

Hematologia: nowe otwarcie

RAPORT

Autorzy:

Marta Markiewicz-Melon, Katarzyna Lisowska

Redakcja i korekta:

Maja Markłowska-Tomar

Wydawcy:

Stowarzyszenie Hematoonkologiczni

Fundacja Per Humanus

Fundacja Rzecznicy Zdrowia



HEMATOONKOLOGICZNI
STOWARZYSZENIE CHORYCH
NA NOWOTWORY KRWI I ICH BLISKICH

Fundacja



Per Humanus



Okładka:

Violetta Zajk, ilustracja wygenerowana z wykorzystaniem AI

Niniejszy raport jest objęty prawami autorskimi. Cytowanie fragmentów lub danych zawartych w raporcie powinno zawierać adnotację o źródle.

Warszawa, wrzesień 2024

Spis treści

Wprowadzenie	2
Kluczowe wnioski	4
Epidemiologia	6
Świadczenia hematologiczne – liczba, wartość, pacjenci	13
Kadry w hematologii	17
Organizacja opieki nad pacjentami z chorobami hematologicznymi:	
potrzebne zmiany	25
Leczenie szpitalne	28
Odwroćenie piramidy świadczeń	29
Współpraca lekarzy rodzinnych, diagnostów i innych specjalistów	31
Porada diagnostyczna	33
Dostęp do opieki i życie pacjentów z chorobą	
– wyniki badania ankietowego	35
Codziennosc i potrzeby pacjentów z chorobami hematologicznymi	43
Wybrane choroby hematologiczne	
– Chłoniaki	46
– Szpiczak	51
– TTP – mikroangiopatie zakrzepowe	55
– Białaczki	
– Ostre białaczki	60
– Przewlekła białaczka limfocytowa	62
– Nowotwory mieloproliferacyjne	69
Bezpieczeństwo krwi	71

Wspólny głos dla hematologii



Na przestrzeni ostatnich dwóch dekad byliśmy świadkami ogromnego postępu w hematologii. Zmiany, jakie dokonały się w obszarze diagnostyki i terapii, sprawiły, że diagnoza choroby hematologicznej w zdecydowanej większości przypadków nie oznacza czarnego scenariusza, a wręcz daje nadzieję na dobrej jakości życie z chorobą przewlekłą. Jednocześnie demografia jest nieubłagana – wraz ze starzeniem się społeczeństwa liczba pacjentów z chorobami hematologicznymi będzie systematycznie rosła. Zjawisko to będzie nie lada wyzwaniem dla systemu ochrony zdrowia.

W ostatnich latach dostęp do terapii hematologicznych uległ znaczącej poprawie. Coraz większa populacja pacjentów ma możliwość skorzystania z nowych metod leczenia. Zdaniem ekspertów o realnych, długofalowych efektach zmian w dostępie do terapii będziemy mogli dyskutować dopiero za kilka lat, ale już teraz warto zastanowić się nad kolejnymi krokami, które usprawniłyby funkcjonowanie całego systemu opieki, a jednocześnie podniosły jego efektywność ekonomiczną.

Dziś oddajemy w Państwa ręce dokument, w którym wspólnie z ekspertami – hematologami, lekarzami rodzinnymi, diagnostami laboratoryjnymi i pielęgniarkami – nakreśliliśmy kierunki niezbędnych zmian w organizacji systemu opieki nad pacjentami z chorobami hematologicznymi. Pochylamy się w nim również nad kwestią kadr medycznych, które w obliczu rosnącej populacji pacjentów powinny stać się języczkiem u wagi organizatorów systemu ochrony zdrowia.

Raport „Hematologia: nowe otwarcie” oddaje również głos pacjentom, których zapytaliśmy o najpilniejsze potrzeby i wyzwania związane z życiem z chorobą hematologiczną. Jestem przekonana, że działając wspólnie i wsłuchując się w głos kluczowych interesariuszy, będziemy mogli kreować przyjazny, skuteczny, a jednocześnie efektywny kosztowo system ochrony zdrowia.

Marta Markiewicz-Melon, prezes Fundacji Rzecznicy Zdrowia

Pacjent wie najlepiej o swojej chorobie



Dzięki ogromnemu postępowi w leczeniu chorób hematologicznych na świecie polscy pacjenci mają obecnie dostęp do większości najnowszych technologii lekowych. Rozwój medycyny sprawił, że o chorobach krwi mówimy dzisiaj w kontekście chorób przewlekłych, czego konsekwencją już teraz jest i będzie w przyszłości wzrastająca liczba pacjentów znajdujących się pod opieką systemu ochrony zdrowia. Dzięki najnowszym lekom pacjenci żyją często wiele lat w remisji od choroby, mogąc normalnie funkcjonować w życiu codziennym.

Jeszcze niedawno diagnoza nowotworu krwi była wyrokiem. Dzisiaj – jeżeli chory szybko trafi do specjalistycznego ośrodka – ma szansę nie tylko na szybką i trafną diagnozę, ale przede wszystkim na wdrożenie nowoczesnego leczenia, które może zmienić jego chorobę ze śmiertelnej w przewlekłą.

Dziś oddajemy w Państwa ręce raport „Hematologia: nowe otwarcie”. Dlaczego chcemy mówić o nowym otwarciu w tej dziedzinie? Przede wszystkim dlatego, że jesteśmy świadkami ogromnego postępu, jaki nastąpił w leczeniu chorób krwi na przestrzeni ostatnich lat. Nowoczesne terapie nie tylko zwiększają szanse chorych, ale również mają potencjał do tego, by zmienić paradygmat opieki hematologicznej w kontekście organizacji opieki.

Co nas czeka w przyszłości? Przede wszystkim musimy zmierzyć się z wyzwaniem, jakim będzie dla nas wzrost liczby pacjentów chorujących na choroby hematologiczne. I nie ma znaczenia, ile pacjent ma lat, bo zachorować może każdy z nas.

Patrząc na trendy demograficzne i epidemiologiczne, widzimy ogromną potrzebę zmian w systemie opieki nad pacjentami. Jako organizacje pozarządowe edukujemy pacjentów i ich bliskich, współpracując w tym obszarze z ekspertami, którzy nas wspierają. Mamy nadzieję, że ten wspólny głos będzie także słyszalny przez decydentów, bo kto jak nie pacjent wie najlepiej o swojej chorobie i potrafi podzielić się swoją wiedzą i doświadczeniem z innym pacjentem?

Katarzyna Lisowska, przedstawicielka Stowarzyszenia Hematoonkologicznej
prezeska Fundacji Per Humanus

Kluczowe wnioski

- ▶ System ochrony zdrowia musi się przygotować na rosnącą liczbę pacjentów ze schorzeniami hematologicznymi – ze szczególnym uwzględnieniem nowotworów krwi i układu chłonnego.
- ▶ Przez zaniechania związane z wdrażaniem klasyfikacji ICD-11 nadal nie dysponujemy rzetelnymi danymi dotyczącymi epidemiologii.
- ▶ Liczba pacjentów korzystających ze świadczeń leczenia szpitalnego jest dwukrotnie niższa niż w przypadku chorych korzystających z ambulatoryjnej opieki specjalistycznej, jednocześnie nakłady na leczenie szpitalne są około 18-krotnie wyższe.
- ▶ Nakłady na świadczenia w dziedzinie hematologii rosną szybciej niż średni wzrost nakładów Narodowego Funduszu Zdrowia na świadczenia w latach 2022-2023. W przypadku AOS dynamika wydatków na świadczenia ogółem wyniosła 30 proc., podczas gdy w hematologii 32 proc. (różnica 2 pp.). Natomiast w przypadku leczenia szpitalnego dynamika wydatków ogółem wynosiła 20 proc., podczas gdy w hematologii wyniosła 46 proc. (różnica 26 pp.).
- ▶ Sytuacja kadrowa w obszarze hematologii wymaga dalszej poprawy. W ostatnich latach obserwowaliśmy rosnącą liczbę lekarzy hematologów, niestety – pomimo starań środowiska i ośrodków hematologicznych – młodzi lekarze niechętnie wybierają tę specjalizację. Sytuacja wygląda podobnie w przypadku diagnostów laboratoryjnych oraz kadr pielęgniarskich.

- ▶ Potencjał organizacyjny systemu opieki hematologicznej wyraźnie wskazuje na potrzebę lepszego wykorzystania ambulatoryjnej opieki specjalistycznej oraz wprowadzenie możliwości systemowej współpracy specjalistów hematologów i transfuzjologów ze specjalistami medycyny rodzinnej. Należy również:
 - wprowadzić w podstawowej opiece zdrowotnej rozwiązania nawiązujące do opieki koordynowanej;
 - uzupełnić koszyk świadczeń gwarantowanych o poradę diagnostyczną;
 - rozszerzyć możliwości prowadzenia programów lekowych w opiece ambulatoryjnej;
 - włączyć nowe produkty diagnostyczne w ramach AOS.

- ▶ Pacjenci uczestniczący w badaniu ankietowym zwrócili uwagę na postępowanie w obszarze farmakoterapii. Jednocześnie wskazali wiele obszarów wymagających zmian organizacyjnych. Wśród wyzwań i największych obciążeń związanych z chorobą wymienili kwestię dojazdu do ośrodków, w których są leczeni, konieczność sięgania po prywatne konsultacje lekarzy innych specjalności czy ponoszenie kosztów rehabilitacji.

- ▶ Chorzy wskazali na potrzebę udostępnienia im refundowanego przez NFZ wsparcia psychologicznego od momentu podejrzenia choroby, a także systemowych zmian w procedurze orzekania o niepełnosprawności.

Epidemiologia

W 2021 roku nowotwory złośliwe układu krwiotwórczego i limfaticznego rozpoznano u 10 166 pacjentów (wg klasyfikacji ICD-10), natomiast pełne rozpoznanie zgodne z klasyfikacją zgodną z ICD-O¹ przeprowadzono u 10 095 chorych. Dane zawarte w raporcie „Nowotwory złośliwe w Polsce w 2021 roku” wskazują, że 43 proc. wszystkich rozpoznań (4295 przypadków) dotyczyło chłoniaków, 38 proc. (3846 przypadków) białaczek, a 17 proc. (1721 przypadków) szpiczaków.

W grupie chłoniaków blisko 17 proc. stanowiły chłoniaki zakwalifikowane do grupy chłoniaków Hodgkina, natomiast 75 proc. zaszeregowano do grupy chłoniaków nie-Hodgkina. Pozostałe 8 proc. stanowiły chłoniaki o złożonej lub nieokreślonej morfologii. Najczęstszą postacią chłoniaka nie-Hodgkina z komórek B były chłoniaki rozlane z dużych komórek B (DLBCL) – stwierdzono 996 takich przypadków, chłoniaki grudkowe (496 przypadków), chłoniaki strefy brzeżnej z komórek B (252 przypadki) oraz chłoniaki z komórek płaszczka (211 przypadków). Jeśli chodzi o chłoniaki z komórek T, to w 2021 roku w całej Polsce rozpoznano 308 przypadków.²

Spośród zdiagnozowanych ponad 3800 przypadków białaczek dokładna klasyfikacja ICD-O została ustalona dla nieco ponad 3500 z nich. Najczęstszą była przewlekła białaczka limfocytowa z komórek B (CLL/SLL), którą rozpoznano u 1732 pacjentów, ostra białaczka szpikowa (AML) – 905 przypadków, ostra białaczka limfatyczna (ALL) – 393 przypadki oraz przewlekła białaczka szpikowa (CML) – 309 przypadków.

Skala wyzwania dla systemu ochrony zdrowia

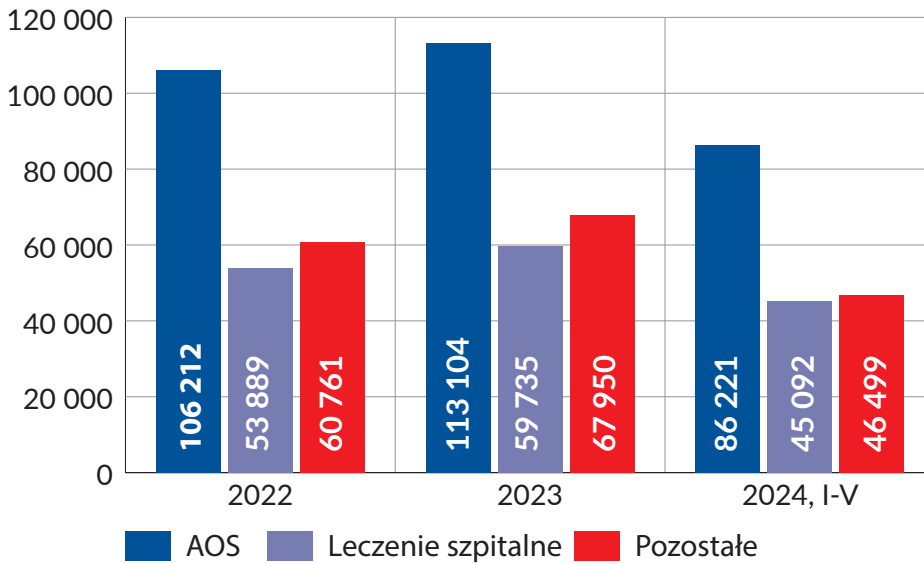
To, jakim wyzwaniem dla systemu ochrony zdrowia są chorzy zmagający się z chorobami hematologicznymi, oddają również dane dotyczące liczby pacjentów, którym NFZ udzielił świadczeń w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (AOS) oraz leczenia szpitalnego. Jak jednak zwracał uwagę prof. dr hab. Wiesław Wiktor Jędrzejczak w publikacji „Epidemiologia nowotworów krwi w Polsce na podstawie danych Narodowego Funduszu Zdrowia”³, w przypadku korzystania z danych NFZ należy spodziewać się zjawiska „nadrozpoznaniania” schorzeń, dla których wycena realizowanych procedur jest korzystniejsza dla świadczeniodawcy.

1 ICD-O to międzynarodowa klasyfikacja chorób przygotowana z myślą o onkologii https://onkologia.org.pl/sites/default/files/publications/2023-11/icd_o_3_pl.pdf

2 J. Didkowska, U. Wojciechowska, K. Barańska, M. Miklewska, I. Michałek, P. Olasek „Nowotwory złośliwe w Polsce w 2021 roku”, Warszawa 2023

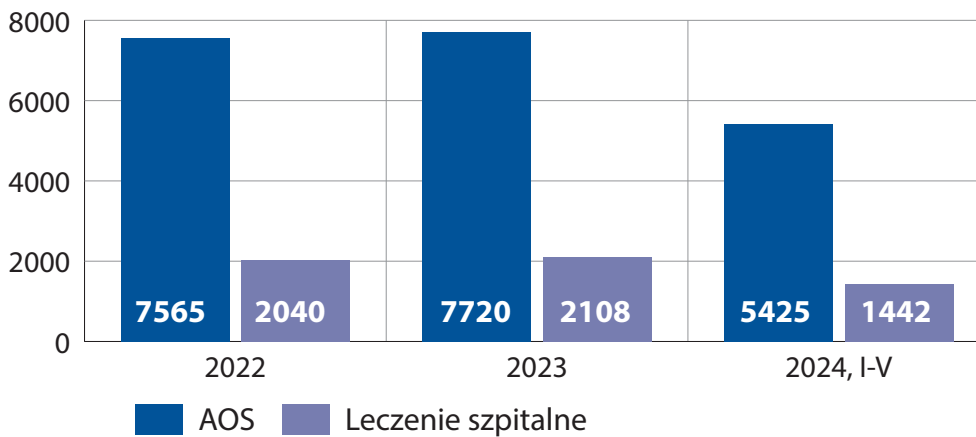
3 „Hematoonkologia. Część ogólna i nowotwory mieloidalne” Tom 1 pod red. Tadeusza Robaka, Jana Walewskiego i Joanny Romejko-Jarosińskiej, Via Medica, Gdańsk 2022

Wykres 1. Liczba świadczeniobiorców⁴ z rozpoznaniem hematologicznym, którym udzielono świadczeń z wybranego zakresu



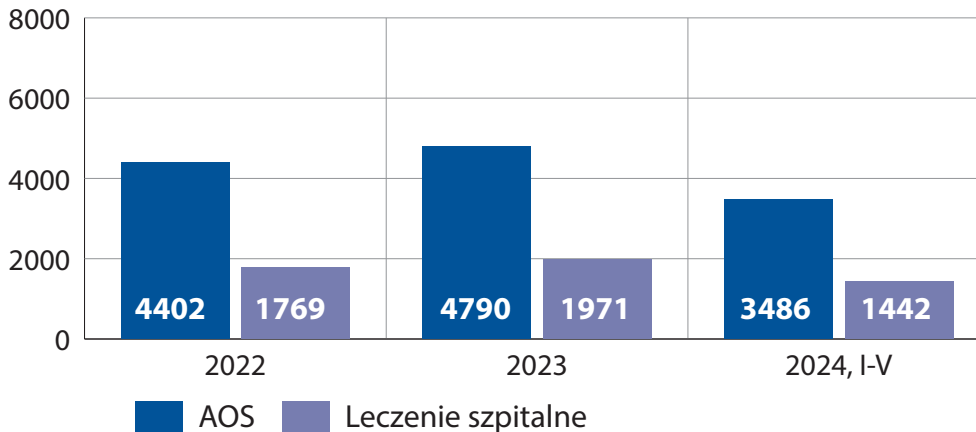
Źródło: NFZ

Wykres 2. Liczba pacjentów z rozpoznaniem C81 chłoniak Hodgkina, którym udzielono świadczeń w ramach kontraktu z NFZ (bez względu na rok rozpoznania)



Źródło: NFZ

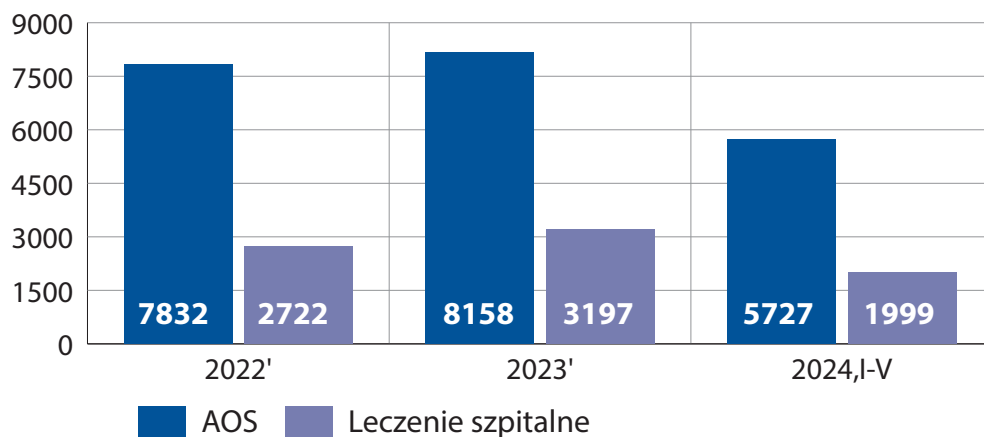
Wykres 3. Liczba pacjentów z rozpoznaniem C82 chłoniak nieziarniczy guzkowy (grudkowy), którym udzielono świadczeń w ramach kontraktu z NFZ (bez względu na rok rozpoznania)



Źródło: NFZ

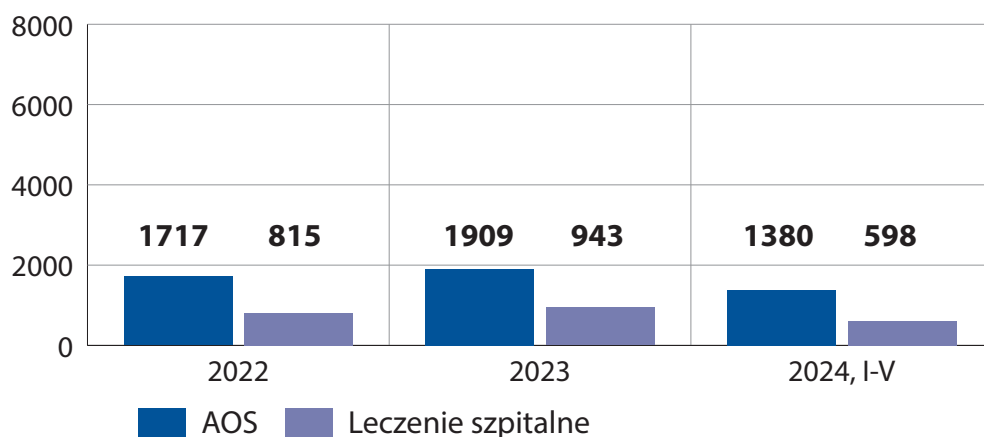
⁴ Dane Narodowego Funduszu Zdrowia dla rozpoznai sklasyfikowanych w następujących grupach: D45, D46, D47, C81, C82, C83, C84, C85, C86, C87, C88, C89, C90, C91, C92, C93, C94, C95, C96, D75.2

