

Protokół dziewiątego posiedzenia Parlamentarnego Zespołu ds. Dzieci

W dniu 11 października 2017 r. w sali nr 182 w gmachu Senatu odbyło posiedzenie Parlamentarnego Zespołu ds. Dzieci poświęcone leczeniu atypowego zespołu hemolityczno-mocznicowego. Program posiedzenia obejmował następujące punkty:

- 1) atypowy zespół hemolityczno-mocznicowy (aZHM), choroba ultrazadka o śmiertelnym przebiegu,
- 2) rewolucyjne zmiany w leczeniu atypowego zespołu hemolityczno-mocznicowego (aZHM),
- 3) los dziecka z atypowym zespołem hemolityczno-mocznicowym (aZHM) po zniszczeniu nerek,
- 4) sytuacja dorosłych chorych na (aZHM) kwalifikowanych do przeszczepienia nerki,
- 5) sytuacja rodzin z dziećmi chorymi na atypowy zespół hemolityczno-mocznicowy (aZHM) w Polsce.

Profesor Danuta Zwolińska, konsultant krajowy z nefrologii dziecięcej, przedstawiła informacje o etiologii choroby, jej przebiegu, rokowaniach i następstwach. Podkreśliła, że wczesne rozpoznanie i wczesne wdrożenie leczenia ma kluczowe znaczenie w rokowaniach. Dlatego tak niezwykle ważna jest diagnostyka. Atypowy zespół hemolityczno-mocznicowy (aZHM) jest ultrazadką chorobą cechującą się wysoką śmiertelnością lub całkowitą utratą funkcji nerek już w ostrej fazie choroby. Może być dodatkowo przyczyną utraty wzroku, udaru, nadciśnienia tętniczego, obrzęku płuc, a także poważnych problemów z układem pokarmowym. Choroba ma charakter nawracający, a stosowane w Polsce leczenie niesie za sobą ryzyko ciężkich powikłań i nie przynosi pożądanych efektów.

Prof. Aleksandra Żukowska, Przewodnicząca Polskiego Towarzystwa Nefrologii Dziecięcej, zaprezentowała historię i obecne możliwości leczenia atypowego zespołu hemolityczno-mocznicowego. Blisko 70 lat temu choroba charakteryzowała się śmiertelnością na poziomie 80%. W latach 80. XX wieku śmiertelność spadła do 10-20%, ale choroba nadal powodowała schyłkową niewydolność nerek i nie wyeliminowano jej nawrotów. Po 2000 roku wprowadzenie nowych metod leczenia spowodowało odroczenie czasu rozwoju schyłkowej niewydolności nerek u osób z aZHM, ale wciąż pozostawał nierozwiązany problem nawrotów choroby. Dopiero w 2011 roku

wprowadzenie nowego leku - eculizumabu – pozwoliło na prowadzenie celowanego, skutecznego leczenia, dało szansę na profilaktykę nawrotów i szanse na pełne wyzdrowienie. Stosowane obecnie w Polsce leczenie, polegające na regularnym wykonywaniu plazmaferez i przetaczaniu osocza, nie daje zadowalających rezultatów. Ponadto powoduje ono poważne powikłania i działania uboczne, i nie zwiększa szansy przeżycia w przypadku przeszczepu nerki. Nadmienić też trzeba, że przeszczep nerki nie usuwa podstawowej przyczyny choroby. Średnio po 5 latach stosowania terapii 40% dzieci i 70 % dorosłych wymaga stałej dializoterapii.

Dr Wioletta Jarmużek z Kliniki Nefrologii, Transplantacji Nerek i Nadciśnienia Tętniczego Instytutu-Pomnika Centrum Zdrowia Dziecka przedstawiła sytuację dziecka z atypowym zespołem hemolityczno-mocznicowym po zniszczeniu nerek. Zaprezentowała pierwotne choroby nerek, które powodują ich schyłkową niewydolność i wskazania do transplantacji. Zwróciła uwagę, iż występuje wiele czynników związanych z pobraniem nerki od osoby zmarłej, niepożądanymi działaniami immunosupresji, ostrym odrzuceniem i zakażeniami wirusowymi, które stymulują nawrót choroby po transplantacji i niszczą przeszczepiony narząd. W wielu krajach Unii Europejskiej, w których wprowadzono podawanie eculizumabu, znacznie ograniczono lub też wyeliminowano nawroty choroby po transplantacji. Brak możliwości jego stosowania po przeszczepie w większości przypadków powoduje szybki (najczęściej w ciągu 3 miesięcy) nawrót choroby. Wspomniała też, że w leczeniu choroby stosowane jest, choć niezwykle rzadko, skojarzone przeszczepienie wątroby i nerki, ale jest to rozległy zabieg operacyjny, charakteryzujący się wysoką śmiertelnością okołoperacyjną i niepewnymi rokowaniami. Dlatego optymalnym rozwiązaniem postępowania w atypowym zespole hemolityczno-mocznicowym jest przeszczep nerki połączony z podawaniem eculizumabu. W krajach, w których stosuje się ten lek, nie ma potrzeby przeprowadzania skojarzonych przeszczepów wątroby i nerki. Niestety w Polsce eculizumab wciąż nie jest refundowany.

