. Marzena Samardakiewicz, prezes Polskiego Towarzystwa Psychoonkologicznego i członkini jury Dotacji Fundacji DKMS.

NAGRODZONE PROJEKTY

Łącznie, w ramach dotychczasowych dwóch edycji Dotacji Fundacji DKMS zgłoszono 53 projekty. Jury wyłoniło 16 beneficjentów, w gronie których znalazły się takie organizacje jak: **Fundacja Gajusz, Fundacja Anny Wierskiej „Dar Szpiku", Fundacja „Pomóż im" na Rzecz Dzieci z Chorobami Nowotworowymi i Hospicjum dla Dzieci, Fundacja Pokonaj Chłoniaka, Stowarzyszenie na rzecz Dzieci z Chorobami Krwi w Lublinie, Fundacja „W związku z rakiem", Słupskie Stowarzyszenie na Rzecz Rozwoju Hematologii i Transplantacji Szpiku, Fundacja Dobrze Że Jesteś, Dzieciaki Chojraki, Stowarzysze-**

nie Wspierania Transplantacji Szpiku i Onkologii Dziecięcej, Fundacja Pani Ani, Stowarzyszenie Unicorn, Fundacja Równie Ważni i Fundacja Zostaw Swój Ślad.

Wśród zrealizowanych projektów w ramach 1. edycji Dotacji były m.in.: program „Coaching Cancer", warsztaty dla wolontariuszy, a także dla lekarzy i pielęgniarek, dzięki którym zostali oni wyposażeni w wiedzę psychologiczną i umiejętność pracy z pacjentami hematologicznymi. Chorzy mogli natomiast skorzystać ze spotkań terapeutyczno-aktywizujących, jak również z konsultacji indywidualnych czy też telekonsultacji z psychologami, a także z cyklu warsztatów prowadzonych przez psychoonkologów i psychiatrów. W innym z projektów nowo zdiagnozowani mali pacjenci otrzymywali „niezbędnik adaptacyjny" pomagający w adaptacji do diagnozy choroby nowotworowej i hospitalizacji.

„Niezbędnik adaptacyjny" dla małych pacjentów, przygotowany przez Stowarzyszenie na Rzecz Dzieci z Chorobami Krwi w Lublinie.

Tegoroczni Beneficjenci rozpoczęli już wdrażanie kolejnych projektów takich jak: warsztaty psychologiczne dla pacjentów hematoonkologicznych oparte na metodzie Cancer Coaching; rozwój Ogólnopolskiej Sieci Onkowolontariatu dla pacjentów onkologicznych i hematologicznych zapewniając im jedyny w Polsce program stałego wsparcia zespołów wyszkolonych wolontariuszy onkologicznych; Chojrakowy Help Box obejmujący bajki terapeutyczne (pisane i audio) połączone z kartami o emocjach w chorobie oraz szkolenie z zasad stosowania kart terapeutycznych dla rodziców, wolontariuszy i personelu; warsztaty dla młodych survivors AYA (*Adolescent Young Adults*) połączone z inkubatorem potrzeb i pomysłów na poprawę jakości życia – pokazanie młodzieży i młodym dorosłym po leczeniu onkologicznym sposobów na radzenie sobie z trudnymi emocjami związanymi z chorobą i jej skutkami; ON_KOnsultacje – bezpłatne konsultacje psychologiczne dla chorych hematoonkologicznych i ich bliskich; organizację wyjazdu, podczas którego grupa pacjentów otrzyma wsparcie poprzez spotkania terapeutyczno-aktywizujące, spotkania samopomocowe dla rodziców i indywidualne spotkania z psychologiem; działania kierowane do rodzin, w tym pomoc psychologiczna i rozwojowa dla rodzeństwa dzieci chorujących hematologicznie oraz Wielką Księgę Baśni Terapeutycznych „Niezwykłe zwierzęta Ewy" – ONCO dekalog emocji, który będzie wspierał rodziców/opiekunów rodzin chorego dziecka oraz personelu medycznego w komunikacji na temat trudnych emocji z małymi pacjentami.