Wykres 4. Liczba pacjentów z rozpoznaniem C83 chłoniak nieziarniczy rozlany, którym udzielono świadczeń w ramach kontraktu z NFZ (bez względu na rok rozpoznania)



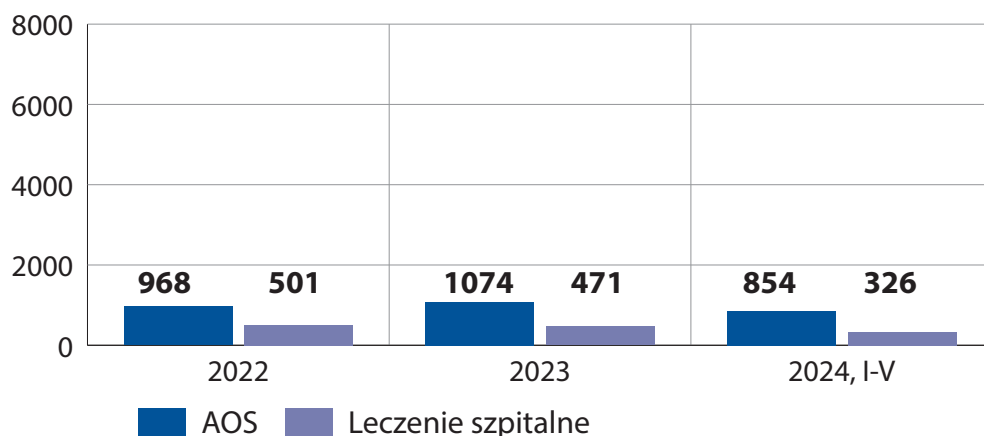
Źródło: NFZ

Wykres 5. Liczba pacjentów z rozpoznaniem C84 obwodowy i skórny chłoniak z komórek T, którym udzielono świadczeń w ramach kontraktu z NFZ (bez względu na rok rozpoznania)



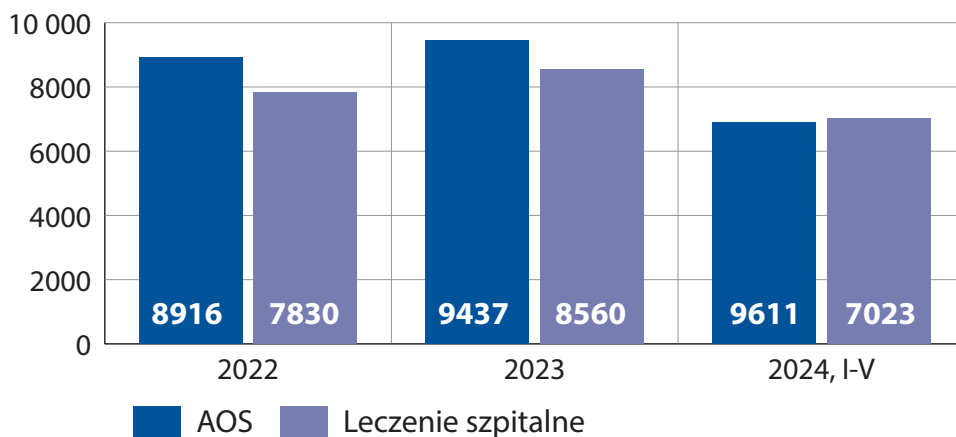
Źródło: NFZ

Wykres 6. Liczba pacjentów z rozpoznaniem C88 złośliwe choroby immunoproliferacyjne (makroglobulinemia Waldenströma, choroba łańcuchów ciężkich alfa oraz gamma), którym udzielono świadczeń w ramach kontraktu z NFZ (bez względu na rok rozpoznania)



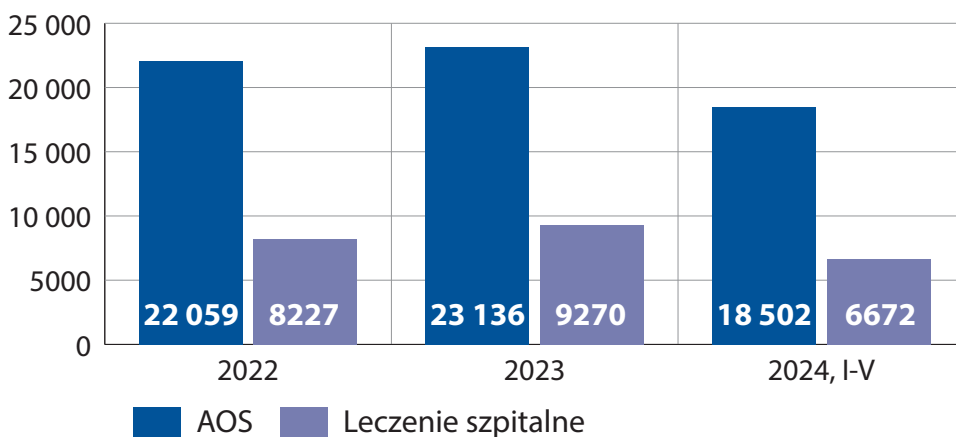
Źródło: NFZ

Wykres 7. Liczba pacjentów z rozpoznaniem C90 szpiczak mnogi i nowotwory złośliwe z komórek plazmatycznych, którym udzielono świadczeń w ramach kontraktu z NFZ (bez względu na rok rozpoznania)



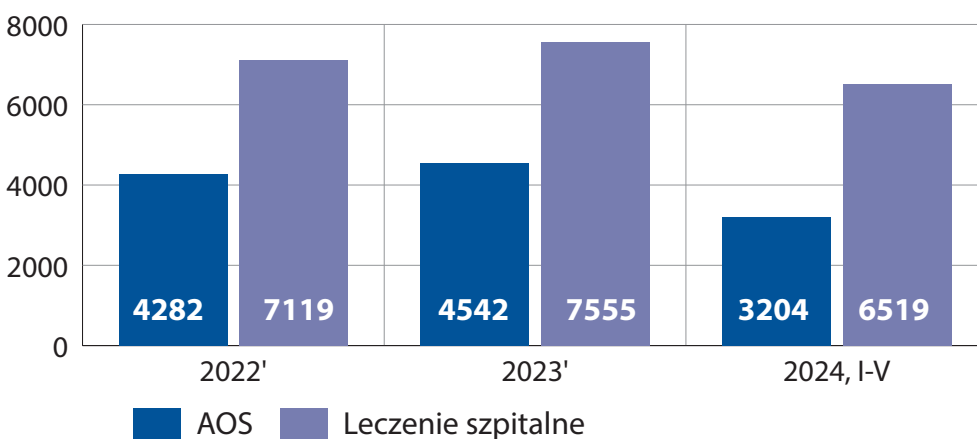
Źródło: NFZ

Wykres 8. Liczba pacjentów z rozpoznaniem C91 białaczka limfatyczna, którym udzielono świadczeń w ramach kontraktu z NFZ (bez względu na rok rozpoznania)



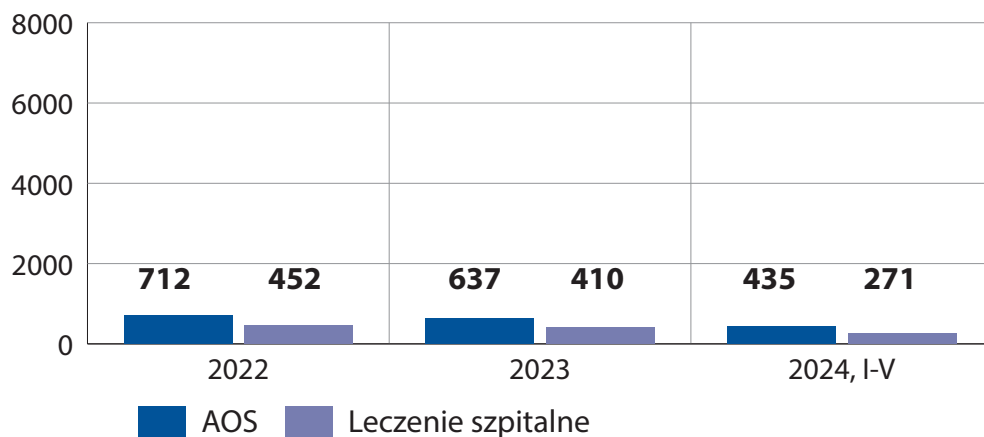
Źródło: NFZ

Wykres 9. Liczba pacjentów z rozpoznaniem C92 białaczka szpikowa, którym udzielono świadczeń w ramach kontraktu z NFZ (bez względu na rok rozpoznania)



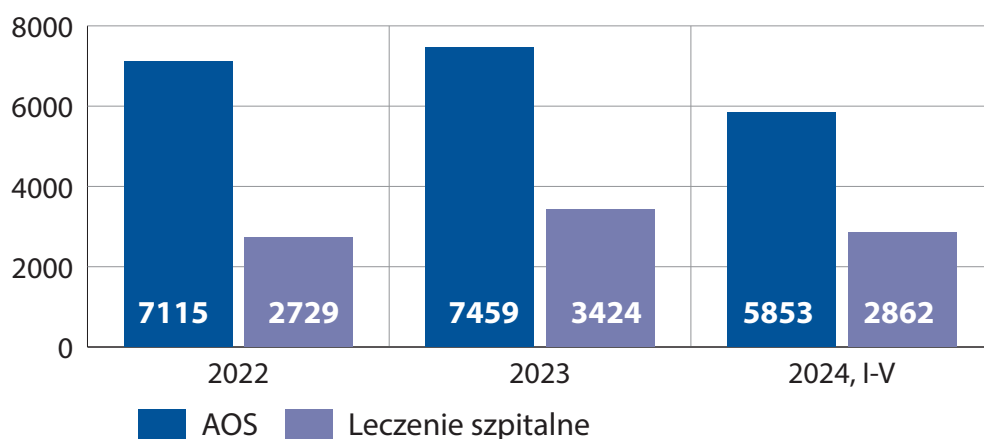
Źródło: NFZ

Wykres 10. Liczba pacjentów z rozpoznaniem C94 ostra czerwienica i erytroleukemia, którym udzielono świadczeń w ramach kontraktu z NFZ (bez względu na rok rozpoznania)



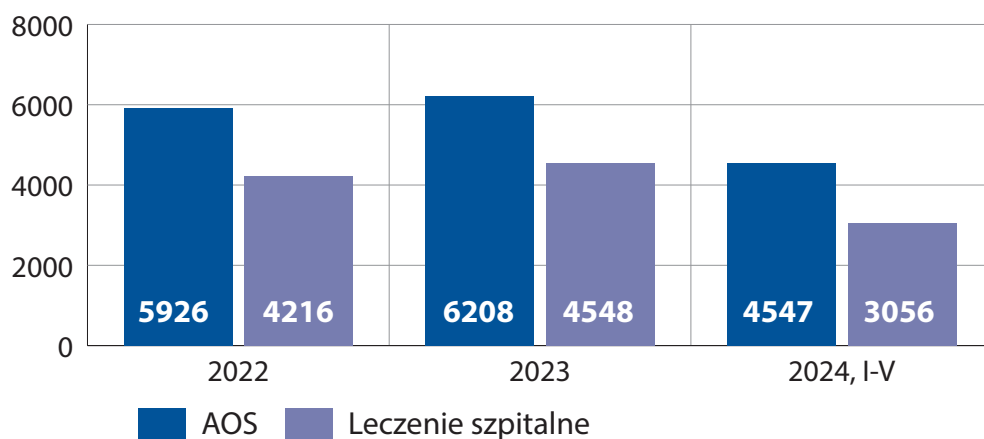
Źródło: NFZ

Wykres 11. Liczba pacjentów z rozpoznaniem D45 czerwienica prawdziwa, którym udzielono świadczeń w ramach kontraktu z NFZ (bez względu na rok rozpoznania)



Źródło: NFZ

Wykres 12. Liczba pacjentów z rozpoznaniem D46 zespoły mielodysplastyczne, którym udzielono świadczeń w ramach kontraktu z NFZ (bez względu na rok rozpoznania)



Źródło: NFZ

Nowotwory hematologiczne – perspektywa Krajowego Rejestru Nowotworów



Prof. dr hab. Joanna Didkowska, kierownik Zakładu Epidemiologii i Prewencji Pierwotnej Nowotworów oraz Krajowego Rejestru Nowotworów

Na przestrzeni ostatnich lat obserwujemy wyraźny wzrost zachorowalności na nowotwory krwi i układu chłonnego. Jest on niestety domeną populacji wszystkich państw rozwiniętych, ze względu na zmiany struktury demograficznej. Wiek jest niezależnym czynnikiem ryzyka wszystkich nowotworów. Wiele badań wskazuje, że powodem tego zjawiska mogą być zmiany w organizmie powiązane z procesem starzenia. Ale to nie wszystko, bowiem wśród przyczyn tego zjawiska wskazuje się również kumulację wpływu różnych czynników ryzyka w czasie życia człowieka. Niestety nie potrafimy tych dwóch determinant jasno rozdzielić, dlatego uznaje się, że to właśnie wiek jest głównym czynnikiem ryzyka rozwoju nowotworów.

Na nowotwory krwi i układu chłonnego co roku w Polsce zapada około 11 tys. pacjentów. Co warto podkreślić, zespół Krajowego Rejestru Nowotworów utworzył i implementował pierwszy rejestr narządowy właśnie dotyczący nowotworów krwi i układu chłonnego – Polski Rejestr Onko-Hematologiczny (PROH). Pierwsze dane za 2022 rok pokażemy jeszcze w 2024 roku i liczymy, że pozwolą one na jeszcze głębsze spojrzenie na problematykę i epidemiologię nowotworów układu krwiotwórczego i chłonnego. Natomiast pierwszych szczegółowych danych za 2023 rok możemy się spodziewać w kolejnych latach.

To, z czym mierzymy się w Polsce, to pewnego rodzaju niedorejestrowanie przypadków. Mimo istniejących regulacji prawnych, które obligowały lekarzy do zgłaszania informacji o przypadkach nowotworów do rejestru, nie wszystkie dane do nas trafiały. Liczę jednak na to, że ulegnie to zmianie dzięki nowelizacji rozporządzenia w sprawie Krajowego Rejestru Nowotworów z 2023 roku¹. Według nowych regulacji obowiązek raportowania do systemu KRN został przeniesiony z lekarza na placówkę, w której

¹ Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 30 marca 2023 r. zmieniające rozporządzenie w sprawie Krajowego Rejestru Nowotworów <https://isap.sejm.gov.pl/isap.nsf/DocDetails.xsp?id=WDU20230000661> dostęp 20 sierpnia 2024

pracuje, tj. szpital bądź przychodnię. Dodatkowo system e-KRN+ oraz PROH został zintegrowany z pracownikami histopatologicznymi, co pozwoli nam pozyskiwać dane bezpośrednio z baz pracowni. Spodziewam się, że dane dotyczące roku 2023 pokażą nam prawdziwą epidemiologię nowotworów w Polsce, a niedorejestrowanie będzie stanowiło niewielki odsetek wszystkich przypadków.

Współczynniki zachorowalności: Polska na tle Europy

Zebrane przez nasz KRN dane pokazują, że współczynniki zachorowalności na nowotwory krwi w Polsce nie odbiegają znacząco od tego, co obserwujemy w innych krajach Europy. Na naszym kontynencie również obserwujemy pewną różnorodność, np. w krajach Półwyspu Skandynawskiego współczynniki zachorowalności są nieco wyższe. Są również kraje, takie jak Czechy, gdzie są one podobne do notowanych w Polsce.

Czym wytłumaczyć pojawiające się różnice? Niestety trudno jest mi to rozstrzygnąć, gdyż czynniki ryzyka rozwoju nowotworów krwi – w przeciwieństwie do np. nowotworów litych, takich jak rak płuca – są bardzo słabo poznane. Oczywiście pojawiają się w publikacjach pewne tropy – przykładem może być ekspozycja na pestycydy: herbicydy, insektycydy czy fungicydy, które mogą być źródłem narażenia na karcinogeny.

Na przestrzeni ostatnich lat widoczna jest natomiast wyraźna poprawa wskaźników przeżyć. Wiele nowotworów hematoonkologicznych ma wyraźnie lepsze przeżycie lub wręcz staje się powoli chorobą przewlekłą. Przykładem może być chłoniak Hodgkina, który jest nowotworem o dobrym rokowaniu, a wskaźnik umieralności (standaryzowany) wynosi w Polsce 0,34 przypadku na 100 tys.

Różnice w klasyfikacji

Należy również zwrócić uwagę na istniejące różnice dotyczące klasyfikowania nowotworów krwi i układu chłonnego. Niestety obecnie stosowana przy raportowaniu klasyfikacja ICD-10 jest ułomna i może generować błędy interpretacyjne. Optymalnym byłoby stosowanie klasyfikacji ICD-O², która jest Międzynarodową Klasyfikacją Chorób w Onkologii. Ostatnia rewizja klasyfikacji ICD-10 miała miejsce w 2019 roku, kiedy to pod wpływem środowiska lekarzy hematologów Światowa Organizacja Zdrowia zdecydowała się uzupełnić klasyfikację nowotworów hematologicznych. Niestety w Polsce nie została wdrożona ta zmiany klasyfikacji nowotworów, co ułatwiłoby analizę danych dotyczących nowotworów krwi. Rzetelne bazy danych są nam niezwykle potrzebne, ponieważ regulator powinien dysponować wiarygodnymi danymi, by móc podejmować właściwe decyzje. Według zapowiedzi wprowadzenie nowej klasyfikacji ICD-11, która ma uwzględnić m.in. zapisy klasyfikacji ICD-O, może nastąpić w perspektywie 2-3 lat, co z pewnością przełoży się na precyzję rozpoznań.

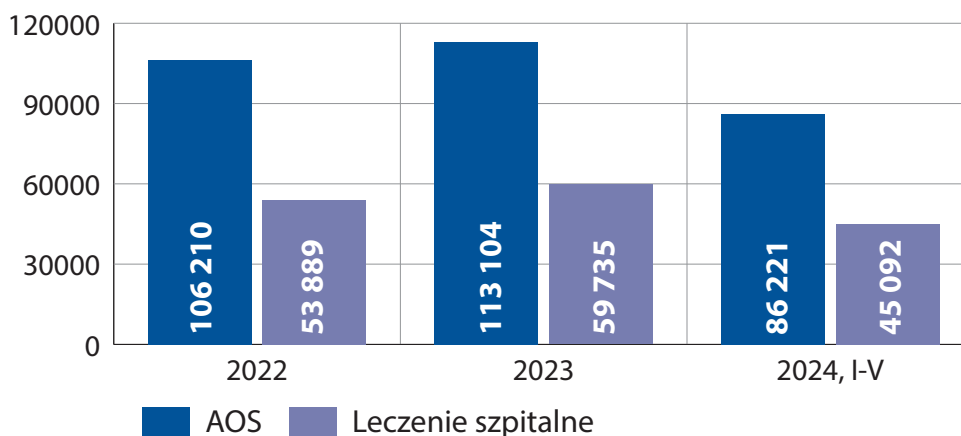
² W rewizji kodów ICD-O klasyfikację rozbudowano i zweryfikowano kody morfologiczne m.in. dla chłoniaków i białaczek. Do kodów włączono klasyfikację WHO (oparta została o nową klasyfikację chłoniaków REAL oraz klasyfikację białaczek FAB). Dodatkowo włączono klasyfikację dotyczącą białaczek szpikowych uwzględniającą kombinacje morfologiczne i zaburzenia cytogenetyczne https://iris.who.int/bitstream/handle/10665/42344/9788388681462_pol.pdf;jsessionid=612B668CB6E9AACDB890D80E4008D2BA?sequence=45 dana dostępu 21.08 2024

Świadczenia hematologiczne – liczba, wartość, pacjenci

Na potrzeby raportu „Hematologia: nowe otwarcie” zwróciliśmy się o przesłanie danych do Narodowego Funduszu Zdrowia. Na ich podstawie uzyskaliśmy informację m.in. o liczbie pacjentów korzystających ze świadczeń zdrowotnych w latach 2022-2023 i w okresie od stycznia do maja 2024 roku, a także o liczbie sprawozdanych świadczeń i ich wartości (patrz ramka METODYKA) w wybranych rozpoznaniach sklasyfikowanych za pomocą Międzynarodowej Statystycznej Klasyfikacji Chorób i Problemów Zdrowotnych ICD-10. Analiza liczby pacjentów korzystających ze świadczeń zdrowotnych wskazuje, że chorzy korzystający ze świadczeń lecznictwa szpitalnego są niemal dwukrotnie mniej liczną grupą niż pacjenci korzystający z ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (patrz tabela 1). Ma to bezpośrednie przełożenie na liczbę udzielanych świadczeń i ich wartość. W ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (AOS) udzielanych jest ponad trzykrotnie więcej świadczeń niż w ramach lecznictwa zamkniętego – stosunek liczby porad w AOS do liczby porad sprawozdanych w ramach lecznictwa szpitalnego wahał się w analizowanym okresie od 3,7 w 2022 roku do 3,3 w 2023 roku (patrz tabela 2).