Prof. Michał Nowicki - Prezes Polskiego Towarzystwa Nefrologicznego, Kierownik Kliniki Nefrologii Uniwersytetu Medycznego w Łodzi - omówił sytuację dorosłych chorych na atypowy zespół hemolityczno-mocznicowy oraz metody ich leczenia stosowane w Polsce. Choroba dotyka osób w każdym wieku - dzieci, młodzież, dorosłych. Nie ma też znaczącej różnicy w podziale na płcie. Profesor Nowicki podkreślił, że w przypadku stosowanych obecnie terapii niemożliwe jest wyeliminowanie nawrotów choroby, mogą się też pojawiać różne reakcje uboczne organizmu. Przedstawił przykłady pacjentów, którzy z powodu braku wprowadzenia do obrotu eculizumabu nie mogą być zakwalifikowani do przeszczepu nerki, gdyż nie da on pożądaných efektów. W fazie badań klinicznych obecnie znajdują się inne preparaty, jednak na ich wprowadzenie trzeba będzie poczekać jeszcze kilka lat. Eculizumab zaś jest lekiem sprawdzonym, dostępnym na świecie i dającym dobre efekty w leczeniu

i profilaktyce nawrotów choroby. Dlatego tak ważne jest, żeby polskim pacjentom jak najszybciej umożliwić dostęp do niego.

Zofia Lisiecka – przedstawiciel rodziców i Stowarzyszenia Pacjentów z aZHM – opowiedziała, jak wygląda życie rodzin z dziećmi chorymi na atypowy zespół hemolityczno-mocznicowy. To przede wszystkim rezygnacja z pracy i wielomiesięczne pobyty z dzieckiem w szpitalu. Choroba jednego dziecka wpływa na funkcjonowanie całej rodziny, nie ma możliwości poświęcenia odpowiedniego czasu pozostałym dzieciom. To także ograniczenie finansów w gospodarstwie domowym i zmniejszenie bezpieczeństwa ekonomicznego rodziny. Stowarzyszenie, którego jest reprezentantem, należy do Międzynarodowego Stowarzyszenia aHUS Alliance, zrzeszającego wszystkie organizacje działające na rzecz pacjentów z atypowym zespołem hemolityczno-mocznicowym. Jest więc możliwość porównania zarówno metod leczenia, jak i jego efektów w Polsce i w innych krajach, w których lek jest dostępny. Porównanie to zdecydowanie negatywnie wypada w przypadku Polski. Zbyt długo wg rodziców trwa walka o wpisanie leku na listę leków refundowanych, zbyt dużo padało przez ten czas obietnic bez pokrycia. W chwili obecnej refundowanych jest wiele znacznie droższych leków, które dają zdecydowanie mniejszą poprawę jakości życia. Niezrozumiałe są więc ciągnące się latami negocjacje w sprawie tego konkretnego leku.

W dyskusji padło wiele głosów dotyczących potrzeby uzyskania jak najszybszego dostępu do leku. Powoływano się na prawo do równej jakości leczenia, które w tym przypadku jest łamane. Rodzice chorych dzieci, powołując się na własne doświadczenia, przedstawili konkretne historie walki z chorobą, która mogłaby być łatwiejsza, a nawet zostać wygrana, gdyby dzieci otrzymały lek, o który walka trwa od lat.

Członkowie Parlamentarnego Zespołu ds. Dzieci zobowiązali się wystąpić z apelem do Ministra Zdrowia w sprawie przyspieszenia i tak już przedłużających się negocjacji i uzyskania konkretnych odpowiedzi w kwestii realnych terminów wprowadzenia leku na rynek i jego refundacji.

(D.W.)