PROGRAM ROZWOJU POLSKIEJ TRANSPLANTOLOGII I WSPARCIA PACJENTÓW

Dotacja Fundacji DKMS powstała w ramach Programu Rozwoju Polskiej Transplantologii i Wsparcia Pacjentów, który jest realizowany przez Fundację DKMS od 2018 roku. Jego celem jest poprawa warunków i jakości leczenia pacjentów z nowotworami i chorobami układu krwiotwórczego.

– Poprzez Program Rozwoju Polskiej Transplantologii i Wsparcia Pacjentów pragniemy przyczynić się do poprawy kompleksowej opieki specjalistycznej nad pacjentami hematologicznymi. Diagnostyka i indywidualny plan leczenia to oczywiste podstawy, jednak tzw. świadczenia wspomagające proces terapeutyczny, jak praca z dietetykiem, opieka psychoonkologa, czy rehabilitacja ruchowa to niezwykle ważne elementy wspierające leczenie i znacznie poprawiające jakość życia pacjentów. Jako Fundacja cieszymy się ze współpracy z innymi organizacjami w ramach Dotacji. Wierzymy, że wspólnie możemy wpłynąć na poprawę warunków leczenia i życia pacjentów – mówi Ewa Magnucka-Bowkiewicz, prezes Fundacji DKMS.

SZCZEGÓŁY NA: *https://www.dkms.pl/dotacja-fundacji-dkms*

dr hab. n. med. Marzena Samardakiewicz, prof. UM
Specjalista psycholog kliniczny, profesor nadzwyczajny w Klinice Hematologii, Onkologii i Transplantologii Dziecięcej UM w Lublinie, kierownik Katedry Psychospołecznych Aspektów Medycyny i Zakładu Psychologii UM w Lublinie, konsultant PTP w zakresie psychologii klinicznej dziecka chorego somatycznie, przewodnicząca Polskiej Pediatrycznej Grupy Psychoonkologów Polskiego Towarzystwa Onkologii i Hematologii Dziecięcej, prezes Polskiego Towarzystwa Psychoonkologicznego, współautorka książek „Dziecko z chorobą nowotworową", „Przejść przez chorobę nowotworową dziecka" oraz monografii i artykułów naukowych z zakresu opieki psychologicznej nad dzieckiem leczonym z powodu choroby nowotworowej.

Ewa Magnucka-Bowkiewicz, Prezes Fundacji DKMS
Ewa Magnucka-Bowkiewicz stoi na czele Fundacji DKMS w Polsce już od 10 lat. Jest menadżerem z ponad 30-letnim doświadczeniem zdobytym w międzynarodowych organizacjach w Polsce i zagranicą. Pod kierownictwem Ewy, Ośrodek Dawców Szpiku działający przy Fundacji DKMS, stał się jednym z największych w Europie i na świecie, z przeszło 1 800 000 dawców gotowych dać szansę na życie pacjentom czekającym na zgodnego dawcę.

ORGANIZACJE WSPIERAJĄCE

FUNDACJA CHORYCH NA WRODZONE SKAZY KRWOTOCZNE

e.matuszak@skazykrwotoczne.pl
tel. 501 234 700

Misją fundacji jest wsparcie chorych na hemofilię oraz ich rodzin, zapewnienie im informacji i pomocy w codziennym funkcjonowaniu z tą chorobą. Dążenie do poprawy jakości życia chorych poprzez organizowanie dedykowanych programów medycznych, terapii, rehabilitacji oraz dostępu do nowoczesnych metod leczenia. Promowanie wiedzy na temat hemofilii i innych schorzeń krwiotwórczych w społeczeństwie, edukacja w zakresie profilaktyki, diagnozowania i leczenia tych chorób.

FUNDACJA DKMS

dkms.pl
tel. 22 882 95 42, 668 669 327

Misją Fundacji DKMS jest znalezienie dawcy dla każdego pacjenta na świecie potrzebującego przeszczepienia komórek macierzystych szpiku. Celem statutowym Fundacji jest działalność w zakresie wspierania osób potrzebujących pomocy ze względu na ich stan fizyczny, psychiczny lub emocjonalny; promowanie nauki i badań w dziedzinie przeszczepiania komórek macierzystych oraz promocja zdrowia publicznego.