Patrząc na wartość sprawozdanych świadczeń, widać wyraźną przewagę nakładów, jakie z tytułu leczenia pacjentów z rozpoznaniem hematologicznym przekazywane są przez NFZ placówkom realizującym świadczenia z zakresu leczenia szpitalnego. W zależności od roku nakłady na leczenie szpitalne były 16,6-krotnie lub 18,7-krotnie wyższe niż na leczenie w ambulatoriach. Jedyną grupą schorzeń, gdzie wartość świadczeń udzielanych w AOS jest wyższa niż świadczeń udzielanych w leczeniu szpitalnym, są pacjenci chorzy na czerwieńcę prawdziwą.

Wykres 1. Liczba pacjentów z rozpoznaniem hematologicznym, którym udzielono świadczeń zdrowotnych odpowiednio w latach: 2022, 2023 oraz od stycznia do maja 2024 roku



Źródło: NFZ

Tabela 1. Liczba świadczeń oraz wartość refundacji sprawozdanych świadczeń udzielonych pacjentom z rozpoznaniem hematologicznym w latach 2022, 2023 i od stycznia do maja 2024 roku

Hematologia ogółem	Liczba świadczeń	Wartość refundacji udzielonych świadczeń [zł]
2022 AOS	232 657	35 257 251,51
2022 Leczenie szpitalne	62 788	588 427 715,50
2023 AOS	244 325	46 400 287,40
2023 Leczenie szpitalne	72 424	861 759 641,67
I-V 2024 AOS	107 167	18 080 690,44
I-V 2024 Leczenie szpitalne	32 458	320 568 574,69

Źródło: NFZ

METODYKA

Przesłane przez Narodowy Fundusz Zdrowia informacje obejmowały świadczenia sprawozdane w ramach listy zakresów sprawozdanych w rodzaju świadczeń leczenie szpitalne i ambulatoryjna opieka specjalistyczna. Przedstawiono je w podziale na rozpoznanie główne sprawozdane do świadczenia. W zestawieniu wartość refundacji świadczeń odnosi się do świadczeń, dla których wartość rozliczonego świadczenia była większa od zera lub świadczenie zostało sprawozdane w ramach ryczałtu systemu podstawowego szpitalnego zabezpieczenia świadczeń opieki zdrowotnej (PSZ), nie uwzględnia zatem m.in. świadczeń udzielonych w ramach stawki kapitałowej POZ i szpitalnych oddziałów ratunkowych. Przedstawione dane nie uwzględniają również świadczeń udzielonych w ramach lecznictwa uzdrowiskowego. W przypadku świadczeń sprawozdanych w ramach ryczałtu PSZ uwzględniono ich wartość w oparciu o cenę jednostki sprawozdawczej ryczałtu systemu zabezpieczenia obowiązującą w danym okresie rozliczeniowym.

Tabela 2. Liczba świadczeń oraz wartość refundacji sprawozdanych świadczeń udzielonych pacjentom z rozpoznaniem: Chłoniaki C81-85

CHŁONIAKI	Liczba świadczeń	Wartość refundacji świadczeń [zł]
2022 AOS	46 007	7 358 270,19
Leczenie szpitalne	3003	109 587 757,31
2023 AOS	48 410	9 769 490,97
Leczenie szpitalne	13 550	161 176 045,90
I-V 2024 AOS	2 1041	3 771 032,95
Leczenie szpitalne	6223	61 404 666,41

Tabela 3. Liczba świadczeń oraz wartość refundacji sprawozdanych świadczeń udzielonych pacjentom z rozpoznaniem: Białaczki C91-93

BIAŁACZKI	Liczba świadczeń	Wartość refundacji świadczeń [zł]
2022 AOS	71 959	10 375 573,34
2022 Leczenie szpitalne	23 197	321 254 533,01
2023 AOS	74 084	13 253 385,83
2023 Leczenie szpitalne	26 942	453 229 314,07
I-V 2024 AOS	32 437	5 097 411,67
I-V 2024 Leczenie szpitalne	12 033	172 973 864,01

Tabela 4. Liczba świadczeń oraz wartość refundacji sprawozdanych świadczeń udzielonych pacjentom z rozpoznaniem: Czerwieńca prawdziwa D45

CZERWIENICA PRAWDZIWA	Liczba świadczeń	Wartość refundacji
2022 AOS	21 014	2 761 771,52
Leczenie szpitalne	1707	1 597 579,31
2023 AOS	20 847	3 363 905,11
Leczenie szpitalne	1888	2 185 452,53
2024 AOS	9089	1 289 761,27
Leczenie szpitalne	895	718 189,02

Tabela 5. Liczba świadczeń oraz wartość refundacji sprawozdanych świadczeń udzielonych pacjentom z rozpoznaniem: Zespoły mielodysplastyczne D46

ZESPOŁY MIELODYSPLASTYCZNE	Liczba świadczeń	Wartość refundacji
2022 AOS	15 785	2 295 486,26
Leczenie	4916	35 036 011,54
2023 AOS	16 121	2 924 436,06
Leczenie	5687	60 018 794,17
2024 AOS	7029	1 166 912,52
Leczenie	2356	16 148 294,86

¹ Do przeprowadzenia analizy wykorzystano następujące rozpoznania ICD-10: C81-85, C-88, C90-96, D-45-47,

² Dane wpłynęły do Fundacji Rzecznicy Zdrowia odpowiedni 9 oraz 28 sierpnia 2024 roku

Tabela 6. Pacjenci zakwalifikowani do programów lekowych w obszarze hematologii w roku 2023 oraz w okresie od stycznia do maja 2024

Numer programu	Nazwa programu	Liczba nowych pacjentów w programie w 2023 roku (pacjenci otrzymali świadczenie w 2023 roku i nie otrzymali żadnego świadczenia w programie w roku poprzednim)	Liczba nowych pacjentów w programie w 2024 roku (pacjenci otrzymali świadczenie w 2024 roku i nie otrzymali żadnego świadczenia w programie w roku poprzednim)
B.12	Leczenie chorych na chłoniaki B-komórkowe	915	545
B.14	Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę szpikową	224	69
B.15	Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B	23	19
B.54	Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytozy	1364	963
B.65	Leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną	89	33
B.66	Leczenie chorych na chłoniaki T-komórkowe	94	34
B.77	Leczenie chorych na klasycznego chłoniaka Hodgkina	184	159
B.79	Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową	3127	923
B.81	Leczenie chorych na nowotwory mieloproliferacyjne ph (-)	425	338
B.97	Leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną	399	186
B.98	Leczenie pediatrycznych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną	50	42
B.114	Leczenie chorych na ostrą białaczkę szpikową	795	343
B.115	Leczenie agresywnej mastocytozy układowej, mastocytozy układowej ze współistniejącym nowotworem układu krwiotwórczego oraz białaczki mastocytarnej	19	8
B.142	Leczenie dorosłych pacjentów z zespołami mielodysplastycznymi z towarzyszącą niedokrwistością zależną od transfuzji	145	54
B.146	Leczenie chorych na makroglobulinemię Waldenströma	31	81
B.149	Leczenie pacjentów z chorobą przeszczep przeciwko gospodarzowi	< 5	124

Kadry w hematologii

Jednym z wyzwań polskiego systemu ochrony zdrowia są niedobory kadr medycznych. Według danych Naczelnej Izby Lekarskiej liczba lekarzy wykonujących ten zawód w Polsce na koniec czerwca 2024 roku wynosiła 176 068, z czego 136 336 posiadało tytuł specjalisty, natomiast 39 732 posiadało tytuł specjalisty I stopnia¹. W grupie tej liczba lekarzy posiadających specjalizację w dziedzinie hematologii wynosiła 633. Dane przedstawione przez Ministerstwo Zdrowia wskazują, że od 2019 roku liczba hematologów wzrosła o 26 proc. (patrz tabela)². Wskaźnik liczby lekarzy hematologów na 100 tys. mieszkańców Polski wyniósł 1,68.

Tabela 1. Liczba lekarzy hematologów

	Liczba lekarzy wskaźnik na 100 tys. mieszkańców	Kobiety	Mężczyźni	Kadra w wieku emerytalnym	% kadry w wieku emerytalnym	Średni wiek
2019	499 1,3	340	159	106	21 proc.	52
2020	516 1,3	349	157	109	21 proc.	52
2021	547 1,4	368	179	121	22 proc.	52
2022	555 1,5	373	182	130	23 proc.	53

Źródło: MZ basiw.mz.gov.pl

Niestety ostatnie wyniki naborów na szkolenie specjalizacyjne wskazują, że młodzi lekarze niechętnie wybierają hematologię jako dziedzinę, w której chcą się szkolić. W trakcie ostatnich dwóch naborów na szkolenie specjalizacyjne młodzi lekarze zajęli odpowiednio 38,5 proc. (w naborze jesień 2023) i 12,1 proc. (w naborze wiosna 2024) dostępnych miejsc.

¹ Zestawienie liczbowe lekarzy i lekarzy dentystów wg dziedziny i stopnia specjalizacji Naczelna Izba Lekarska dane aktualne na dzień 30 czerwca 2024 https://nil.org.pl/uploaded_files/1720084289_zestawienie-4.pdf (dostęp 8 sierpnia 2024)

² Dane z <https://basiw.mz.gov.pl/mapy-informacje/mapa-2022-2026/analizy/kadry-medyczne/kadry-medyczne/> (dostęp 8 sierpnia 2024)

Tabela 2. Wyniki naboru na szkolenie specjalizacyjne w dziedzinie hematologii w poszczególnych województwach – nabory jesień 2023 oraz wiosna 2024

Województwo	Liczba obsadzonych miejsc w naborze jesień 2023 – stan na 21.12.23 ³ (liczba przewidzianych miejsc szkoleniowych: tryb rezydencji/tryb pozarezydencji)	Liczba obsadzonych miejsc w naborze wiosna 2024 – stan na 16.04.24 ⁴ (liczba przewidzianych miejsc szkoleniowych: tryb rezydencji/tryb pozarezydencji)
Dolnośląskie	4 (4/3)	3 (3/3)
Kujawsko-Pomorskie	1 (5/0)	1 (3/6)
Lubelskie	5 (7/2)	3 (5/4)
Lubuskie	1 (2/0)	0 (1/1)
Łódzkie	3 (3/2)	0 (3/1)
Małopolskie	3 (2/1)	1 (1/0)
Mazowieckie	9 (9/2)	2 (3/2)
Opolskie	0 (2/2)	0 (2/2)
Podkarpackie	6 (7/5)	0 (3/3)
Podlaskie	0 (1/1)	0 (4/0)
Pomorskie	4 (14/7)	1 (8/9)
Śląskie	5 (7/2)	1 (5/2)
Świętokrzyskie	0 (3/2)	0 (3/2)
Warmińsko-mazurskie	0 (2/0)	0 (2/0)
Wielkopolskie	4 (4/3)	0 (2/0)
Zachodniopomorskie	2 (15/2)	0 (6/9)

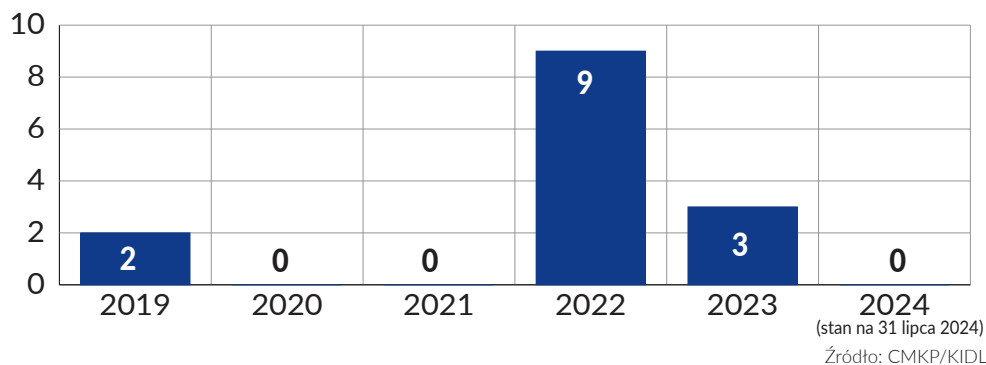
Źródło: CMKP

Diagnostów laboratoryjnych posiadających specjalizację w dziedzinie laboratoryjnej hematologii medycznej w całej Polsce jest 81. W przypadku tej specjalizacji nie widać jednak skokowego przyrostu liczby specjalistów. Wskaźnik liczby diagnostów specjalistów w dziedzinie hematologii na 100 tys. mieszkańców Polski wyniósł 0,215.

³ Dane za CMKP <https://www.cmkp.edu.pl/ksztalcenie/postepowania-kwalifikacyjne/postepowanie-kwalifikacyjne-jesien-2023> (dostęp 8 sierpnia 2024)

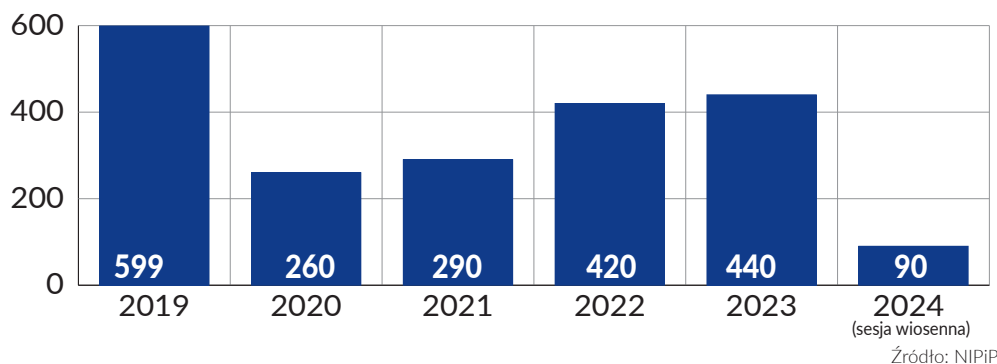
⁴ Dane za CMKP <https://www.cmkp.edu.pl/ksztalcenie/postepowania-kwalifikacyjne/postepowanie-kwalifikacyjne-wiosna-2024> (dostęp 8 sierpnia 2024)

Wykres 1. Liczba diagnostów laboratoryjnych, którzy ukończyli specjalizację w dziedzinie laboratoryjnej hematologii medycznej

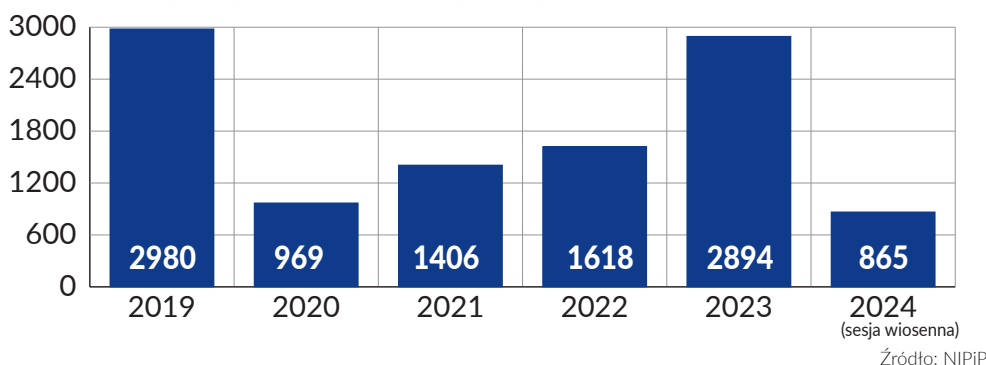


Dane Naczelnej Izby Pielęgniarek i Położnych wskazują, że specjalizację w dziedzinie pielęgniarstwa onkologicznego na koniec 2023 roku posiadało 3749 pielęgniarek i położnych⁵. Zebrane do raportu dane wskazują, że od 2019 roku, kiedy liczba pielęgniarek z tą specjalizacją wynosiła 2120⁶, ich liczba istotnie wzrosła (o 76,8 proc.).

Wykres 2. Liczba pielęgniarek i położnych, które uzyskały tytuł specjalisty w dziedzinie pielęgniarstwa onkologicznego



Wykres 3. Liczba pielęgniarek i położnych, które uzyskały tytuł specjalisty w dziedzinie pielęgniarstwa internistycznego



⁵ Statystyka Naczelnej Izby Pielęgniarek i Położnych – Centralny Rejestr pielęgniarek i Położnych <https://nipip.pl/wp-content/uploads/2024/01/2023-12-31-Specjalizacje.pdf> (dostęp 8 sierpnia 2024)

⁶ Statystyka Naczelnej Izby Pielęgniarek i Położnych – Centralny Rejestr pielęgniarek i Położnych https://nipip.pl/wp-content/uploads/2023/01/Specjalizacje_2019.pdf (dostęp 8 sierpnia 2024)

Jak zachęcić młodych lekarzy do kształcenia w dziedzinie hematologii?



Prof. dr hab. Krzysztof Giannopoulos, prezes Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów, kierownik Zakładu Hematoonkologii Doświadczalnej Uniwersytetu Medycznego w Lublinie, dyrektor Centrum Wsparcia Badań Klinicznych Uniwersytetu Medycznego w Lublinie

Kwestia kadr medycznych w obszarze hematologii jest odzwierciedleniem sytuacji, jaką mamy w całym systemie ochrony zdrowia – lekarzy jest zbyt mało. W ostatnich naborach na specjalizacje mieliśmy sytuację, w których nieobsadzonych pozostawało blisko 100 miejsc zabezpieczonych w trybie rezydenckim. Z jednej strony to sygnał, że nasze ośrodki są w gotowości i chcą kształcić przyszłych hematologów, z drugiej jednak strony nadal nie udaje nam się zachęcić wystarczającej liczby młodych osób do podejmowania kształcenia w tej deficytowej specjalizacji. Jest to oczywiście szerszy problem, który powinien skłonić nas do przeanalizowania atrakcyjności naszej specjalizacji i jednocześnie do zastanowienia się nad możliwościami rozwoju, jakie będziemy oferować młodym.

Blaski i cienie hematologii

Jestem przekonany, że jednym z elementów, który powinien zachęcać młodych lekarzy, jest dynamiczny rozwój tej dziedziny medycyny i czerpanie z najnowszych osiągnięć genetyki i immunologii. Z mojego punktu widzenia problemem jest to, że większość badań diagnostycznych oraz terapii jest podawana w systemie szpitalnym, co sprawia, że hematolodzy nie mogą

w pełni korzystać z tych nowoczesnych osiągnięć w trybie ambulatoryjnym. W efekcie hematologia staje się mniej atrakcyjną dziedziną w porównaniu do tych, gdzie praca ambulatoryjna jest bardziej rozpowszechniona i istnieją większe możliwości rozwoju również finansowego poza systemem publicznym.

