

Profesor Miroslav Penka – jeden z běžců Maratónu pro hemofilii

J. Blatný

Oddělení dětské hematologie, FN Brno, prim. MUDr. Jan Blatný, Ph.D.

Maratón není sprint

Kdybychom chtěli péči o osoby s hemofilií přirovnat k nějakému sportu, asi bychom si mohli, s klidným svědomím, vybrat běh. Nemohl by to ale být sprint, ve kterém bývá krátkodobé úsilí „rychle“ korunováno úspěchem. Správnější by bylo přirovnat tuto péči, a její vývoj, k běhům na dlouhé tratě – např. k maratónu.

Maratón je bez pochyby výzvou pro mnohé. Ne všichni tuto výzvu přijmou. Těm, kteří tak učiní, však nestačí vyběhnout ze startu. Nesmí se v půli vzdát. Musí překonat četné nástrahy a často i sami sebe. A musí doběhnout do cíle. Stejně je to i s péčí o osoby s hemofilií! Ale i tento „maratón“ může přinést uspokojení srovnatelné s pocitem běžce, jenž protrhl cílovou pásku. Vraťme se však nyní o více než 20 let zpět. Do doby za „železnou oponou“, kdy o tom, že jednou budeme do cíle takového maratónu dobíhat, bylo možné jen snít. Jedním ze snílků byl i MUDr. Miroslav Penka.

Železná opona

Železná opona nebyla jen hrází mezi dvěma politickými systémy. Byla i překážkou, která bránila např. dodávkám léků tolik potřebných pro léčbu osob s hemofilií. V době před rokem 1989 bylo velmi nesnadné, často i nemožné, získat koncentráty faktorů krevního srážení, a proto byli lidé (dospělí i děti) s hemofilií léčeni především plazmou a později kryoprecipitátem. Domácí léčba hemofiliků, anebo dokonce profylaktická léčba, která by mohla krvácením předcházet, patřila pro vět-

šinu nemocných hemofilů do říše přání. Dlužno říci, že po vítce nesplněných. Téměř každé krvácení proto znamenalo hospitalizaci a několikadenní léčbu spojenou s bolestí, a hlavně s progresivně se stupňujícím rizikem dlouhodobé a/nebo i trvalé invalidizace ve vyšším věku. Spotřeba jednotek faktoru VIII na hlavu obyvatele (parametr používaný WFH – Světovou hemofilickou federací, jako parametr srovnání péče o osoby s hemofilií) byl výrazně pod 1 IU/capita. Tento stav byl frustrující nejen pro pacienty, ale i pro zdravotníky. Začátek „maratónu pro hemofilii“ byl v nedohlednu. Teprve politické změny v roce 1989 daly naději a později i šanci takový běh zahájit.

Demografie hemofilie v České republice

Česká republika je s rozlohou 79 000 km² a se svými více než 10 miliony obyvatel domovem necelého 1 000 osob s hemofilií. Zhruba 1/4 z nich jsou děti ve věku do 18 let. Ročně se v naší zemi narodí v průměru do 10 hemofiliků. Prevalence a incidence hemofilie je v naší zemi nižší než v některých jiných (např. Polsko, Maďarsko, Irská republika), což je pravděpodobně dáno zejména kulturní a náboženskou tradicí. Je-li těmto lidem poskytována adekvátní péče, nepoznáte ale, že nějakou nemocí trpí. Kvalita jejich života může být srovnatelná s životem jejich vrstevníků.