STOWARZYSZENIE PRZYJACIÓŁ CHORYCH NA CHŁONIAKI PRZEBIŚNIEG

przebiśnieg.org
przebisnieg.org@gmail.com
tel. 784 916 956

Stowarzyszenie skupia osoby pragnące pomagać pacjentom z rozpoznanymi chorobami układu krwiotwórczego – zarówno tym zdiagnozowanym, jak i tym, którzy ukończyli leczenie. Od 15 lat działamy na rzecz pacjentów i ich bliskich. Organizujemy zbiórki krwi. Stale poszerzamy wiedzę na temat nowości w świecie hematologii nie tylko w Polsce, ale też na świecie. Dzielimy się wiedzą na temat chorób hematoonkologicznych organizując kampanie edukacyjne.

STOWARZYSZENIE KIERUNEK ZDROWIE

kierunekzdrowie.org

Od prawie 20 lat jesteśmy Organizacją non-profit i posiadamy status Organizacji Pożytku Publicznego. Naszym celem jest wspieranie pracy oddziałów hematologii, ale przede wszystkim wspieranie chorych poprzez pomoc psychologiczną, edukacyjną i finansową.

STOWARZYSZENIE CHORYCH NA NOWOTWORY KRWI I ICH BLISKICH HEMATOONKOLOGICZNI

hematoonkologiczni.pl
/Hematoonkologiczni
hematoonkologiczni@gmail.com

Misją Stowarzyszenia jest pomoc, wsparcie i integracja pacjentów chorujących na nowotwory hematologiczne i ich bliskich. Fundacja prowadzi edukację o nowotworach krwi wśród chorych, ich rodzin, w społeczeństwie oraz środowisku medycznym. Prowadzi działania na rzecz udostępniania chorym najnowszych, najlepszych metod leczenia, terapii, rehabilitacji, wsparcia psychologicznego.

FUNDACJA PER HUMANUS

fundacja.per.humanus@gmail.com

Fundacja zajmuje się szeroko pojętą edukacją zdrowotną. Wspiera pacjentów z chorobami rzadkimi, w tym pacjentów hematologicznych.

STOWARZYSZENIE POMOCY CHORYM NA NOWOTWORY KRWI W ZAMOŚCIU

spchn@o2.pl
k_zbikowski@o2.pl
tel. 666 896 909

Głównym celem działalności Stowarzyszenia jest pomoc pacjentom Oddziału Hematologii Zamojskiego Szpitala Niepublicznego Sp. z o.o. poprzez m.in.: gromadzenie środków na zakup aparatury diagnostycznej i sprzętu medycznego do leczenia chorych, pomoc w zaopatrzeniu w leki, edukacja pacjentów oraz ich rodzin w zakresie, nowotworów krwi, poprawę warunków hospitalizacji na oddziale, propagowanie dawstwa szpiku.

FUNDACJA ACTIVE RECOVERY

activerecovery.pl
fundacja@activerecovery.pl
tel. 795 409 974

Fundacja opracowuje i wdraża programy wsparcia w zakresie autorehabilitacji i aktywności fizycznej dla pacjentów hematoonkologicznych, ze szczególnym uwzględnieniem pacjentów po przeszczepieniu szpiku kostnego.

PACJENTÓW HEMATOLOGICZNYCH

FUNDACJA URSZULI SMOK „PODARUJ ŻYCIE”

podarujzycie.org
fundacja@podarujzycie.org
tel. 12 647 38 37

Celem działalności Fundacji jest wsparcie osób z chorobami nowotworowymi, w szczególności chorych na białaczkę oraz inne choroby komórek krwi i układu krwionośnego. Fundacja pomaga również osobom po przeszczepie szpiku kostnego. Pomocą objęci są podopieczni z całej Polski – dzieci i dorośli, a także ich rodziny. Fundacja podejmuje szereg różnorodnych przedsięwzięć w 3 najważniejszych obszarach: bezpośredniej pomocy, edukacji i integracji.