Innym elementem mogącym wpływać na wybory młodych ludzi jest niewątpliwie presja związana z rozpoznaniem. Nadal większość naszych pacjentów w momencie rozpoznania nie będzie mogła zostać wyleczona. Oczywiście nasza praca będzie zmierzała do tego, by pacjentom przedłużyć życie w dobrym komforcie, natomiast nadal umieralność na oddziałach hematologii może dla młodszego pokolenia stanowić pewne obciążenie psychiczne i barierę do podejmowania szkolenia w tej dziedzinie. Dlatego ważną z mojego punktu widzenia wydaje się edukacja prowadzona w taki sposób, by z jednej strony nie zabić w młodym pokoleniu empatii do ciężko chorych pacjentów, z drugiej natomiast umożliwić mu zachowanie profesjonalizmu w relacji z pacjentem i jego bliskimi. Tego ostatniego na studiach młodzi adepci medycyny nie nauczą się i jedynie praca na oddziale jest w stanie pomóc im przygotować się na różne sytuacje.

Ostatnim elementem, który może nie zachęcać młodych do podejmowania szkolenia w trudnych specjalizacjach, w tym hematologii, jest bardzo duże obciążenie administracyjne, wynikające z organizacji polskiego systemu ochrony zdrowia.

Hematologia otwiera ścieżki rozwoju

Jednocześnie hematologia to specjalizacja wymagająca z jednej strony ogromnych pokładów cierpliwości, z drugiej natomiast wykorzystująca wiedzę teoretyczną zdobywaną w trakcie studiów w takich obszarach jak genetyka czy immunologia. Daje nam to duże możliwości nieustannego rozwoju i łączenia działalności naukowej z działalnością kliniczną. Jestem przekonany, że specjalizacja z hematologii otwiera tak dużo ścieżek, że każdy znajdzie obszar, w którym będzie mógł się rozwijać.

Potrzeby diagnostów w zakresie kształcenia



Dr Karolina Bukowska-Strakova, wiceprezes Krajowej Rady Diagnostów Laboratoryjnych, przewodnicząca Krajowego Związku Zawodowego Pracowników Medycznych Laboratoriów, Zakład Immunologii Klinicznej Collegium Medicum Uniwersytetu Jagiellońskiego

Nie ma prostej recepty na poprawę sytuacji kadrowej w medycynie laboratoryjnej. Z punktu widzenia środowiska diagnostów laboratoryjnych, aby przyciągnąć do zawodu najlepszych, należałoby uczynić zawód bardziej atrakcyjnym poprzez zwiększenie samodzielności i właściwe wykorzystanie kompetencji merytorycznych w systemie (pomijam zarobki, jako dość oczywistą zachętę). Aby osiągnąć ten cel, należałoby wprowadzić zmiany zarówno w kształceniu przeddyplomowym, jak i również kształceniu podyplomowym, ze szczególnym uwzględnieniem zajęć w zespołach interprofesjonalnych, tak aby już na tym etapie edukacji każdy zawód medyczny rozumiał, jaką wartość dodaną wnosi do opieki nad pacjentem współpraca specjalistów z poszczególnych gałęzi medycyny, w tym medycyny laboratoryjnej. Zmiany te powinny być dopasowane do potrzeb pacjentów oraz całego systemu ochrony zdrowia.

Niestety, pomimo ukończenia kierunkowych, jednolitych studiów medycznych, nie zawsze jesteśmy w systemie ochrony zdrowia postrzegani jako samodzielna kadra mogąca wnieść dodatkową wartość do opieki nad pacjentem. To zniechęca młodych adeptów do pozostania w zawodzie. W związku z tym oczekivalibyśmy już na etapie kształcenia przeddyplomowego większej współpracy między studentami poszczególnych kierunków medycznych. To pozwoli na zwiększenie świadomości wśród lekarzy i przedstawicieli innych zawodów medycznych, jeszcze zanim wejdą do zawodu, jakie korzyści daje interdyscyplinarna opieka nad pacjentem w ramach zespołów diagnostyczno-terapeutycznych z diagnostą laboratoryjnym jako ciałem doradczym w zakresie interpretacji możliwych odchyleń poszczególnych parametrów, interferencji leków w oznaczenia laboratoryjne (DLTI), zapewniając efektywne (w tym ekonomicznie) i właściwe wykorzystanie badań i informacji z nich płynących.

Natomiast w obszarze kształcenia podyplomowego, specjalizacyjnego, w tym także w ramach specjalizacji z laboratoryjnej hematologii medycznej, również istniałaby potrzeba zbliżenia nas z lekarzami hematologami. To zbliżenie sprawi, że z jednej strony nasz potencjał będzie efektywniej wykorzystywany do skrócenia ścieżki diagnostycznej pacjenta, z drugiej natomiast strony lekarze będą wiedzieli, w jakich obszarach możemy stanowić dla nich wsparcie merytoryczne, z korzyścią dla pacjen-

ta. Naszym wymarzoną modelem realizacji kształcenia specjalizacyjnego byłby tryb rezydentki, z pełnym finansowaniem przez Ministerstwo Zdrowia. Taka formuła jest najbardziej efektywna zarówno dla samego specjalizanta, jak i dla kadry szkolącej w miejscu realizacji stażu podstawowego czy staży kierunkowych (dziś borykamy się z wieloma administracyjnymi i organizacyjnymi problemami).

Jak stworzyć mechanizm zachęt dla ośrodków do realizacji szkoleń? Analogicznie jak w zawodzie lekarza – tyle, że tu byłaby oczywiście znacznie mniejsza skala. Myślę, że w takim modelu nie trzeba byłoby specjalnie zachęcać młodych diagnostów do podejmowania specjalizacji.

Jeśli chodzi o potencjał naukowy, trzeba pamiętać, że diagnosty w toku kształcenia przeddyplomowego również zdobywają szeroką wiedzę z zakresu immunologii czy genetyki, a jednocześnie są świetnie przygotowani do stosowania wysokospecjalistycznych technik laboratoryjnych i prowadzenia badań naukowych. W szczególności do planowania i realizowania eksperymentów badawczych, polegającego na przeprowadzeniu badań materiału biologicznego i genetycznego, co przy dzisiejszym postępie hematologii daje wielkie – i na dziś nie w pełni wykorzystane – możliwości prowadzenia wspólnie badań. Badania takie powinny być zogniskowane na wdrażaniu do praktyki klinicznej innowacyjnych metod badawczych, ocenie przydatności klinicznej wybranych parametrów laboratoryjnych czy opracowywaniu nowych procedur czy algorytmów diagnostycznych opartych o parametry laboratoryjne. Przy tak dynamicznym rozwoju dziedziny, jaką jest hematologia, konieczne są równoległy rozwój i nakłady finansowe na medycynę laboratoryjną, która powinna podążać – jeśli wręcz nie wyprzedzać – za rozwojem nowych możliwości terapeutycznych. Powinniśmy się nauczyć współpracować również na tym polu – na studiach w ramach np. wspólnych kół naukowych, a w szkołach doktorskich w ramach realizowania wspólnych projektów badawczych. Łączenie klasycznej formy wykonywania zawodu „diagnosty praktyka” z prowadzeniem badań naukowych mogłoby być bardzo atrakcyjną formą realizacji aktywności zawodowej diagnostów w szpitalach klinicznych czy uniwersyteckich, która na pewno przyciągnęłaby młodych, ambitnych adeptów do tej dziedziny. Diagnosta, będąc zawodem na styku metodologii naukowej oraz problematyki klinicznej, to potencjalnie idealne ogniwo rozwoju medycyny translacyjnej. Umiejętności prowadzenia badań oraz współpracy w tym zakresie z innymi zawodami, należy zdecydowanie wzmacniać w ramach kształcenia przed- i podyplomowego.

Połączenie szerokiej wiedzy z dziedziny hematologii medycznej, chemii klinicznej, mikrobiologii klinicznej, immunoematologii, immunologii klinicznej, immunodiagnostyki, diagnostyki molekularnej i patofizjologii, zintegrowane z wiedzą z zakresu opieki zdrowotnej tj.: polityki zdrowotnej i zarządzania, farmakologii, edukacji zdrowotnej, zdrowia publicznego i epidemiologii, jaką diagnosta pozyskuje w trakcie kształcenia przeddyplomowego, a następnie specjalizacyjnego, czyni z diagnosty unikatowe ogniwo w procesie diagnostycznym.

Jak zachęcić młode pielęgniarki do podjęcia pracy na oddziale hematologii?



Mgr Ewa Baluch, pielęgniarka oddziałowa Kliniki Transplantacji Szpiku i Onkohematologii, zastępca Naczelnej Pielęgniarki, Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie – Państwowy Instytut Badawczy Oddział Gliwice

Pielęgniarstwo jest jedną z najbardziej inspirujących i satysfakcjonujących karier, jakie kiedykolwiek stworzono. Tyle, ile dyscyplin medycyny, tyle też ukierunkowań w pracy personelu pielęgniarskiego.

Moje życie zawodowe od wielu lat splecione jest z oddziałem hematologii i transplantacji szpiku. Na oddziale o takim profilu nabywałam doświadczenia zawodowego i podnosiłam kwalifikacje. Hematologia jest dziedziną medycyny zajmującą się diagnozowaniem i leczeniem chorób krwi i układu krwiotwórczego. Często oddział hematologii połączony jest z oddziałem transplantacji szpiku, co poszerza możliwość leczenia poprzez przeprowadzanie procedur przeszczepienia komórek krwiotwórczych krwi. Obecnie jedną z najbardziej zajmujących świat metod leczenia niektórych chorób hematologicznych jest terapia CAR-T cells. W tych wszystkich procedurach na oddziale hematologicznym aktywny udział biorą pielęgniarki.

Warto zwrócić też uwagę na możliwości tematyczne w podnoszeniu kwalifikacji zawodowych, można wybrać zarówno specjalizację w dziedzinie pielęgniarstwa internistycznego, jak i onkologicznego, gdyż obie zawierają zagadnienia z dziedziny hematologii. Jednak najbardziej przekonującym argumentem jest to, że pielęgniarki podejmujące pracę na oddziałach hematologicznych pozostają z pacjentami wiele lat, niekiedy całe swoje zawodowe życie.

Wielką radością i satysfakcją napawa mnie fakt, że w ciągu ostatnich czterech lat na nasz oddział zatrudniono 6 pielęgniarek tuż po uzyskaniu dyplomu. Świetnie odnalazły się w zespole i wśród wymagających holistycznej opieki pacjentów, a jedna z naszych młodych koleżanek podjęła badania naukowe i reprezentuje oddział na zjazdach i konferencjach.

Praca na oddziale hematologicznym: jest trudna merytorycznie – ale przez to stajesz się bystrzejszym, jest intensywna – ale przez to stajesz się silniejszym, wymaga zachowań opiekuńczych – ale przez to stajesz się lepszym człowiekiem.

Organizacja opieki nad pacjentami z chorobami hematologicznymi: potrzebne zmiany

Jednym z aktualnych wyzwań polskiego systemu ochrony zdrowia jest odwrócona piramida świadczeń zdrowotnych. Według sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za 2023 rok w strukturze kosztów świadczeń zdrowotnych finansowanych z budżetu płatnika aż 51,6 proc. stanowiły koszty leczenia szpitalnego, 11,49 proc. – podstawowej opieki zdrowotnej, a 9,88 proc. ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

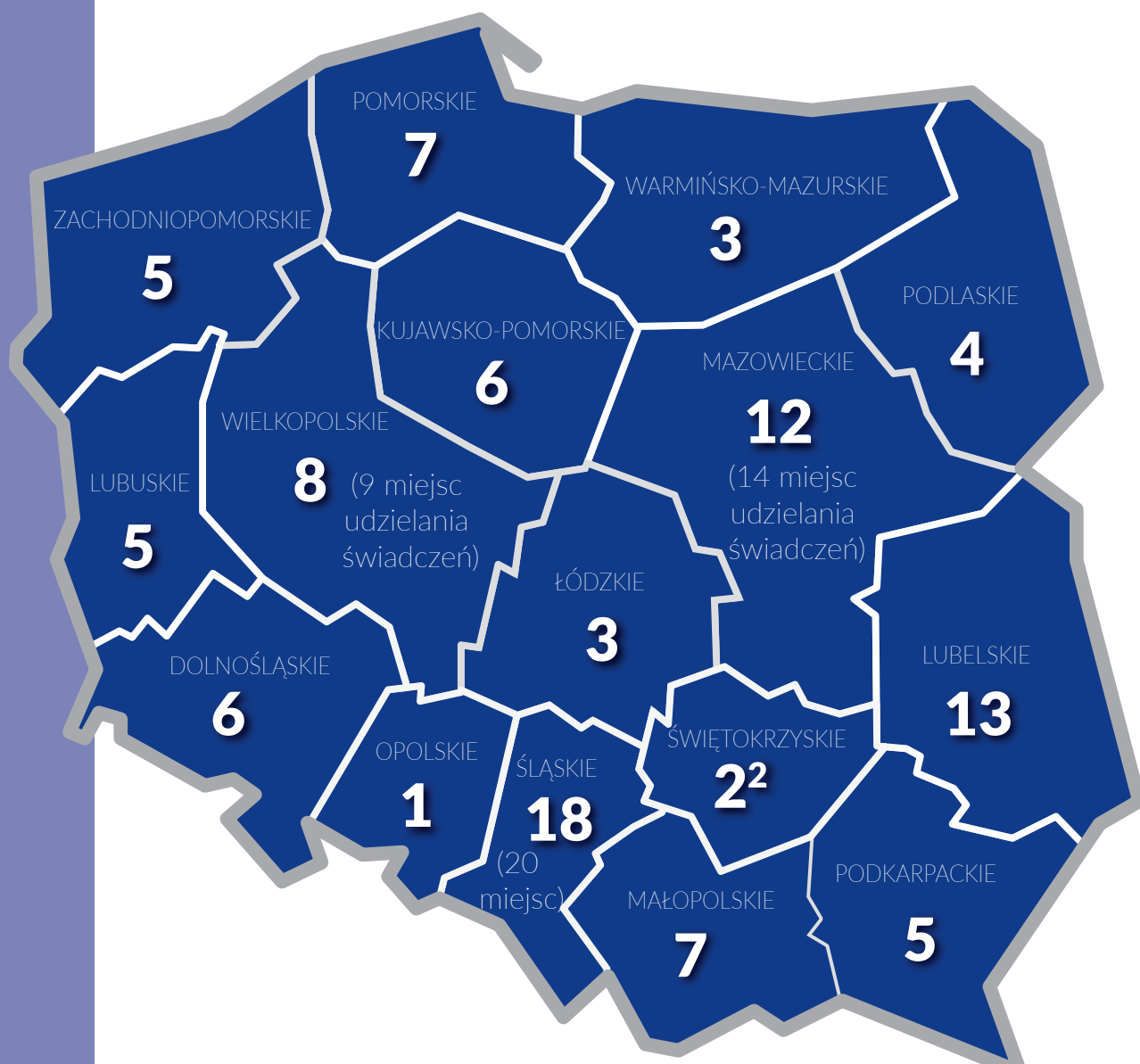
Problem ten dotyka również hematologii, gdzie w latach 2022-2024 wartość świadczeń udzielanych pacjentom hematologicznym w ambulatoryjnej opiece specjalistycznej stanowiła od 5,3 proc. do 5,9 proc. wartości świadczeń udzielanych pacjentom hospitalizowanym. Jednocześnie od 2022 roku liczba świadczeń udzielanych pacjentom hematologicznym – zarówno w AOS, jak i w szpitalach – rośnie. Przyczyn tej sytuacji jest wiele i – jak wskazują eksperci – wynikają one zarówno z ograniczeń związanych z brakiem produktów rozliczeniowych, jak również z ograniczonych uprawnień i niewykorzystywanych kompetencji wybranych przedstawicieli kadr medycznych.

W 2024 roku w Polsce¹ dorośli pacjenci mogą otrzymać świadczenia z zakresu leczenia hematologicznego w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej w 110 poradniach, natomiast świadczenia z zakresu leczenia szpitalne realizowane są w 46 lokalizacjach.

¹ Stan na 29 sierpnia 2024

Rysunek 1. Liczba świadczeniodawców udzielających świadczeń ambulatoryjnych (AOS) z zakresu hematologii na terenie województwa

Mapa oddziały AOS



² Z przyczyn losowych (zgon lekarza udzielającego świadczeń w Jędrzejowie) placówka zgłosiła przerwę w realizacji kontraktu na świadczenia w ramach AOS

Rysunek 2. Liczba świadczeniodawców udzielających świadczeń z zakresu leczenia szpitalnego w obszarze hematologii na terenie województwa

Mapa oddziały szpitalne



Leczenie szpitalne dla pacjentów z najbardziej zaawansowaną chorobą



Prof. dr hab. Sebastian Giebel, kierownik Kliniki Transplantacji Szpiku i Onkohematologii Narodowego Instytutu Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie – Państwowego Instytutu Badawczego, Oddział w Gliwicach, prezes Stowarzyszenia Polska Grupa ds. Leczenia Białaczek u Dorosłych

Liczba łóżek hematologicznych jest ograniczona i organizacyjnie nie jesteśmy w stanie zaopatrzyć wszystkich naszych chorych w warunkach szpitalnych. Z drugiej strony mamy świadomość, że nie we wszystkich przypadkach to leczenie szpitalne jest uzasadnione, z uwagi na stosowanie nowoczesnej terapii, która z powodzeniem może być prowadzona w trybie ambulatoryjnym. Podobnie jest z diagnostyką, która w wielu przypadkach może i wręcz powinna być przeprowadzana ambulatoryjnie, pod warunkiem powstania odpowiednich produktów rozliczeniowych.

Oczywiście to nie dotyczy wszystkich chorych. Mamy nowotwory o agresywnym przebiegu, które wymagają intensywnego leczenia. Mamy również procedury, np. podanie CAR-T cells, czy procedury transplantacji szpiku, które bezwzględnie wymagają hospitalizacji. Do tego wszystkiego pobyt pacjentów na oddziale bywają długie i stąd infrastruktura w postaci oddziałów szpitalnych powinna być dla naszych pacjentów zabezpieczona.

Odwrócenie piramidy świadczeń



Prof. dr hab. Krzysztof Giannopoulos, prezes Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów, kierownik Zakładu Hematoonkologii Doświadczalnej Uniwersytetu Medycznego w Lublinie, dyrektor Centrum Wsparcia Badań Klinicznych Uniwersytetu Medycznego w Lublinie

Zdecydowanie znaczny zakres opieki nad pacjentami z nowotworami krwi mógłby zostać przeniesiony poza szpitalne oddziały. W ostatnich latach rejestracje i refundacje, jakie odbywały się również w Polsce, dotyczyły kilku grup leków. Dwie z nich – leki celowane oraz leki immunoterapeutyczne – to grupy, w których pojawiły się preparaty podawane podskórnie lub doustnie, albo połączenia tych terapii. Te nowe możliwości leczenia naszych pacjentów sprawiają, że chorzy nie wymagają hospitalizacji podczas podawania leku. Konsekwencją podjętych decyzji refundacyjnych powinno być zatem nie tylko zwiększenie dostępności terapii, ale również bardziej efektywne wykorzystanie kadr.

Środowisko hematologiczne jest w stanie takie zabezpieczenie chorych zaferować. W Polsce funkcjonuje 50 oddziałów i klinik hematologii, które w większości przypadków mają pełne kontraktowanie programów lekowych. Natomiast jednostek leczenia ambulatoryjnego mamy niemal dwa razy więcej. Warto podkreślić, że również w placówkach AOS są specjaliści, którzy wiedzą, jak leczyć pacjentów zgodnie ze standardami międzynarodowymi. To, czego im brakuje, to narzędzia – nie tylko w postaci leków, ale również produktów rozliczeniowych. Przesunięcie możliwie szerokiej grupy pacjentów z leczenia szpitalnego do leczenia ambulatoryjnego przyniesie nam ogromną korzyść pod względem bardziej efektywnego wykorzystania łóżek szpitalnych, do których również mamy obecnie ogromne kolejki. Hospitalizacji będą mogli natomiast podlegać pacjenci przyjmujący leki, ale w przypadku, gdy nastąpi powikłanie terapii lub rozpoznanie będzie późne – wówczas terapia jest podawana w trybie ratunkowym z uwagi na ciężki stan pacjenta.

Jednak by było to możliwe, konieczne jest wprowadzenie odpowiednich narzędzi. Pierwsze z nich to programy lekowe, których liczba w ambulatoryjnej opiece specjalistycznej jest obecnie ograniczona. Drugą kwestią jest diagnostyka. Pierwszy krok – w postaci umożliwienia przeprowadzenia biopsji szpiku w warunkach ambulatoryjnych – został wykonany. Potrzebujemy jednak kolejnych świadczeń diagnostycznych, takich jak np. rozliczenie badań genetycznych, czy rozliczenie badań immunofenotypowych, które obecnie są ściśle związane z hospitalizacją.