Start Maratónu v 90. letech 20. století

Po politických změnách došlo nejen k uvolnění společenského klimatu,

ale postupně se uvolňovala i omezení v medicíně. Součástí těchto změn bylo i postupné zvyšování dostupnosti léků pro osoby s hemofilií, tedy základního předpokladu kvalitní a účinné péče o tyto nemocné. Kryoprecipitát byl vystřídán středně a posléze i vysoce čištěnými koncentráty faktorů krevního srážení vyrobenými z krve dárců. Bylo postupně možné zahájit sekundární profylaxi krvácení u osob s hemofilií, zprvu dětí, následně i dospělých. U dětí byl tehdy zvolen režim blízký tzv. dánskému modelu, tedy zahájení profylaxe po prvních několika krváceních. Nejčastějším dávkovacím schématem bylo 2–3krát týdně 24 IU/kg v závislosti na závažnosti a typu hemofilie. Byla tak umožněna dobrá léčba pro všechny děti, které to potřebovaly, za cenu, kterou si tehdy mladá samostatná Česká republika mohla dovolit. Tato změna, doprovázená zavedením domácí léčby, byla zřejmě největší změnou v péči o české hemofiliky ve 2. polovině minulého století. Zavedení domácí léčby u dospělých pak umožnilo rozvoj léčebné a preventivní rehabilitace. Třeba i jen krátkodobá sekundární profylaxe vedla k zásadnímu zlepšení efektivity léčby krvácení a jeho následků. Byl zahájen ambiciózní program kloubních náhrad pro ty hemofiliky, kterým jejich nemoc již částečně či zcela zabránila v pohyblivosti, nebo je dokonce upoutala na invalidní vozík. V souladu s doporučeními WFH začala být budována funkční síť hemofilických center v naší zemi. Tehdy doc. MUDr. Miroslav Penka, CSc., byl jedním z těch,

kteří se na těchto projektech od počátku podíleli.

Pět pilířů moderní péče o hemofilii v naší zemi

- domácí léčba všem, kteří ji chtějí a potřebují
- profylaxe pro všechny děti s těžkým fenotypem hemofilie
- maximální bezpečnost poskytované léčby (udržet nízkou promořenost krví přenosnými infekčními onemocněními)
- efektivní a okamžitá léčba pacientů s hemofilii a inhibitory
- funkční síť hemofilických center

Rok 2012: velká část Maratónu je již za námi

Most přes rozbouřenou řeku („The Bridge Over Troubled Water“) vystavěný na těchto pilířích nás, jak se zdá, převedl již za polovinu Maratónu. Roční spotřeba F VIII vzrostla v minulém roce na cca 4 IU/capita. Domácí léčby využívají v naší zemi všichni hemofilici, kteří o to mají zájem a u kterých je indikována. Od roku 2006 je lékem volby u dětí s těžkou formou hemofilie primární profylaxe a stále častěji je profylaxe podávána i mladým dospělým (zejména těm, kteří jsou na této léčbě od raného dětství). V souladu s mezinárodními doporučeními jsme schopni, díky důkladné a pečlivé edukaci, léky podávat i dětským hemofilikům do periferních žil a zavádění CVK (centrálních venózních katetrů) je řídkou praxí. S ohledem na bezpečnost léčby se od roku 2006 trvale zvyšuje podíl rekombinantních preparátů, kterými jsou hemofilici léčeni. Odhadem se jedná o asi 10 % celkové spotřeby v zemi. V rámci dětské populace je již asi 20 % všech dětí s hemofilii na rekombinantní terapii, aniž by byl patrný klinicky signifikantní nárůst výskytu inhibitorů. Incidence inhibitorů v populaci předtím neléčených dětských pacientů, tzv. PUPs (Previously Untreated Patients), je 6 %, nepočítáme-li inhibitory transientní, které však nevyžadují léčbu.

Prevalence inhibitoru v této populaci je 2,6 %. Celkově v populaci hemofiliků je pak toto číslo ještě o něco nižší. Zde hraje zásadní roli skutečnost, že dětem s hemofilii a inhibitory je jako léčba první volby nabídnuta léčba imunitotoleranční (ITT). Ta má v „českých rukou“ zhruba 80% úspěšnost. Dospělí pacienti s inhibitory jsou efektivně léčeni preparáty s „bypassovou“ aktivitou. Pověřená hemofilická centra v naší zemi rovněž získala zkušenost s prováděním kloubních náhrad kyčelních a kolenních kloubů u hemofiliků, a postupně tak splácíme „dluh“, který máme vůči těm, kteří se narodili v době, kdy nebyla adekvátní léčba dostupná. Tito lidé nyní mohou opět chodit. Ortopedické operace se úspěšně provádějí i u osob s hemofilii a inhibitory. Kromě kloubních náhrad je samozřejmě hemofilikům dostupné i široké spektrum ostatních chirurgických, ortopedických a jiných intervencí. V hemofilických centrech pracují i zkušení fyzioterapeuti, psychologové, sexuologové a lékařská péče je doplňována četnými společenskými aktivitami pořádanými patientskými organizacemi (letní rekondiční pobyty pro děti a rodiče s dětmi, víkendové pobyty pro dospělé apod.).