FUNDACJA „NA RATUNEK DZIECIOM Z CHOROBĄ NOWOTWOROWĄ”

naratunek.org
fundacja@naratunek.org
tel. 71 712 77 33, 694 451 767

Nieprzerwanie od ponad 32 lat zapewniamy wszechstronne wsparcie dzieciom z chorobą nowotworową oraz ich rodzinom. Prowadzimy też ogólnopolskie programy skierowane do środowiska medycznego, aby zwiększyć efektywność diagnozowania i leczenia dzieci. Z PTOiHD prowadzimy ogólnopolską bazę nowotworów dziecięcych.

FUNDACJA KRWINKA

krwinka.org
fundacja@krwinka.pl
tel. 42 661 80 52

Fundacja dla Dzieci z Chorobami Nowotworowymi „Krwinka” jest organizacją rodzicielską, powstałą z inicjatywy rodziców dzieci cierpiących na choroby nowotworowe. Krwinka otacza opieką dzieci onkologicznie i hematologicznie, ich rodziców oraz rodzeństwo. Zapewniaja finansową „pomoc na Start”, refundację kosztów leczenia i rehabilitacji, wsparcie socjalne oraz psychologiczno-pedagogiczne.

OGÓLNOKRAJOWE STOWARZYSZENIE POMOCY CHORYM NA PRZEWLEKŁĄ BIAŁACZKĘ SZPIKOWĄ

spbs.com.pl
office@spbs.com.pl
biuro@spbs.com.pl / tel. 500 291 289

Celem Stowarzyszenia jest reprezentowanie interesów osób chorych na PBS, nowotwory krwi oraz osób chorych na inne nowotwory oraz wspieranie osób starszych i niepełnosprawnych. Stowarzyszenie prowadzi działalność oświatową na temat nowotworów, profilaktyki i leczenia i działalność na rzecz ochrony zdrowia. Od 14 lat organizujemy Dni Dawcy Szpiku celem rejestracji potencjalnych dawców .

FUNDACJA ISKIERKA

fundacjaiskierka.pl
biuro@fundacjaiskierka.pl
tel. 32 706 90 39

Fundacja ISKIERKA od 2006 r. zajmuje się budowaniem systemów wsparcia finansowego, psychologicznego i społecznego dla dzieci z chorobą nowotworową i ich rodzin. Realizuje szereg autorskich projektów terapeutycznych, remontuje i doposaża szpitale, angażuje różne środowiska na rzecz poprawy diagnostyki i jakości leczenia. Oswaja chorobę, edukuje i wspiera profilaktykę. Od 2019 r. członek CCI Europe.

FUNDACJA PALESTRA PŁYWANIA

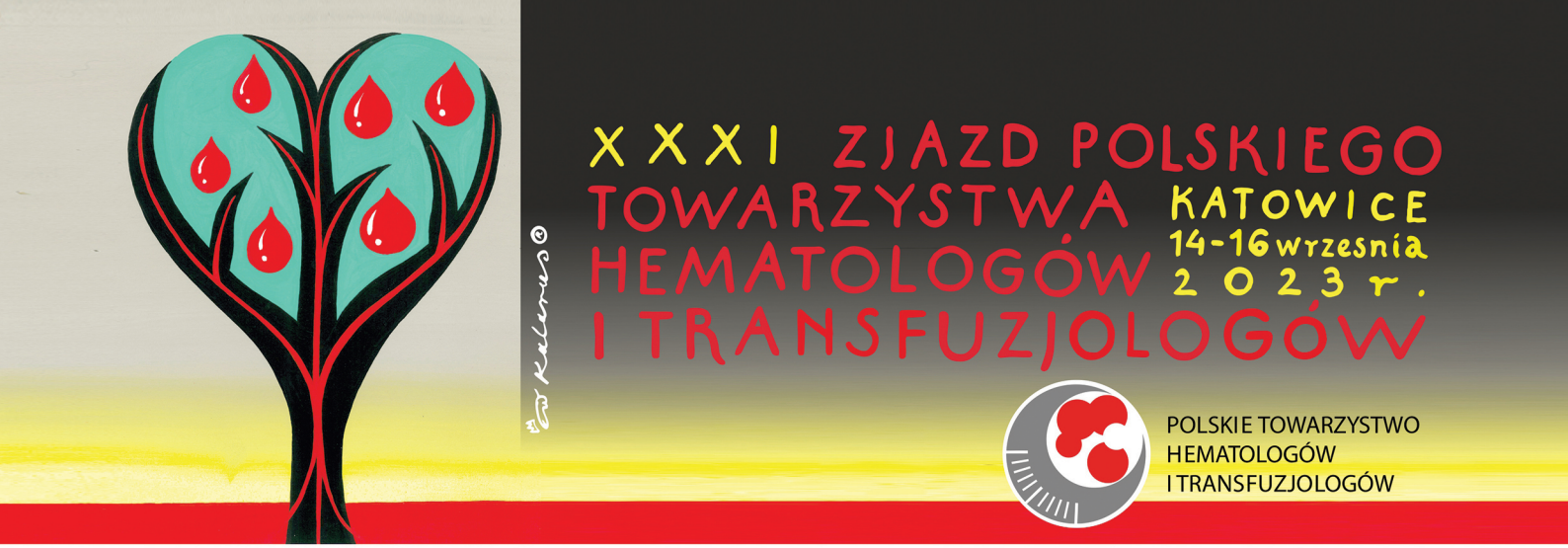
palestrapływania.pl
klub@palestraplywania.pl
tel. 602 706 244