Musimy pamiętać, że diagnostyka chorób hematologicznych nie wymaga skomplikowanych procedur chirurgicznych związanych z poborem tkanek czy wycinków, ale jest realizowana na podstawie badania krwi lub szpiku.

Konkludując, nowoczesną diagnostykę chorób hematologicznych oraz nowoczesne leczenie jesteśmy w stanie przesunąć do ambulatoryjnej opieki specjalistycznej, ale niezbędne jest wprowadzenie odpowiednich produktów rozliczeniowych.

Innym istotnym dla hematologii obszarem powinna stać się medycyna rodzinna, która w Polsce powraca do roli głównego filaru systemu ochrony zdrowia. Jest to istotne z punktu widzenia przesuwania pacjentów ze szpitali do ambulatoryjnej opieki specjalistycznej, a dalej do POZ. Dlatego ważna jest dobra komunikacja pomiędzy poszczególnymi poziomami opieki. Oczywiście pewną praktyką stało się to, że pacjent trafiający do gabinetu lekarza specjalisty w obszarze hematologii pozostawał pod jego opieką. W praktyce jednak dzieje się to zarówno w przypadku ciężkich schorzeń, jak również prostych chorób, np. niedoborów żelaza, które z powodzeniem mogą być leczone przez lekarza rodzinnego. To pokazuje, że przepływ pacjentów powinien odbywać się w każdą ze stron.

Mam świadomość, że obecnie wdrażany model opieki koordynowanej nie jest dopasowany do realiów onkologii i hematologii, natomiast sama koncepcja jest niezwykle cenna i dobra – zarówno dla pacjentów, jak i kadr medycznych oraz samego systemu ochrony zdrowia. Warto sięgnąć do doświadczeń z Wielkiej Brytanii i tego, jak opieka nad pacjentami z chorobami hematologicznymi wygląda w tamtejszym systemie ochrony zdrowia. Dobrym przykładem są chorzy z przewlekłą białaczką limfocytową, którzy w Wielkiej Brytanii otrzymują w ramach ambulatoryjnej opieki dwie porady. Na pierwszej wizycie przeprowadzane jest oznaczenie fenotypu, na drugiej wykonywany jest panel badań genetycznych. Na tej podstawie oceniane jest to, czy lekarz ma do czynienia z chorobą bardzo niskiego ryzyka.

W przypadku systemu brytyjskiego badania genetyczne zostały włączone do systemu nie po to, aby włączyć pacjenta do programu lekowego, ale po to, by zarówno lekarz, jak i pacjent otrzymali informację rokowniczą. Pacjent z delecją 13q (del(13q) i zmutowanym statusem genów IgVH najprawdopodobniej nigdy nie będzie wymagał leczenia. Taki pacjent w systemie brytyjskim po dwóch konsultacjach wraca do lekarza rodzinnego i ma proponowaną kontrolę w postaci badania morfologicznego raz do roku. Jeśli w tym czasie rozwinąłby objawy według określonej listy, wówczas wróciłby do lekarza hematologa.

Patrząc koncepcyjnie na przyszłość systemu ochrony zdrowia, to wprowadzenie takiego rozwiązania mogłoby udrożnić system opieki hematologicznej i zapewnić przepływ pacjentów pomiędzy poszczególnymi poziomami opieki.

Współpraca lekarzy rodzinnych, diagnostów i innych specjalistów



Tomasz Zieliński, specjalista medycyny rodzinnej, współwłaściciel poradni POZ, wiceprezes Federacji Związków Pracodawców Ochrony Zdrowia Porozumienie Zielonogórskie, prezes Lubelskiego Związku Lekarzy Rodzinnych-Pracodawców

We wdrażanym modelu opieki koordynowanej w podstawowej opiece zdrowotnej zakres onkologii i hematologii jest trudny do realizacji. Do nowego modelu wybrane zostały schorzenia, które są prowadzone przez lekarza rodzinnego. W przyjętym rozwiązaniu lekarz rodzinny jest głównym lekarzem prowadzącym dla pacjenta z cukrzycą, nadciśnieniem i innymi przewlekłymi schorzeniami, a wsparcia udziela mu konsultant – specjalista w danej dziedzinie (kardiolog, diabetolog etc.).

Od pewnego czasu terminem opieka koordynowana chcemy natomiast określić nowoczesną formę organizacji opieki nad pacjentem. W przypadku pacjentów ze schorzeniami hematologicznymi ta nowa jakość opieki w podstawowej opiece zdrowotnej jest zasadna i mogłaby zostać zrealizowana np. u pacjentów, u których wynik badania morfologicznego krwi wskazuje na nieprawidłowości, a lekarz rodzinny ma wątpliwości dotyczące dalszej ścieżki pacjenta. Prosty kanał komunikacji między lekarzem rodzinnym a lekarzem hematologiem ułatwiłby szybką konsultację i uzyskanie informacji, jakie dodatkowe badania wykonać, tak by dalsza ścieżka pacjenta była prostsza. W podstawowej opiece zdrowotnej lekarze zajmują się wieloma schorzeniami i w związku z tym często nie jesteśmy w stanie śledzić wszystkich najnowszych doniesień naukowych. Hematologia to dziedzina dynamicznie rozwijająca się, dlatego możliwość przeprowadzenia konsultacji i ewentualnego wsparcia ze strony hematologa byłaby nieoceniona.

Aby taka koordynacja mogła się wydarzyć, warto byłoby się również zastanowić nad tym, jak zorganizować system. Dotychczasowe doświadczenia z wdrażaniem systemowej opieki koordynowanej w chorobach przewlekłych pokazują, że jednym z głównych wyzwań jest dostępność specjalistów. W efekcie po 1,5 roku w tak przygotowany model weszło nieco ponad 30 proc. świadczeniodawców.

W przypadku hematologii wydaje się, że proces można byłoby odwrócić – to poradnie hematologiczne mogłyby pokazywać lekarzom rodzinnym swoją dostępność i to lekarze rodzinni decydowaliby o skorzystaniu z konsultacji z hematologiem. Organizacja ścieżki pacjentów powinna być systemowo przygotowana, a świadczeniodawcy AOS podpisując umowy z NFZ, powinni mieć zawarte w kontrakcie krótkie konsultacje z POZ. To rozwiązanie nie służyłoby omijaniu kolejek do AOS, ale pozwalałoby rozróżniać ścieżki pacjentów na tych, którzy powinni możliwie szybko trafić do opieki specjalistycznej i tych, którzy mogą poczekać, a ich badania mogą zostać powtórzone, czy mogą pozostać pod kontrolą lekarza rodzinnego. Tak szeroko rozumiana koordynacja w chorobach hematologicznych może przynieść korzyści zarówno pacjentom, jak i samemu systemowi.

Porada diagnostyczna ma szansę usprawnić diagnostykę i ocenę leczenia



Dr Karolina Bukowska-Strakova, wiceprezes Krajowej Rady Diagnostów Laboratoryjnych, przewodnicząca Krajowego Związku Zawodowego Pracowników Medycznych Laboratoriów, Zakład Immunologii Klinicznej Collegium Medicum Uniwersytetu Jagiellońskiego

Nie możemy tracić z oczu faktu, że diagnostyci laboratoryjni to naprawdę świetnie wykształcona kadra – zdobywamy wykształcenie w trakcie jednolitych 5-letnich studiów medycznych, a następnie podejmujemy kształcenie specjalizacyjne w 13 dziedzinach medycyny laboratoryjnej, w tym m.in. z laboratoryjnej hematologii medycznej. Jesteśmy wprost kształceni, aby opracowywać algorytmy diagnostyczne oparte o badania laboratoryjne i stanowić wsparcie merytoryczne dla lekarzy oraz proponować właściwą ścieżkę diagnostyczną dla danego pacjenta. Niestety te kompetencje nie są wystarczająco wykorzystywane, szczególnie na poziomie POZ czy AOS (trochę lepiej jest w leczeniu szpitalnym). Jednak już na etapie POZ podstawowe badanie, jakim jest morfologia krwi z rozmazem, jest kluczowym elementem z punktu widzenia wczesnego wykrycia choroby i oceny, czy pacjent wymaga pogłębionej diagnostyki. Diagnosta, w szczególności diagnosta-specjalista, jest świetnie przygotowany, aby decydować o konieczności wykonania dodatkowych badań. Szybka, proaktywna interpretacja wyników badań przez diagnostę w nagłych przypadkach może zminimalizować opóźnienie w diagnostyce, wynikające z czasu oczekiwania pacjenta na wizytę u lekarza/lekarza specjalisty. Przyczyni się to do zmniejszenia kosztów, szybszej diagnozy i poprawy wyników leczenia pacjentów.

Oczywiście w hematologii istotne są nie tylko rutynowe badania laboratoryjne, ale z punktu widzenia wdrażania zaawansowanych, celowanych terapii w leczeniu szpitalnym (a potencjalnie również z poziomu AOS) kluczowe są również zaawansowane badania genetyczne, czy badania immunofenotypowe. Diagnostyci laboratoryjni-specjaliści są istotni zarówno w przypadku pogłębienia diagnostyki hematologicznej, jak również monitorowania pacjenta, w tym oceny mierzalnej choroby resztkowej. Praktycznie w każdym aspekcie hematologii diagnostyka laboratoryjna i praca diagnostów stanowią zasadnicze wsparcie pacjenta i lekarza. Zwiększanie znaczenia diagnostyki

powinno polegać na obligatoryjnym uwzględnieniu jego roli jako członka interprofesjonalnych zespołów diagnostyczno-terapeutycznych.

Jednym z rozwiązań, które mogłyby usprawnić i poprawić jakość opieki nad chorymi, jest porada diagnostyczna – jako odrębne świadczenie udzielane przez diagnostę. O takie rozwiązanie postuluje nasze środowisko wspierane przez Krajową Izbę Diagnostów Laboratoryjnych (KIDL). To świadczenie mogłoby być wykorzystywane na wielu etapach, np. diagnosta mógłby zlecić dodatkowe badanie z tej samej próbki krwi w momencie, gdy zauważyłby niepokojący obraz w zleconym przez lekarza badaniu podstawowym. Ponadto, dozlecenie badań z tej samej próbki i wykonanie badań w jednym pakiecie, jednocześnie, ma zdecydowanie większą wartość kliniczną i decyzyjną dla lekarza. Można również wzorem UK czy ośrodków z USA (jak Mayo Clinic) wdrożyć algorytmy postępowania w laboratorium w przypadku otrzymania konkretnej wartości, przy wskazanym na skierowaniu rozpoznaniu. To oczywiście implikuje właściwe wypełnianie skierowania na badania, poprzez umieszczanie tam istotnych danych klinicznych, czy kodu ICD-10. W tym celu należałoby poprawić rejestr badań (kod LOINC) i wyodrębnić wycenę badań oraz ustalić ścieżki w komunikacji na linii diagnosta-lekarz-pacjent.

Najbardziej palącymi problemami jest to, że diagnostyka laboratoryjna w wielu obszarach nie ma odrębnych produktów rozliczeniowych, przez co nie ma możliwości odrębnego kontraktowania. Nie ma również wymogów kadrowych, przez co płatnik – Narodowy Fundusz Zdrowia (NFZ) – kontraktując świadczenia, nie wie, ile de facto środków przeznacza na diagnostykę, kto te badania wykonuje i interpretuje i jakiej są one jakości.

Jednocześnie, chcąc zapewnić pacjentom opiekę na poziomie AOS, musimy wdrożyć odrębną wycenę badań, szczególnie kosztochłonnych badań specjalistycznych, aby ich koszt nie obciążał rozliczenia samej wizyty. Obecnie praktyka jest taka, że aby rozliczyć badania w ramach AOS, pacjent jest umawiany na kilka wizyt, tak aby badania najkorzystniej rozliczyć. Nie ma to ani uzasadnienia klinicznego, ani ekonomicznego dla samego płatnika, bo finalnie płatnik koszt tych badań pokryje.

Diagnosta powinien się przyczynić do zwiększenia wydajności procesu diagnostycznego, lepszego i szybszego dostępu do dokładnych i odpowiednich badań laboratoryjnych, monitorowania wykorzystania badań laboratoryjnych i prowadzenia badań naukowych nad procesem diagnostycznym. Diagnosta powinien stanowić krytyczne ogniwo pomiędzy badaniami laboratoryjnymi, praktyką kliniczną i polityką opieki zdrowotnej, zapewniając efektywne i właściwe wykorzystanie badań i informacji płynących z badań laboratoryjnych poprzez eliminację zbędnych badań oraz zlecenie badań, które powinny być zostać zleczone, a nie zostały.

Dostęp do opieki i życie pacjentów z chorobą

W okresie od 1 sierpnia do 5 września inicjatorzy raportu Stowarzyszenie Hematoonkologiczni, Fundacja Per Humanus i Fundacja Rzecznicy Zdrowia przeprowadzili internetowe badanie ankietowe poświęcone życiu pacjentów mierzących się z chorobami hematologicznymi oraz nowotworami krwi i układu chłonnego.

Odyseja diagnostyczna

Ankieta przeprowadzona wśród pacjentów chorujących na schorzenia hematologiczne pokazała, że u co trzeciego respondenta czas postawienia prawidłowej diagnozy – od momentu zgłoszenia się do systemu ochrony zdrowia – wynosił ponad dwa lata. Na drugim biegunie była grupa 38,2 proc. ankietowanych chorych, u których czas postawienia właściwej diagnozy był liczony w miesiącach i nie przekroczył pół roku (wykres 1).

Leczenie w oczach pacjentów

Pacjenci dostrzegają również postęp, jaki dokonał się w obszarze leczenia. W ocenie 53,9 proc. ankietowanych leczenie ich choroby jest realizowane z wykorzystaniem najnowszych dostępnych terapii. Niestety nieco gorzej pacjenci oceniają informacje, jakie uzyskują na temat dostępnych, refundowanych terapii. W badaniu 58 proc. respondentów wskazało, że nie otrzymuje informacji o wszystkich dostępnych opcjach terapeutycznych.

Badania kliniczne

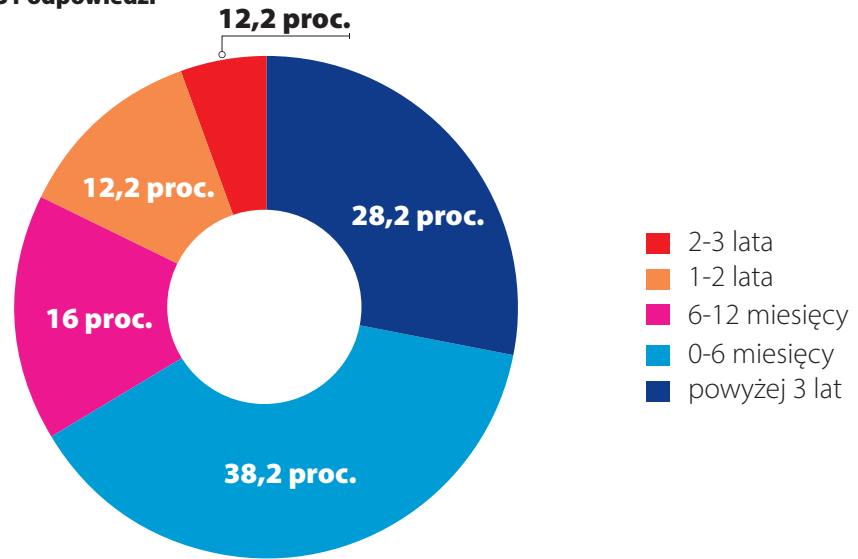
Jedną z możliwości skorzystania z nier refundowanych opcji terapeutycznych są również prowadzone w Polsce oraz za granicą badania kliniczne. W tym obszarze chorzy wskazują jednak na niedostateczną informację, jaką otrzymują od kadry medycznej. W ankiecie 67,2 proc. respondentów wskazało, że lekarze nie informowali ich czym są badania kliniczne, a 72,5 proc. nie uzyskało informacji o toczących się badaniach klinicznych w ich jednostce chorobowej.

Choroba a życie społeczne i zawodowe

W przypadku zdecydowanej większości chorych uczestniczących w badaniu (59,1 proc.) choroba nie zmieniła nic w ich życiu zawodowym, bowiem nadal pracują na pełen etat. Co dziesiąty ankietowany (10,2 proc.) przyznał natomiast,

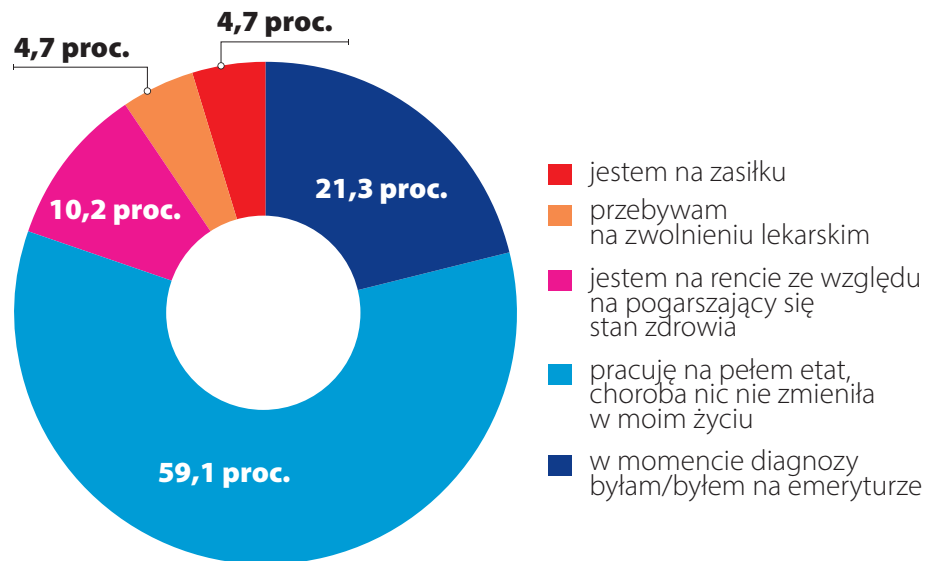
Wykres 1. Ile minęło czasu od momentu zgłoszenia się do systemu ochrony zdrowia z objawami choroby do momentu postawienia prawidłowej diagnozy?

131 odpowiedzi



Wykres 2. Jak choroba wpłynęła na Pani/Pana życie?

127 odpowiedzi



że z uwagi na pogarszający się stan zdrowia musiał przejść na rentę lub też przebywa na zwolnieniu lekarskim (4,7 proc.). 21,3 proc. ankietowanych o swojej chorobie dowiedziało się, pobierając świadczenie emerytalne. 28 proc. ankietowanych posiada jednocześnie orzeczenie o niepełnosprawności (wykres 2).

Wyzwania dla pacjentów hematologicznych

Jednym z głównych wyzwań dla pacjentów uczestniczących w badaniu była konieczność sfinansowania ze środków prywatnych dojazdu do ośrodka, w którym byli leczeni. Na problem ten wskazywał co drugi respondent. Równie

istotnym obciążeniem dla domowych budżetów była konieczność skorzystania z prywatnych konsultacji lekarskich (48,4 proc.), a także konieczność sfinansowania dodatkowych leków (47,7 proc.) oraz suplementów diety (35,2 proc.). Blisko 11 proc. ankietowanych dodatkowo musiało ponosić koszty rehabilitacji i fizjoterapii (wykres 3).

Pacjenci hematologiczni a ich komfort psychiczny

Jednym z wyzwań dla chorych na choroby hematologiczne i hematoonkologiczne jest ogromny stres związany z diagnozą, ale również terapią. A jednym z narzędzi pozwalających na ocenę „temperatury” psychiki chorego jest termometr dystresu – darmowe narzędzie opracowane przez National Comprehensive Cancer Network (NCCN), którego celem jest ułatwienie rozmowy z chorym, a także szybsze reagowanie na psychiczny dyskomfort chorego. W wersji 2.2022 termometru dystresu oceniane są problemy pacjentów w pięciu obszarach, do których należą:

- Obawy fizyczne (m.in. kwestia snu, bólu, zmęczenia, utraty lub zmiany zdolności fizycznych, czy zdrowia seksualnego).
- Obawy o charakterze emocjonalnym (m.in. strach, samotność, złość, smutek lub depresja).
- Obawy o charakterze społecznym (m.in. relacje z małżonkiem lub partnerem, z dziećmi, przyjaciółmi).
- Obawy o charakterze praktycznym (m.in. dbanie o siebie, praca, szkoła, finanse, opieka nad dziećmi).
- Kwestie duchowe lub religijne (m.in. poczucie sensu, konflikt między przekonaniami a terapią nowotworową, stosunek do sacrum).