Během takových rekondičních pobytů je většinou k dispozici fyzioterapeut a zejména u dětí i lékař a zkušená sestra. Děti tak mohou být bez obav zapojeny do všech aktivit spolu se svými vrstevníky. Díky vlastnímu odhodlání a pevné vůli podpořené starostlivou péčí zdravotníků si většina dětí umí podat lék do žíly sama již od šestého či sedmého roku věku, stávající se tak nezávislými na péči druhých.

Český národní hemofilický program

V roce 2011 byl v plné míře spuštěn a v českém systému zdravotní péče pevně ukotven Český národní hemofilický program (ČNHP). Celý projekt se připravoval téměř 4 roky a u jeho

zrodu byl právě prof. MUDr. Miroslav Penka, CSc. Jako jeden z jeho koordinátorů projekt postupně provedl všemi úskalími a zaštitil ho svou odborností. Jeho práce a práce ostatních kolegů do projektu zainteresovaných byla korunována úspěchem, když na podzim roku 2011 proběhly audity hemofilických center pod garancí České hematologické společnosti, České společnosti pro trombózu a hemostázu a České pediatrické společnosti. Vznikla síť center, která ve shodě s doporučeními WFH a s Evropskými principy hemofilické péče zajišťuje na vysoké úrovni péči o osoby s hemofilii napříč celý věkový spektrem. Pan profesor Penka jedno ze dvou národních komplexních center hemofilické péče pro dospělé ve Fakultní nemocnici Brno vede.

Výzvy do budoucna („Czechllenges“)

Žádný sportovec, a tedy ani maratónský běžec, nesmí usnout na vavřínech. Je třeba běžet dál. Zdolávat další překážky, připravovat se na další závody, čelit dalším výzvám. Maratón pro hemofilii není výjimkou. České výzvy v oblasti hemofilie („Haemophilia Czechllenges“) lze shrnout například následovně:

- zvýšit množství faktoru dostupné ročně pro osoby s hemofilii v naší zemi na zhruba 5 IU F VIII/capita. Tento požadavek není nereálný ani nesplnitelný. Jsme mu velice blízko. Další navyšování, jak vyplývá z posledních analýz v zemích s delší tradicí léčby hemofilie, není zřejmě nezbytně nutné;
- zejména v pediatrii bude pokračovat nárůst podílu rekombinantních léků používaných při léčbě hemofilie. Dluh máme v tomto ohledu i k osobám s hemofilii B, pro něž zatím rekombinantní preparát na českém trhu k dispozici není. Rekombinantní preparáty zřejmě budou stále častěji podávány také minimálně léčeným dospělým pacientům a mladým dospělým obecně;

- výzvou je rovněž profylaxe pro (mladé) dospělé. Tam, kde je to indikováno, bude vhodné s pomocí efektivní profylaktické léčby uchovat v dobré kondici pohybový aparát dospělého hemofilika, který byl díky profylaxi v dětství ušetřen závažného poškození. Věřím, že se časem rozproudí diskuze i o pro-

fyaxi pro generaci seniorů. Ti jsou často sužováni jinými nemocemi a neduhy, proč je tedy vystavovat i rizikům plynoucím z hemofilie, není-li to nutné?

- hlavní výzvou je pak prosazování a trvalé zlepšování Českého národního hemofilického programu. Osoba pana profesora Penky a ostatních

kolegů v projektu zapojených toho je, a věřím, že i do budoucna bude, dobrou zárukou.

prim. MUDr. Jan Blatný, Ph.D.

www.fnbrno.cz

e-mail: jblatny@volny.cz

Doručeno do redakce: 31. 3. 2012