Tworzymy społeczność aktywnych dorosłych, pragnących cieszyć się sprawnością przez długie lata. Promujemy zdrowe podejście do sportu i rywalizacji, uczymy zasad zachowania bezpieczeństwa nad wodą i upowszechniamy pływanie jako podstawową umiejętność. Wierzymy, że #pływaniemamoc, dlatego prowadzimy program wsparcia powrotu osób po leczeniu onkologicznym do społeczeństwa poprzez sport.

STOWARZYSZENIE NA RZECZ WALKI Z CHOROBAMI NOWOTWOROWYMI SANITAS

sanitas.sanok.pl
sanitas@onet.eu
tel. 888 654 925

SANITAS jest ogólnopolską organizacją, której misją jest szeroko pojęta edukacja na temat profilaktyki nowotworowej oraz wsparcie osób będących w trakcie lub po chorobie nowotworowej oraz ich rodzin i bliskich. Wspieramy dorosłych i dzieci. Prowadzimy działania na rzecz zmian systemowych w ochronie zdrowia.



HEMATOLOGIA DLA PACJENTÓW

III Konferencja Organizacji Pacjentów Hematologicznych

Katowice, 14 września 2023 r.

ORGANIZATORZY

POLSKIE TOWARZYSTWO HEMATOLOGÓW I TRANSFUZJOLOGÓW

Sanitas
Stowarzyszenie na Rzecz Walki z Chorobami Nowotworowymi

PARTNERZY

HEMATOONKOLOGICZNI STOWARZYSZENIE CHORYCH NA NOWOTWORY KRWI I ICH BLISKICH

Stowarzyszenie PBS
Ogólnokrajowe Stowarzyszenie Pomocy Chorym na Przewlekłą Białaczkę Szpikową

Stowarzyszenie Przebiśnieg

Fundacja Urszuli Smok® Podaruj Życie
Ośrodek Pomocy Osobom z Chorobami Krwi i Nowotworami

DKMS
POKONAJMY NOWOTWORY KRWI

fundacja iskierka

KRWINKA
Fundacja dla Dzieci z Chorobami Nowotworowymi

Fundacja Per Humanus

na ratunek dzieciom z chorobą nowotworową FUNDACJA

ACTIVE RECOVERY FUNDACJA

PALESTRA PŁYWANIA

Stowarzyszenie Pomocy Chorym na Nowotwory Krwi w Zamościu

KIERUNEKZDROWIE.org
na przekór nowotworom krwi!

FUNDACJA CHORYCH
na wrodzone skazy krwotoczne

abbvie
astellas
AstraZeneca
AMGEN
Angelini Pharma
Roche
Pfizer
MSD
Takeda
sanofi