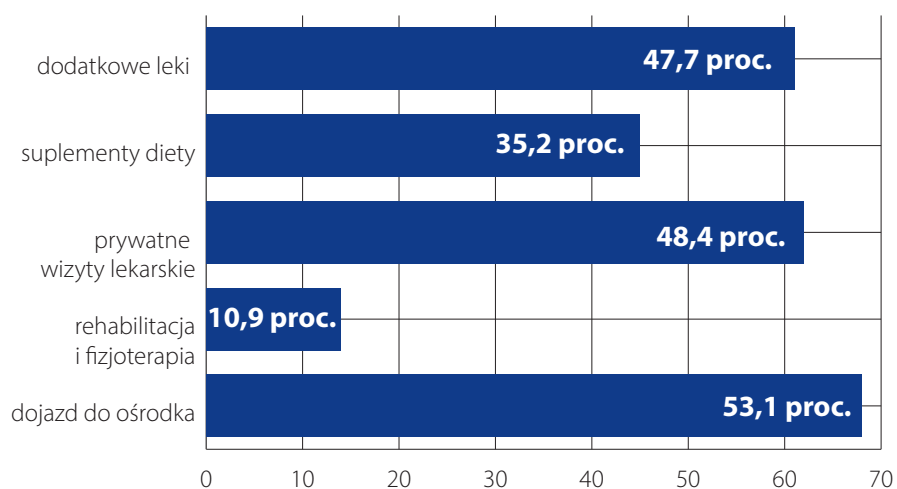
W praktyce okazuje się jednak, że 96,9 proc. ankietowanych nie wiedziało, czym jest badanie termometrem dystresu, a 98,5 proc. nigdy nie miało do czynienia z tego typu badaniem w gabinecie lekarza. Zdecydowana większość ankietowanych (85,5 proc.) nie otrzymała w gabinecie lekarskim propozycji skorzystania ze wsparcia psychologicznego.

Pacjent w chorobie – gdzie szuka informacji i wsparcia

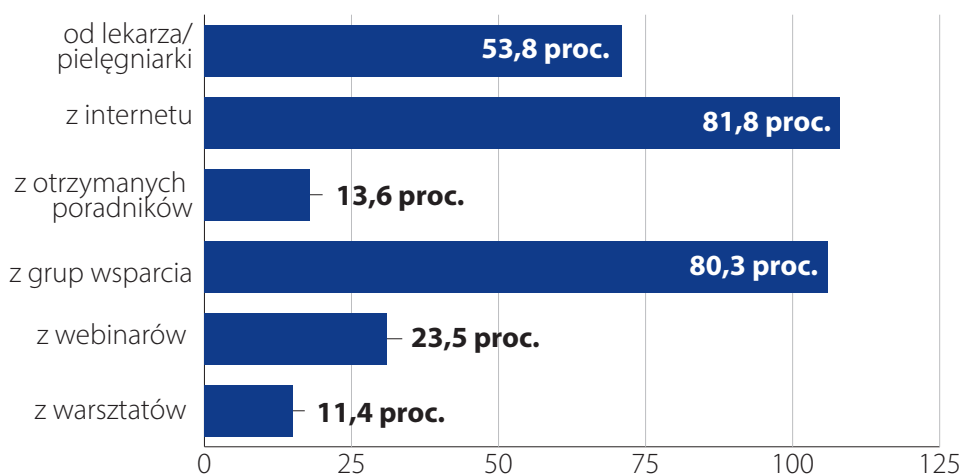
W ankiecie zapytaliśmy również o to, skąd pacjenci czerpią wiedzę na temat swojej choroby. Zdecydowana większość wiedzę o zdiagnozowanej chorobie czerpie z materiałów dostępnych w Internecie (81,8 proc.) oraz uczestnicząc w grupach wsparcia działających w mediach społecznościowych (80,3 proc.). Kadra medyczna – lekarze oraz pielęgniarki – byli źródłem wiedzy na temat choroby dla co drugiego ankietowanego (53,8 proc.). Uczestniczący w badaniu pacjenci wskazali również na edukacyjny wymiar webinarów z eksperta-

mi (23,5 proc.), a także poradników edukacyjnych otrzymanych w placówkach medycznych (13,6 proc.) oraz warsztatów edukacyjnych organizowanych przez organizację pacjenckie (11,4 proc., wykres 4).

Wykres 3. Wydatki związane z moją chorobą, które obciążają mój budżet to:
128 odpowiedzi



Wykres 4. Skąd czerpie Pani/Pan wiedzę na temat swojej choroby?
132 odpowiedzi



ŻYCIE Z CHOROBAŁ HEMATOLOGICZNAŁ - OPINIE PACJENTÓW

Jakiego innego, dodatkowego wsparcia (poza tym oferowanym przez kadrę medyczną i organizacje pozarządowe) oczekiwałby Pan/ oczekiwałaby Pani w związku ze swoją chorobą?

- ▶ „Oczekiwałbym procedury orzeczenia o niepełnosprawności, która nie uwłacza człowiekowi choremu, stara się pomóc i zabezpieczyć go”.
- ▶ „Koordynacja leczenia wielonarządowych powikłań po przeszczepie (aby prowadził mnie zespół, żebym nie musiała na własną rękę leczyć się u różnych specjalistów, ale żeby opieka była skoordynowana). Wsparcia w organizacji częstych dojazdów do ośrodka transplantacyjnego, zapewnienia przez szpital niedrogiego hostelu, możliwości wykonywania części badań poza ośrodkiem transplantacyjnym, w najbliższym szpitalu NFZ. Uwzględnienia w procesie wieloletniego leczenia życia prywatnego pacjenta...”.
- ▶ „Kadrze medycznej brakuje czasu na to, by wyposażyć pacjenta w wiedzę... Dobrze by było, gdyby istniała „państwowa” baza danych, miejsce, gdzie pacjent otrzymałby rzetelne informacje na temat choroby, leczenia, możliwości terapii czy otrzymania leku, który nie jest podawany w placówce medycznej, w której się leczę...”.
- ▶ „Szybszego dostępu do wizyt u lekarzy specjalistów, z konsultacji których muszę korzystać w związku ze skutkami ubocznymi leczenia podstawowego. Zazwyczaj muszę decydować się na kosztowne wizyty prywatne”.

- ▶ „Pacjenci potrzebują stałego, bezpłatnego wsparcia psychologicznego dla chorujących onkologicznie”.
- ▶ „Pacjenci w momencie postawienia diagnozy powinni być kierowani do psychologa chociaż na kilka wizyt. Niestety często jest tak, że nawet rodzina nie umie pomóc...”.
- ▶ „Wsparcie psychologiczne byłoby pożądane, ponieważ po diagnozie byłam w fatalnym stanie psychicznym. Głównie przez stany lękowe. Kadra medyczna wiedziała o tym, jednak w szpitalu nie odwiedził mnie żaden psycholog ani nie dostałam do niego skierowania”.
- ▶ „Możliwość uzyskania szybszej wizyty u lekarza innej specjalności, niezbędnej w związku z innymi problemami zdrowotnymi jako skutkami leczenia choroby podstawowej. Uzyskanie wizyty u lekarza rodzinnego w tym samym dniu, w którym zgłaszamy się o niezbędną poradę lekarską, co nie zawsze jest możliwe w przychodniach”.
- ▶ „Z moich doświadczeń wynika, że brakuje kompleksowego podejścia do chorego. Kiedy w wyniku brania leków na nadpłytkowość pojawiły się u mnie skrajne świady, a potem jeszcze depresja, wówczas jeździłam na prywatne wizyty do poszczególnych specjalistów, aby sobie pomóc. To grupa [w mediach społecznościowych – przyp. red.] udzielała mi wsparcia i podpowiadała, co robić. Lekarze hematolodzy są przepracowani. W nagłej sytuacji, kiedy coś się dzieje, nie ma możliwości, aby się ich poradzić. Tego właśnie też brakuje – dostępności, kiedy nagle pojawiają się powikłania leczenia podstawowego”.

System ochrony zdrowia oczami pacjentów



Katarzyna Lisowska, przedstawicielka Stowarzyszenia Hematoonkologiczni, prezeska Fundacji Per Humanus

W naszej ankiecie zdecydowaną większość odpowiadających stanowiły kobiety, to prawie 80 proc. osób. Dla większości pacjentów to mąż, żona, partner, partnerka jest największym wsparciem w chorobie. Na drugim miejscu są grupy wsparcia, które od lat wspierają pacjentów w konkretnych jednostkach chorobowych. Na pomoc w tym trudnym czasie pacjenci mogą liczyć także ze strony dzieci i przyjaciół. Niestety nadal aktywność organizacji pacjentów nie jest wystarczająco dostrzegana przez personel medyczny – ponad 92 proc. pacjentów nie otrzymało żadnej informacji od lekarza i personelu medycznego o organizacjach, które wspierają pacjentów. Szkoda, bo organizacje pacjentów wydają poradniki edukacyjne, organizują webinary z ekspertami, pacjenci mogą się spotkać i porozmawiać o swojej chorobie podczas warsztatów, otrzymać także wsparcie psychologiczne oraz rzetelną wiedzę na temat swojej choroby.

Kiedy już pacjent znajdzie informacje w Internecie i trafi do grup wsparcia, to zdecydowana większość (ponad 80 proc.) pacjentów czerpie wiedzę na temat swojej choroby właśnie z zamkniętych grup. Pacjenci bardzo cenią sobie wiedzę, którą otrzymują od lekarza i personelu medycznego. Ten kontakt z lekarzem hematologiem jest dla chorych bardzo ważny, ponieważ obecnie większość terapii jest „uszytych na miarę” dla konkretnych mutacji genetycznych, zatem leczenie może być personalizowane dla każdego pacjenta.

Metryczka pokazała, że choroby hematologiczne mogą dotknąć pacjentów w każdym wieku. Chorują zarówno osoby młode, jak również seniorzy powyżej 70. roku życia. Dlatego w przypadku pacjentów tak ważna jest refundacja nowoczesnych molekuł, pozwalających chorym pozostać na rynku pracy.

O ile w ostatnich latach doszło do istotnej poprawy w dostępie do nowych terapii hematologicznych i hematoonkologicznych, to nadal jednym z największych wyzwań dla pacjentów leczonych w ośrodkach referencyjnych jest konieczność dotarcia do placówki oddalonej od miejsca zamieszkania. Przyczyn tego stanu upatrywać należy w wykluczeniu transportowym. Dlatego nie dziwi nas, że w an-

kiecie ponad 53 proc. pacjentów wskazało, że jednym z istotnych obciążeń dla domowego budżetu jest konieczność ponoszenia kosztów związanych z dojazdem do ośrodka. Co dziesiąty zapytany ze swoich prywatnych środków płaci za dodatkową rehabilitację i fizjoterapię. Ten obszar wymaga naszym zdaniem zmian, bo od lat nic się na lepsze nie zmieniło.

Nasza ankieta wyraźnie pokazała, że obszarem, o którym pacjenci mają nadal zbyt małą wiedzę, jest kwestia orzeczenia o niepełnosprawności – warunków jego uzyskania, kwalifikacji etc. W przypadku ankietowanych tylko 28 proc. posiadało takowe. Dlatego w tym obszarze upatrywałabym konieczności większej aktywności organizacji pozarządowych i działań edukacyjnych ze strony instytucji państwowych.

Raport „Hematologia – nowe otwarcie” pokazuje, jak wiele przez ostatnie lata zmieniło się w polskiej hematologii. Postęp w medycynie sprawił, że część chorób hematologicznych stała się chorobami przewlekłymi. Świadczy o tym również grupa pacjentów biorących udział w badaniu – 39,4 proc. pacjentów leczy się od 1 roku do 5 lat, 23,5 proc. pacjentów od 5 do 10 lat, a 18,9 proc. ankietowanych leczy się powyżej 10 lat.

Wyniki ankiety wyraźnie wskazują na potrzebę zmiany w organizacji systemu ochrony zdrowia w obszarze szybszego wykrywania choroby. Ponad 28 proc. ankietowanych na właściwą diagnozę swojego stanu zdrowia czekało powyżej trzech lat. Musimy pamiętać, że brak diagnozy oznacza brak dostępnego leczenia. Często pacjenci w chwili rozpoznania są już w bardzo zaawansowanym stadium choroby. Pocieszającym jest jednak to, że 38,2 proc. ankietowanych na diagnozę czekało do 6 miesięcy. Pokazuje to potrzebę szerszej edukacji lekarzy rodzinnych, samych pacjentów i ich bliskich.

Warto również zwrócić uwagę, że badanie wskazuje na ogromny sukces organizacji pozarządowych, które działają na rzecz chorych. To właśnie organizacje pozarządowe stanowią dla pacjentów ogromne wsparcie – organizują dni profilaktyki, kampanie edukacyjne, spotkania z ekspertami, tworzą poradniki, są do dyspozycji pacjentów i ich bliskich, prowadzą grupy wsparcia, a także organizują pacjentom wsparcie psychologiczne, którego w systemie ochrony zdrowia brakuje. Często to właśnie organizacje pacjentów, dysponując doświadczeniem swoim oraz swoich podopiecznych, najlepiej znają potrzeby chorych i są w stanie przygotować materiały edukacyjne dopasowane do danej choroby.

Z ankiety wynika, że 89,4 proc. respondentów nie otrzymało podczas wizyty w ośrodku leczenia żadnych materiałów edukacyjnych dedykowanych ich chorobie. To jednak już się zmienia. Szpitale i przychodnie przyszpitalne coraz częściej nawiązują współpracę z organizacjami pacjenckimi, pozwalając im przekazywać takie materiały pacjentom leczonym w ośrodku.

Codziennosc i potrzeby pacjentów z chorobami hematologicznymi



Monika Skóra, lat 46, współzałożycielka Stowarzyszenia Hematoonkologiczni, Olsztyn

Z mielofibrozą żyję już dziesięć lat. Wszystko zaczęło się w 2014 roku, kiedy pojawiły się pierwsze objawy. Już wówczas podejrzewałam u siebie chorobę, ale nie miałam postawionej diagnozy. Pierwsze symptomy skłaniały mnie do podejrzewania u siebie alergii, dodatkowo mierzyłam się z dużymi bólami kości. Będąc osobą, która nie spożywa mięsa, miałam jednak w zwyczaju wykonywanie co roku badania morfologicznego krwi. W pewnym momencie zaczęłam zauważać pewne nieprawidłowości, które zaczęły mnie niepokoić i swoim uporem przekonałam lekarza rodzinnego, że potrzebuję konsultacji z lekarzem hematologiem. Szukając informacji o stwierdzonych nieprawidłowościach w badaniu morfologicznym krwi, trafiłam na stronę internetową Instytutu Hematologii i Transfuzjologii. Analizując zawarte tam informacje, doszłam do wniosku, że mogę mierzyć się z poważną chorobą hematologiczną. Wówczas byłam już przekonana, że wymagać będę bardziej szczegółowych badań, których prywatnie nie będę w stanie wykonać.

Na wizytę w poradni hematologicznej czekałam blisko 9 miesięcy. Ostatecznie trafiłam jednak do bardzo zaangażowanej hematolog, która po dwóch miesiącach pogłębionej diagnostyki postawiła diagnozę mielofibrozy. Byłam zaskoczona, gdyż przeprowadzając „autodiagnozę”, byłam przekonana, że choroba, z którą się mierzę, to nadpłytkowość. Tak wyglądał początek mojej choroby.

Wsparcie ze strony kadr medycznych

Słyszac diagnozę choroby nowotworowej, byłam zaskoczona, ale to, w jaki sposób zajmowała się mną przez dwa miesiące lekarz hematolog sprawiło, że nie potrzebowałam wsparcia psychologa. Pani doktor, omawiając ze mną

poszczególne wyniki badań i kolejne kroki na ścieżce diagnostyczno-terapeutycznej, stworzyła atmosferę, która napawała mnie nadzieją. Dzięki jasno nakreślonemu planowi pokazującemu każdy kolejny etap na drodze do zdrowia i życia wiedziałam, którędy będziemy wspólnie podążać. Dzięki empatii i postawie pani doktor, która dawała mi poczucie „zaopiekowania”, w sposób dość naturalny przeszłam do porządku dziennego nad moją chorobą.

Moje życie z chorobą

Jednym z największych wyzwań i dolegliwości, z jakimi musiałam mierzyć się od początku swojej choroby, były bóle kości. Próbując różnych rozwiązań, pytając na grupach wsparcia i radząc się innych chorych, doszłam jednak do momentu, w którym wiem, co może być przyczyną wzmagających się objawów bólowych. Szybko okazało się, że z diety wegetariańskiej musiałam przejść na dietę wegańską, eliminując z diety wszelkie produkty mleczne.

Niestety problemy pojawiły się u mnie również podczas leczenia. W jego trakcie źle reagowałam na leki, pojawiły się u mnie działania niepożądane, m.in. zakrzepica, przez którą musiałam zrezygnować z biegania. Muszę przyznać, że było to dla mnie trudne doświadczenie, bo bieganie było dla mnie niezwykle ważne. Niestety wraz z postępem choroby zostałam poproszona przez lekarzy o rezygnację z tej aktywności.

Muszę również podkreślić, że trafiłam na lekarzy, którzy traktowali mnie, i nadal traktują, po partnersku. Od początku wiedziałam, jak będzie przebiegać leczenie i to wpłynęło również na moje nastawienie do niego. Chciałabym w tym miejscu zaapelować do pacjentów, aby na wizyty szli ze swoimi bliskimi i przygotowywali sobie pytania, które zadadzą lekarzowi. Oczywiście dobrze, żeby pacjenci poszerzali swoją wiedzę o chorobie, natomiast mam świadomość, że nie zastąpi to wiedzy, jaką posiada lekarz.

Moje doświadczenia oraz doświadczenia osób, które szukają wsparcia na prowadzonych przez Stowarzyszenie Hematoonkologiczni grupach wsparcia, pokazują, że pacjenci w Polsce muszą być dobrymi menedżerami swojej choroby. Muszą znać nie tylko jej specyfikę, ale również śledzić informacje o nowych terapiach i starać się na bieżąco aktualizować wiedzę o swojej chorobie. Jest to szczególnie ważne z uwagi na system, w którym lekarze są przeciążeni administracją i często czas, jaki mogliby poświęcić choremu, jest pożerany przez obowiązki biurokratyczne związane np. z obsługą programów lekowych.

Choroba to dodatkowe obciążenie dla domowego budżetu

Dla wielu pacjentów poważnym wyzwaniem – obok konieczności dotarcia do placówki, gdzie otrzymują leczenie – są dodatkowe obciążenia w postaci np.

konieczności finansowania sobie wizyt u innych specjalistów, zakupu dodatkowych leków, które mogą nie być refundowane, a także wykonywania dodatkowych badań. Przykładem może być sytuacja, jakiej doświadczyłam w trakcie terapii, kiedy w wyniku leczenia wystąpiło u mnie działanie niepożądane w postaci zakrzepicy. Niestety refundowany lek nie zadziałał i dopiero terapia lekiem pełnopłatnym przyniosła efekty.

Często ograniczając podróże do ośrodków prowadzących terapię, pacjenci decydują się na wykonywanie kontrolnych badań (morfologii czy badań obrazowych) w pobliżu miejsca zamieszkania, przez co muszą je realizować na własny koszt. W przypadku mielofibrozy wiemy, że bez przeszczepu szpiku, na który nie każdy pacjent się decyduje, leczenie będzie musiało być prowadzone do końca życia.

Choroba nauczyła mnie jednej rzeczy: nie planować. Brać z życia, co tu i teraz, i nie zakładać. Dziś już nie biegam - została mi tylko joga i aż joga, ale cieszę się tym. Nie jestem sprawna jak dawniej, ale staram się, choć mam ograniczenia (rosnąca śledziona nie pomaga, poty nie pomagają, wysiłek bardziej męczy, organizm wolniej się regeneruje). Joga uczy dystansu do siebie. Pozwala mi odganiać złe emocje. Dzięki niej znajduję wyciszenie, spokój i siłę do życia, z którego staram się brać tyle, ile mogę, bez pretensji, i tyle, ile będę mogła. Nie walczę ze sobą. Najważniejsze to znaleźć to, co jest dobre dla ciebie w danej chwili i się temu poddać. Nie zakładać i nie planować - wtedy nie przyjdzie rozczarowanie. Znaleźć pozytywne strony, nawet w najtrudniejszej sytuacji. I jeszcze jedno - warto podzielić swój problem na pół i dzielić z kimś swoje troski.



Chłoniaki – epidemiologia, diagnostyka, leczenie



Dr hab. Tomasz Wróbel, kierownik Kliniki Hematologii, Nowotworów Krwi i Transplantacji Szpiku Uniwersyteckiego Szpitala Klinicznego im. Jana Mikulicza-Radeckiego we Wrocławiu

Nowotwory układu chłonnego stanowią około 2-3 proc. wszystkich nowotworów, co sprawia, że mówimy o kilku tysiącach ludzi w Polsce, którzy chorują na różne typy chłoniaków. To, co jest wyzwaniem, to istnienie wielu podtypów nowotworów hematologicznych, co komplikuje ich klasyfikację. Niestety to sprawia, że nie mamy w Polsce dobrych danych epidemiologicznych. Szacuje się, że na chłoniaka rozlanego z dużych limfocytów B, czyli najczęstszy nowotwór agresywny układu chłonnego, co roku zapada około 1500 pacjentów. Z drugiej strony stosowanie klasyfikacji ICD-10 sprawia, że nowotwory hematologiczne wydają się rzadkie. W przypadku chłoniaków każdy ich podtyp spełnia kryteria choroby rzadkiej. Jeśli jednak zagregujemy te dane i włączymy wszystkie podtypy nowotworów do jednej grupy nowotworów układu krwiotwórczego (chłoniaki, białaczki, zespoły mielodysplastyczne itd.), wówczas stanowią one nawet 11 proc. wszystkich nowotworów. To pokazuje, że nowotwory krwi nie są tak rzadkie w Polsce i stanowią istotny problem i wyzwanie dla systemu i środowiska klinicystów.

Układ chłonny składa się z systemu węzłów chłonnych zlokalizowanych w różnych miejscach i towarzyszących wielu naszym organom, a także z tkanki chłonnej zlokalizowanej np. w migdałkach, jelitach. Stąd też chłoniaki mogą zajmować każdy narząd. Najczęstszym objawem jest niebolesne powiększenie węzłów chłonnych w różnych lokalizacjach – na szyi, w pachwinie, pod pachą, w klatce piersiowej, czy w jamie brzusznej. Niestety dość często zdarza się, że to powiększenie węzłów chłonnych przebiega bez żadnych innych dodatkowych objawów. U około jednej trzeciej pacjentów może dojść do wystąpienia tzw. objawów systemowych. To mogą być gorączki o niewyjaśnionej przyczynie, nocne zlewne poty, utrata masy ciała. W przypadku chłoniaka Hodgkina dodatkowo może być to świąd skóry – uporczywy, o niejasnym mechanizmie i trudny do złagodzenia. Oczywiście to nie jedyne objawy. W przypadku, gdy

dojdzie do nacieków na jelitach np. w chłoniaku żołądka, wówczas możemy mieć do czynienia z krwawieniami do układu pokarmowego, perforacji. W przypadku chłoniaka usytuowanego w śródpiersiu może dochodzić do duszności, czy powikłań zakrzepowych.

W klasyfikacji dzielimy chłoniaki na ziarnicze (chłoniak Hodgkina) oraz chłoniaki niezziarnicze. Chłoniak Hodgkina to relatywnie rzadki typ chłoniaka – w Polsce notujemy około kilkuset zachorowań rocznie. Ten typ nowotworu dotyka w głównej mierze osoby młode i co istotne, dobrze się leczy – szacunki dla Polski wskazują, że ponad 80 proc. pacjentów można wyleczyć.

W przypadku drugiej, liczniejszej grupy – chłoniaków niezziarniczych mamy do czynienia z wieloma podtypami histologicznymi, które z klinicznego punktu widzenia dzielimy na dwa główne podtypy: chłoniaki agresywne oraz indolentne, czy inaczej mówiąc – przewlekłe.

W przypadku chłoniaków agresywnych choroba ma dynamiczny przebieg: rozwija się w ciągu tygodni lub miesięcy i nieleczona prowadzi nieuchronnie do śmierci. U takich pacjentów konieczne jest jak najszybsze postawienie rozpoznania oraz wdrożenie właściwego leczenia. Warto również podkreślić, że agresywny przebieg nie oznacza, że takie chłoniaki źle rokują. Jeśli diagnostyka jest odpowiednio szybka to większość pacjentów można skutecznie i efektywnie wyleczyć. Celem klinicznym jest więc uzyskanie całkowitej remisji i wyleczenia chorego.

Natomiast chłoniaki indolentne charakteryzują się bardzo powolnym rozwojem, przez co w większości przypadków rozpoznawane są w stadiach zaawansowanych. W stadium zaawansowanym ten typ nowotworu nie jest wyleczalny, ale nie jest to jednoznaczne z tym, że chory umrze. Strategia leczenia tego typu nowotworu nie zawsze zakłada podanie pacjentowi leków przeciwnowotworowych od razu. Jeśli dynamika choroby jest niska, nie ma ona takich cech aktywności jak np. anemia, czy zagrażające życiu naciekanie na narządy, to często taki pacjent na początku nie jest leczony, lecz znajduje się w obserwacji. Ta strategia nazywana jest watch & wait i polega na tym, że terapia wdrażana jest dopiero w momencie, kiedy u pacjenta dochodzi do progresji choroby. W przypadku pacjentów z chłoniakami indolentnymi mediana przeżycia wynosi nawet 10-12 lat. Oczywiście jest to pewien poziom uogólnienia, ponieważ również w tej grupie pojawiają się wyjątki od reguły. W przypadku chłoniaków indolentnych szybkie wdrożenie terapii nie jest dla nas priorytetem, ale wdrażając terapię, również dążymy do uzyskania całkowitej remisji, mając jednocześnie świadomość, że ta choroba ma tendencję do nawrotów. W związku z tym pacjent w trakcie swojej choroby może wymagać kilku czy nawet kilkunastu linii terapii i jednocześnie będzie potrzebował stałego monitoringu swojej choroby.

Trudno jest mówić o profilaktyce chłoniaków, natomiast czujność lekarzy rodzinnych powinna dotyczyć najczęstszego objawu, jakim jest powiększenie



FOT. ADOBE STOCK

węzłów chłonnych. Na pewno wskazane są okresowe badania kontrolne. Jeśli pacjent regularnie wykonuje badania morfologiczne, to również powinien być poddawany badaniu przedmiotowemu i ocenie węzłów chłonnych. Chciałbym w tym miejscu również podkreślić, że chłoniaki nie muszą dawać nieprawidłowości w badaniu morfologicznym, co wiąże się bezpośrednio z faktem, że są to przede wszystkim nowotwory układu chłonnego i węzłów chłonnych, gdzie zajęcie szpiku kostnego i krwi występuje relatywnie rzadko. Można więc mieć prawidłowe wyniki badania krwi i jednocześnie zmagać się z chłoniakiem.

Postępowanie diagnostyczne

W przypadku stwierdzenia powiększonych węzłów chłonnych i przy podejrzeniu choroby nowotworowej u pacjenta powinniśmy pobrać materiał do badania histopatologicznego w celu potwierdzenia rozpoznania i oceny podtypu chłoniaka. Samo badanie histopatologiczne to jednak nie wszystko, by móc postawić diagnozę. Lekarze histopatolodzy posiłkują się obecnie badaniami genetycznymi, molekularnymi, czy badaniami cytometrycznymi po to, by określić podtyp chłoniaka. Oznaczenie to jest kluczowe, gdyż warunkuje skuteczne leczenie z wykorzystaniem właściwej dla danego nowotworu terapii celowanej, ukierunkowanej na dany typ chłoniaka.

Mając określone rozpoznanie, musimy przejść do oznaczenia stadium zaawansowania choroby. W większości chłoniaków kluczowym w tym wypadku jest badanie PET-CT, które pozwala nam ocenić stan zaawansowania choroby. Jeśli u pacjenta stwierdzimy powiększony węzeł chłonny na szyi, to nie ozna-

cza to, że nie będzie miał niedających objawów powiększonych węzłów np. w jamie brzusznej. Określając na podstawie badania PET-CT stadia kliniczne chłoniaka, dzielimy je odpowiednio na I, II, III i IV, gdzie I i II to stadia wczesne choroby, a III i IV to stadia zaawansowane. Umowną granicą jest przepona. W momencie, gdy choroba dotyka jedną grupę węzłów chłonnych, mówimy wówczas o stadium I. Jeśli mamy więcej niż jedną grupę węzłów chłonnych zajętych przez chorobę, ale znajdują się one po tej samej stronie przepony, wówczas mówimy o stadium II choroby. Gdy do zajęcia węzłów chłonnych doszło po obu stronach przepony, wówczas mamy do czynienia ze stadium III, natomiast gdy u pacjenta stwierdzamy dodatkowo nacieki na narządach – IV stadium. Stadium choroby to element warunkujący dalszą strategię leczenia.

Oczywiście w procesie diagnostycznym wykonujemy szereg innych badań mających pozwolić nam na ocenę kondycji pacjenta, funkcji innych narządów (nerek, serca i innych), co pozwoli nam na ocenę możliwości kwalifikacji chorego do danego leczenia.

Dostępność terapii

Mamy świadomość, że na przestrzeni ostatnich lat nastąpił ogromny postęp w dostępie do terapii. W Polsce jest on dobry lub wręcz bardzo dobry – chorzy w większości przypadków mają możliwość leczenia celowanego z wykorzystaniem innowacyjnych molekuł. W przypadku chłoniaków B-komórkowych wiodącą strategią leczenia jest obecnie immunochemioterapia, czyli leczenie skojarzone z wykorzystaniem leków cytostatycznych i przeciwciał monoklo-



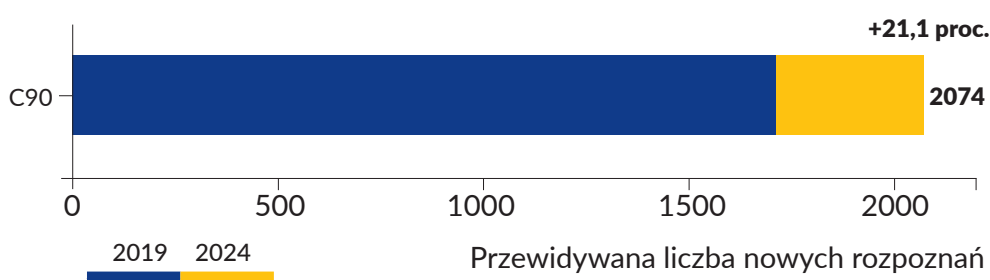
nalnych lub inhibitorów kinaz tyrozynowych. Ta grupa leków pozwala nam na poprawę wyników leczenia. Dodatkowo dysponujemy immunoterapią dla pacjentów opornych lub nawrotowych, mamy także przeciwciała bispecyficzne i terapię CAR-T cells – można więc powiedzieć, że dysponujemy szeroką gamą możliwości terapeutycznych w zależności od podtypu chłoniaka i stanu chorego – czy jest to leczenie pierwszej linii, leczenie choroby nawrotowej, czy odpornej.

Ostatnie wykazy leków refundowanych przyniosły nam zmiany w refundacji terapii w chłoniaku grudkowym. Natomiast nadal brakuje nam możliwości leczenia przeciwciałami bispecyficznymi chorych z chłoniakiem z dużych limfocytów B, czyli najczęstszym agresywnym chłoniakiem z grupy chłoniaków nieziarnicznych*. Nowe leki – glofitamab i epkorytamab – mogliby otrzymać pacjenci nawrotowi i oporni w ramach trzeciej linii leczenia. To terapie relatywnie łatwe w stosowaniu, oczywiście nie są one pozbawione działań niepożądanych, więc początek leczenia wiąże się z koniecznością hospitalizacji. Zazwyczaj jest ona krótka, a dalsze leczenie może odbywać się w ramach AOS, co powinno być brane pod uwagę jako argument za udostępnieniem tych terapii pacjentom. Badania kliniczne i doświadczenia z innych państw, gdzie leki te są stosowane, wskazują na wysoką skuteczność.

Zaletą nowych terapii celowanych jest to, że w większości przypadków są one mniej toksyczne niż klasyczna chemioterapia, są relatywnie łatwe w stosowaniu i można je podać pacjentowi w ramach opieki ambulatoryjnej. Wszędzie tam, gdzie moglibyśmy zaopatrzyć pacjenta w te leki w trybie ambulatoryjnym, byłaby to ogromna korzyść dla systemu, ale również dla samych pacjentów. Należy pamiętać, że nowotwory układu chłonnego przebiegają z deficytem odporności – nasi pacjenci są bardzo narażeni na zakażenia. Intuicyjnie chorzy uważają, że podczas ciężkiej choroby najlepszą opcją jest szpital, natomiast pacjenci z chorobami nowotworowymi układu chłonnego są chorymi podwyższonego ryzyka infekcji i ich pobyt w szpitalu może nie być dla nich optymalny, gdyż zakażenia szpitalne bywają częste i niejednokrotnie trudne w leczeniu. Dlatego, paradoksalnie, pacjentów hematologicznych, którzy mogliby być leczeni poza szpitalnymi oddziałami powinniśmy móc leczyć w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej. To oczywiście wymaga od pacjentów również wsparcia logistycznego (w dojazdach do placówki), ale jednocześnie przekłada się na lepszy komfort psychiczny chorych, którzy pozostają w domach z rodziną.

Szpiczak

Dane zebrane w Krajowym Rejestrze Nowotworów wskazują, że liczba nowo diagnozowanych pacjentów zapadających na szpiczaka (ICD10 - C90) wzrośnie o jedną piątą – do poziomu 2074 nowych rozpoznań w 2024 roku. W Polsce od 2017 roku pacjenci mają dostęp do programu lekowego, do którego w latach 2017-2022 liczba pacjentów zakwalifikowanych wzrosła dwukrotnie – z poziomu 1449 w 2017 roku do poziomu 3401 w 2022 roku. Ponadto, według danych NFZ, w 2023 roku do programu zakwalifikowano 1364 pacjentów (pacjenci, którzy w poprzednim roku nie otrzymali żadnego świadczenia w programie), natomiast od stycznia do maja 2024 roku kolejnych 963 chorych na szpiczaka. Jednocześnie liczba pacjentów chorujących na szpiczaka mnogiego, którym udzielono porady w ambulatoryjnej opiece specjalistycznej (AOS), wyniosła w 2022 roku 8916 osób, w 2023 roku 9437 osób, natomiast od stycznia do maja 2024 roku ze świadczeń udzielanych w AOS skorzystało 6911 chorych na szpiczaka. W przypadku leczenia szpitalnego skorzystało z niego odpowiednio 7830 chorych w 2022 roku, 8560 w 2023 roku, natomiast w okresie od stycznia do maja 2024 roku liczba ta wyniosła 7023.



Źródło: KRN

Stosowanie terapii złożonych wyzwala potencjał molekuł



Prof. dr hab. Krzysztof Giannopoulos, prezes Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów, kierownik Zakładu Hematoonkologii Doświadczalnej Uniwersytetu Medycznego w Lublinie, dyrektor Centrum Wsparcia Badań Klinicznych Uniwersytetu Medycznego w Lublinie

Polska Grupa Szpiczakowa i Polskie Konsorcjum Szpiczakowe wystosowały do Ministra Zdrowia pismo, w którym pytamy o dostępność terapii dla chorych na szpiczaka plazmocytozy, a także wskazujemy na najpilniejsze potrzeby naszej dziedziny. Z jednej strony są to kwestie techniczne – jednym z przykładów może być zmieniona definicja wysokiego ryzyka cytogenetycznego, podczas gdy jej nowe zapisy nie zostały implementowane w programie lekowym, co sprawia, że zapisy programu nie są zgodne z aktualną wiedzą medyczną.

Drugą kwestią jest możliwość stosowania nowych terapii, ale z użyciem leków, które są nam już znane. Mam tu na myśli połączenie daratumumabu, karfilzomibu i deksametazonu w drugiej linii leczenia szpiczaka plazmocytozy. Jest to bardzo ważny schemat dla pacjentów, którzy w pierwszej linii otrzymują lenalidomid, który kontynuujemy dopóki jest on skuteczny, czyli do wytworzenia się oporności na ten lek lub przerywamy terapię ze względu na toksyczność.

Obie sytuacje sprawiają, że lenalidomidu w kolejnych liniach leczenia nie powinniśmy stosować. Z punktu widzenia klinicznego jest to dla nas, lekarzy, trudna sytuacja, ponieważ wyłączając wszystkie schematy terapeutyczne z lenalidomidem, okazuje się, że mimo licznych decyzji refundacyjnych pozostają nam zasadniczo dwie grupy produktów. Pierwszy schemat opiera się o pomalidomid, i mamy tu terapie refundowane, a drugi schemat to terapie, gdzie trzonem jest karfilzomib. Tutaj niestety nie mamy dostępu do optymalnego schematu – szczególnie że już wiele lat temu dowiedziono, iż terapie trójlekowe, czyli tzw. triplety, są bardziej skuteczne niż terapie dwulekowe.

Obecnie w przypadku tripletów możliwe jest wykorzystanie ich, gdy trzonym terapii jest pomalidomid i deksametazon. Natomiast w przypadku stosowania karfilzomibu z deksametazonem nie ma możliwości zastosowania tej terapii lekowej. Dlaczego należy się nad tym pochylić? Ponieważ badanie porównujące skuteczność schematów trójlekowych z pomalidomidem i karfilzomibem w grupie pacjentów opornych na lenalidomid wykazuje prawie dwukrotnie większą skuteczność schematów z karfilzomibem. Z punktu widzenia klinicystów i pacjentów zmagających się ze szpiczakiem plazmocytowym to jest naprawdę bardzo istotna potrzeba. Obecnie w pierwszej linii leczenia szeroka grupa pacjentów – zarówno kwalifikujących się do przeszczepienia szpiku, jak i nie – ma możliwość skorzystania z refundowanego daratumumabu. Jeśli rozwiną oni oporność na lenalidomid i będą po wcześniejszej ekspozycji na daratumumab, to kolejne schematy z daratumumabem będą z pewnością mniej skuteczne. Stąd też pacjenci, którzy teraz otrzymują lenalidomid i nie otrzymywali dotychczas daratumumabu, skorzystaliby najbardziej ze schematu daratumumab – karfilzomib. Ostatnią kwestią jest to, że schematy z daratumumabem i karfilzomibem w innych połączeniach są już dostępne. Dlatego wydaje się, że nie powinno mieć to istotnego wpływu na budżet, ponieważ leki te pacjent może dostać tylko oddzielnie. Niestety ordynując je oddzielnie, nie wykorzystujemy pełnego potencjału innowacyjnych terapii.

Najtrudniejszym tematem jest dla nas leczenie w dalszych liniach. U pacjentów po trzech liniach leczenia zgodnie z zapisami refundacyjnymi mamy dostępność do terapii nieoptymalnych. Optymalnymi terapiami są te oparte o leczenie immunologiczne, CAR-T lub przeciwciała dwuswoiste. W przypadku szpiczaka żaden z podmiotów odpowiedzialnych posiadających w portfolio terapię CAR-T nie rozpoczął procedury refundacyjnej i nie mamy pewności, czy i kiedy terapia ta mogłaby zostać zrefundowana. W przypadku przeciwciał dwuswoistych – trzy są zarejestrowane, a jeden od października znalazł się w obwieszczeniu refundacyjnym i mamy nadzieję, że możliwość stosowania kolejnych przeciwciał dwuswoistych pojawi się w przypadku chorych zmagających się ze szpiczakiem plazmocytowym, szczególnie dla tych chorych, którzy są po trzech liniach leczenia i nie ma dla nich żadnej innej opcji terapeutycznej.

Nowe schematy dopełnią program leczenia szpiczaka



Łukasz Rokicki, prezes, lider ds. badań klinicznych Fundacji Carita im. Wiesławy Adamiec

Na przestrzeni ostatnich siedmiu lat doszło do bardzo dużych zmian w programie lekowym B.54 dedykowanym leczeniu szpiczaka plazmocytoowego. Obecnie mamy więcej niż dziewięć nowych schematów lekowych, co pokazuje, jak duży postęp dokonał się w obszarze leczenia tego nowotworu. Nie możemy jednak spoczywać na laurach. Przed nami kolejne wyzwania, a leczenie pacjentów powinno być nie tylko indywidualne i dostosowane do każdego pacjenta, ale przede wszystkim powinno podążać za trendami i światowymi wytycznymi. Według nich terapie trójlekowe są skuteczniejsze od monoterapii, które były dotychczas dostępne.

Bardzo dobrym przykładem jest stosowanie inhibitora proteasomu – karfilzomibu, który jest dostępny od trzech lat, razem z przeciwciałem monoklonalnym anti-CD38 – daratumumabem, które również jest nam już znane. Zgodnie z najnowszymi wytycznymi, jeśli połączymy dwa leki, czyli inhibitor i przeciwciało monoklonalne, to widzimy, że efektywność i skuteczność leczenia jest o wiele wyższa. To działanie zostało udowodnione w badaniach klinicznych, a ich wyniki wskazują, że czas wolny od progresji jest niemal dwukrotnie dłuższy. Wdrożenie tej formy leczenia stanowi szansę dla pacjentów nawrotowych oraz opornych.

Oczywiście rozwój technologii lekowych w obszarze hematologii jest ogromny i widzimy na horyzoncie terapię CAR-T czy przeciwciała dwuswoiste, ale na nie będziemy musieli jeszcze poczekać. Natomiast tu i teraz oczekivalibyśmy udostępnienia pacjentom możliwości leczenia w schemacie trójlekowym.

TTP – mikroangiopatie zakrzepowe w Polsce

Zakrzepowa plamica małopłytkowa oraz pierwotna małopłytkowość immunologiczna to bardzo rzadkie choroby hematologiczne, w przypadku których tylko właściwie postawiona diagnoza na początku choroby może pacjenta uchronić przed najbardziej poważnymi skutkami obu schorzeń.

Pacjenci, u których pojawiają się pierwsze epizody choroby, to zazwyczaj ludzie młodzi, którzy byli do tej pory aktywni zawodowo i społecznie, często znajdują się w momencie zakładania rodzin i rodzą im się dzieci. Kiedy słyszą diagnozę, w jednej chwili ich życie przewraca się do góry nogami i muszą stawić czoło chorobie, o której wciąż bardzo mało wiemy. Dodatkowo każdy epizod choroby stanowi realne zagrożenie życia.

Współczesne dokonania medycyny sprawiają, że z tymi schorzeniami można żyć, ale cały czas konieczna jest ich kontrola i odpowiednie leczenie, którego celem jest niedopuszczenie do nawrotu. Z tego punktu widzenia ważna jest edukacja ratowników medycznych, lekarzy pracujących na szpitalnych oddziałach ratunkowych oraz lekarzy rodzinnych.

Zakrzepowa plamica małopłytkowa i pierwotna małopłytkowość immunologiczna



Dr Michał Witkowski, Oddział Hematologii Ogólnej
Wielospecjalistycznego Centrum Onkologii i Traumatologii
im. M. Kopernika w Łodzi, prezes Fundacji na Rzecz
Pomocy Chorym na Białaczki

Zakrzepowa plamica małopłytkowa (thrombotic thrombocytopenic purpura, TTP) to choroba ultraradka (zachorowalność 3/mln/rok, chorobowość 10/mln) będąca rodzajem mikroangiopatii zakrzepowej, w której niedobór metyloproteiny ADAMTS-13 prowadzi do spontanicznego tworzenia mikrozakrzepów, małopłytkowości i niedokrwistości. Choroba znacznie częściej występuje jako postać immunologiczna (immune TTP, iTTP) - 95 proc. przypadków, rzadziej jako choroba wrodzona (congenital TTP, cTTP) - 5 proc. przypadków. Pierwsze epizody najczęściej pojawiają się w czwartej dekadzie życia, iTTP występuje 2,5-3,5 razy częściej u kobiet niż u mężczyzn^{1,2}. Cały czas borykamy się ze zbyt małą liczbą rozpoznawanych przypadków, przez co trudno jest określać dane epidemiologiczne. To, czego brakuje, to polski rejestr pacjentów chorujących na małopłytkowość.

Czynniki ryzyka związane z iTTP mogą obejmować szeroką grupę problemów medycznych, m.in. otyłość, obecność wirusa HIV, reumatoidalne zapalenie stawów oraz toczeń rumieniowaty. Choroba może być również indukowana przez niektóre leki. Co ciekawe, wykonane niedawno badania sugerują, że iTTP może być także jednym z potencjalnych skutków ubocznych COVID-19³, co zwiększa znaczenie monitorowania pacjentów zakażonych koronawirusem. Choroba może pojawić się również u osób poddawanych przeszczepowi komórek macierzystych krwi lub przeszczepowi szpiku kostnego.

¹ Coppo P, et al. Res Pract Thromb Haemost. 2019;3(1):26-37.

² Kremer Hovinga JA, et al. Nat Rev Dis Primers. 2017;3:17020. Nuñez Zuno JA, Khaddour K. Thrombotic Thrombocytopenic Purpura Evaluation and Management [2022]

³ Stalin Ramprakash, C.P. Raghuram, Anoop P, Veerabhadra Gupta, Sujatha Thyagarajan, COVID-19 associated life-threatening immune-mediated thrombotic thrombocytopenic purpura in an adolescent girl, Pediatric Hematology Oncology Journal, Volume 9, Issue 1, 2024

TTP prowadzi do niedokrwienia narządów, a w ciężkich przypadkach do udaru mózgu, niewydolności serca, niewydolności nerek. Objawia się krwawieniem, siniakami, gorączką, osłabieniem, bólami głowy, bólami w klatce piersiowej, bólami stawów, bólami brzucha, bólami mięśni, biegunką.

Aby rozpoznać TTP, konieczne jest przeprowadzenie specjalnych testów (oznaczenie poziomu ADAMTS13 oraz inhibitora ADAMTS13). Na wyniki tych badań często trzeba czekać kilka dni (nierzadko ośrodki nie wykonują tych badań u siebie). Mimo że istnieją także szybkie przesiewowe testy, to w Polsce są wykonywane rzadko z powodu braku finansowania.

Ultrarządka i ultraniebezpieczna

W postaci immunologicznej zakrzepowej plamicy małopłytkowej (iTTP) liczy się każda minuta i godzina. Choroba pojawia się nagle i stanowi poważne zagrożenie dla zdrowia pacjenta. Nielezione, czyli też nierozpoznane iTTP charakteryzuje się śmiertelnością nawet na poziomie 90 proc.⁴. Wdrożenie leczenia plazmaferezami i steroidami zmniejsza śmiertelność do 8-20 proc. Problemem z punktu widzenia klinicznego jest jednak brak powszechnej wiedzy o chorobie, a także brak doświadczenia wśród personelu medycznego, które jest niezbędne do jej wykrycia.

Ze względu na patomechanizm cTTP i iTTP leczenie każdej z jednostek chorobowych jest odmienne. iTTP zgodnie z wytycznymi ISTH 2020 leczy się schematem potrójnym (kaplacyzumab, plazmafereza z FFP, steroidy, rytuksymab)⁵. Plazmafereza służy suplementacji ADAMTS-13 oraz eliminacji przeciwciał anti-ADAMTS-13 i ultradużych multimerów czynnika von Willebranda.

Obecnie trwają badania nad schematami leczenia bez zastosowania plazmaferezy. Głównym powodem jest chęć uniknięcia trudności i powikłań związanych z tą metodą leczenia⁶. Przełomem jest terapia humanizowanym, biwalentnym nanociałem – kaplacyzumabem, stosowana jako uzupełnienie terapii standardowej (plazmafereza + leczenie immunosupresyjne). Terapia ta pełni rolę leczenia ratunkowego, umożliwiając działanie lekom immunosupresyjnym, ale też powoduje szybsze zwiększenie liczby płytek krwi i skrócenie hospita-

⁴ Scully M i wsp. Br J Haematol. 2012;158(3):323-335

⁵ Zhong XL, Vesely SK, Cataland SR, Coppo P, Geldziler B, Iorio A, Matsumoto M, Mustafa RA, Pai M, Rock G, Russell L, Tarawneh R, Valdes J, Peyvandi F. ISTH guidelines for treatment of thrombotic thrombocytopenic purpura. J Thromb Haemost. 2020 Oct;18(10):2496-2502. doi: 10.1111/jth.15010. Epub 2020 Sep 11. PMID: 32914526; PMCID: PMC8091490

⁶ Kühne L, Knoebl P, Eller K, Thaler J, Sperr WR, Gleixner KV, Osterholt T, Kaufeld JK, Menne J, Buxhofer-Ausch V, Mühlfeld AS, Seelow E, Schreiber A, Todorova P, Cukoski S, Jabs WJ, Özcan F, Gäckler A, Schönfelder K, Seibert FS, Westhoff TH, Schwenger V, Eichenauer DA, Völker L, Brinkkoetter P. Management of Immune Thrombotic Thrombocytopenic Purpura without Therapeutic Plasma Exchange. Blood. 2024 Jun 5: blood.2023023780. doi: 10.1182/blood.2023023780. Epub ahead of print. PMID: 38838300.

⁷ Scully M i wsp. N Engl J Med. 2019;380(4):335-346.

lizacji⁷. Istotnym jest, by pamiętać, iż iTTP to choroba przewlekła z okresami zaostrzeń i remisji i tą remisję powinniśmy uzyskać u pacjenta jak najszybciej.

We wrodzonej, zakrzepowej plamicy małopłytkowej (cTTP) najlepszą opcją leczenia jest rekombinowany ADAMTS13. Przed erą tego leku lub przy braku dostępności w praktyce klinicznej zastosowanie znajdowały przetoczenia świeżo mrożonego osocza (fresh frozen plasma, FFP).

Obecnie jesteśmy w erze molekuly rADAMTS13, która jest pierwszym lekiem dedykowanym pacjentom w profilaktyce cTTP. Zwiększa ona poziom enzymu ADAMTS13 we krwi^{8, 9}, którego brak (spadek poniżej 10 proc.) jest czynnikiem ryzyka kolejnego epizodu cTTP. Głównym celem terapii jest redukcja zaostrzeń zagrażających życiu, co jest możliwe właśnie przez podniesienie poziomu ADAMTS13 we krwi pacjenta. W listopadzie 2023 roku lek ten został udostępniony pacjentom w Stanach Zjednoczonych. Dopuszczenie Europejskiej Agencji Leków spodziewane jest jesienią 2024 roku (dotychczas dostępny w ramach wczesnego dostępu)*.

Istotną kwestią jest edukacja i podnoszenie świadomości na temat tej choroby, zarówno wśród pacjentów, jak i lekarzy. W miarę rozwoju medycyny pojawiają się coraz skuteczniejsze terapie, które pozwalają pacjentom na prowadzenie normalnego życia. Oczekuje się, że w ciągu najbliższych lat będziemy świadkami postępów w leczeniu TTP, dzięki lepszemu zrozumieniu mechanizmów tej choroby.

Obecnie pacjenci z TTP w ramach wsparcia prowadzą grupę na social mediach oraz wydają kartę pacjenta z TTP.

Pierwotna małopłytkowość immunologiczna ITP

Pierwotna małopłytkowość immunologiczna (immune thrombocytopenia, ITP), nazywana wcześniej samoistną plamicą małopłytkową lub chorobą Werlhofa, to nabyta choroba autoimmunologiczna charakteryzująca się izolowaną małopłytkowością (PLT <100 G/l) bez znanych czynników ją wywołujących oraz bez zaburzeń przebiegających z małopłytkowością. Szacuje się, że roczna zachorowalność to 3/100 tys./ rok, a chorobowość pomiędzy 9-26/100 tys. mieszkańców, co zalicza ją do chorób rzadkich.^{10 11}

⁸ Kremer Hovinga JA, et al. Nat Rev Dis Primers. 2017;3:17020. Nuñez Zuno JA, Khaddour K. Thrombotic Thrombocytopenic Purpura Evaluation and Management [2022]

⁹ Scully M i wsp. N Engl J Med. 2019;380(4):335-346.

¹⁰ Sivaramakrishnan P. Vaccination-associated immune thrombocytopenia possibly due to ChAdOx1 nCoV-19 (Covishield) coronavirus vaccine BMJ Case Reports CP <https://archiwum.mz.gov.pl/leczenie/choroby-rzadkie/>

¹¹ Polskie zalecenia postępowania w pierwotnej małopłytkowości immunologicznej u dorosłych opracowane przez Grupę ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów – aktualizacja 2024

* Wspomniany lek uzyskał zezwolenie na dopuszczenie do obrotu na terenie UE 1 sierpnia 2024 roku.

ITP leczymy w pierwszej linii steroidami lub dożylnymi immunoglobulinami (leczenie ratunkowe lub stosowane w przypadku pojawienia się u pacjenta przeciwwskazań do steroidów). Przy braku skuteczności tego leczenia lub steroidozależności w drugiej linii możemy zastosować agonistów receptora trombopoetyny (thrombopoietin receptor agonist, TPO-RA): romiplostym, eltrombopag, awatrombopag lub leki o udowodnionym innym mechanizmie działania: rytuksymab (anty-CD20) czy fostamatynib (inhibitor śledzionowej kinazy tyrozynowej). Przy braku skuteczności wspomnianych terapii mamy do dyspozycji leki starszej generacji o znacznie mniejszej skuteczności, a także splenektomię, czyli chirurgiczne usunięcie śledziony. Leczenie chirurgiczne staramy się jednak odradzać w czasie, gdyż jest to usunięcie zdrowego narządu, a skuteczność tej procedury szacowana jest na około 60 proc.

Obecnie wszystkie trzy terapie TPO-RA są dostępne w ramach programu lekowego, dzięki czemu możemy leczyć pacjentów zgodnie ze światowymi standardami. Każda ze wskazanych terapii ma swoją własną charakterystykę:

- romiplostym podajemy raz na tydzień podskórnie i nie ma przy nim ograniczeń dietetycznych,
- eltrombopag wymaga wyeliminowania z diety nabiału w okresie doustnego przyjęcia leku,
- awatrombopag, najnowszy z tej grupy, podawany jest zazwyczaj codziennie doustnie i bez ograniczeń dietetycznych¹².

Obecnie brak jest refundacji dla fostamatynibu i jest on dostępny jedynie po wyczerpaniu opcji leczniczych w ramach RDTL.

Z punktu widzenia klinicznego najważniejszym wydaje się jasne i klarowne przedstawienie pacjentom opcji leczenia w ITP, ponieważ doświadczenie kliniczne wskazuje, że preferencje pacjenta wpływają na wyższy compliance. W rozmowie z pacjentami należy również zwracać uwagę na problem długotrwałego stosowania leków steroidowych. Pomimo efektu terapeutycznego są one mniej korzystne, natomiast nowe leki dają dużo mniej działań niepożądanych przy jednocześnie lepszej odpowiedzi na leczenie.

¹² A. J. Gerard Jansen, Vickie McDonald, Adrian Newland, Mervyn Morgan, Mieke Bastiaanse, Koo Wilson, Daniel Eriksson, Emma Geldman, Owen Daykin-Pont, Samantha Prince & Jaap Jan Zwaginga (2023) Patient preferences and experiences regarding thrombopoietin-receptor agonists for immune thrombocytopenia in The Netherlands (TRAPeZe Netherlands study), *Hematology*, 28:1, 2267942, DOI: 10.1080/16078454.2023.2267942 Kruk, M. E., and Schwalbe, N. (2006). The relation between intermittent dosing and adherence: preliminary insights. *Clin. Ther.* 28, 1989–1995. doi: 10.1016/j.clinthera. 2006.12.011

Ostre białaczki



Prof. dr hab. Sebastian Giebel, kierownik Kliniki Transplantacji Szpiku i Onkohematologii Narodowego Instytutu Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie – Państwowego Instytutu Badawczego, Oddział w Gliwicach, prezes Stowarzyszenia Polska Grupa ds. Leczenia Białaczek u Dorosłych

Białaczki to zróżnicowana grupa schorzeń, którą dzielimy na ostre i przewlekłe. Dodatkowo zarówno białaczki przewlekłe, jak i ostre dzielimy również ze względu na linie pochodzenia komórkowego – na białaczki szpikowe i limfocytowe.

Dane epidemiologiczne wskazują, że mamy około tysiąca zachorowań rocznie na ostre białaczki, natomiast jeśli chodzi o białaczki przewlekłe, to liczba zachorowań jest zdecydowanie większa i sięga nawet 3-4 tys. rocznie. Z punktu widzenia demografii ryzyko zachorowania na białaczkę rośnie wraz z wiekiem – zwłaszcza w przypadku ostrej białaczki szpikowej, jak również przewlekłej białaczki limfocytowej. W związku z tym, wraz ze zwiększającą się grupą osób w szóstej i siódmej dekadzie życia, możemy spodziewać się, że liczba pacjentów z tymi schorzeniami będzie w Polsce rosła.

Ostre białaczki są chorobami bardzo agresywnymi i w przypadku niektórych wariantów mogą doprowadzić do śmierci nawet w ciągu kilku tygodni. Z tego powodu diagnostyka tych schorzeń powinna być bardzo szybka.

Ostre białaczki w niedługim czasie ujawniają się poważnymi nieprawidłowościami w obrazie morfologicznym krwi. Jeśli zatem pacjent pojawia się w gabinecie lekarza rodzinnego i zgłasza takie objawy jak znaczne osłabienie, gorączki czy krwawienia, wówczas badanie morfologiczne krwi powinno być wykonane natychmiast, a jego wynik będzie ukierunkowywał dalszą diagnostykę. W momencie, kiedy pacjent trafi do ośrodka specjalistycznego, ta diagnostyka jest bardzo szybka, ponieważ dysponujemy w Polsce wszystkimi możliwościami, które pozwalają nam nie tylko na rozpoznanie samej białaczki, ale również bardzo precyzyjne określenie jej wariantu, a co za tym idzie, dobranie odpowiedniego leczenia. Pewne opóźnienia w diagnostyce

mogą pojawić się, gdy pacjent trafi do ośrodka o niższym poziomie referencyjności. Gdy chory trafi tam w bardzo ciężkim stanie klinicznym, z objawami, zdarza się, że nie udaje się go przekazać do specjalistycznego ośrodka hematologicznego.

Standaryzacja terapii białaczek

Leczenie białaczek w Polsce jest wystandaryzowane, a przygotowaniem wytycznych zajmuje się Polska Grupa ds. Leczenia Białaczek Dorosłych (Polish Adult Leukemia Group – PALG). Obejmują one wszystkie wyspecjalizowane ośrodki hematologiczne w Polsce. W gronie eksperckim spotykamy się dwukrotnie w ciągu roku, a dodatkowo częściej odbywają się spotkania w ramach sekcji roboczych. W ramach swojej działalności PALG na bieżąco stara się aktualizować protokoły leczenia, przede wszystkim dla ostrych białaczek. Celem jest to, by wszyscy chorzy byli leczeni w sposób ujednolicony i optymalny, zgodnie z aktualną wiedzą medyczną i naszym doświadczeniem.

Na poziomie europejskim krajowe grupy robocze spotykają się w celu przedstawienia i omówienia danych związanych z leczeniem pacjentów w poszczególnych krajach. Moje doświadczenie związane z opracowywaniem standardów europejskich dotyczy ostrej białaczki limfoblastycznej, jednego z podtypów ostrych białaczek. Doświadczenia poszczególnych grup narodowych są różne, a protokoły w poszczególnych krajach nie są identyczne, choć wykorzystują te same założenia i pryncypia. Dotyczy to również stosowania nowoczesnych leków, które w ostatnich latach zostały opracowane, udostępnione i zarejestrowane przez Europejską Agencję Leków (EMA), a które w znakomitej większości są również dostępne w Polsce – w ramach refundacji przewidzianej programem lekowym. Najnowsza decyzja refundacyjna dotyczy terapii CAR-T cells, czyli immunoterapii komórkowej, u chorych na odporne, nawrotowe postaci ostrej białaczki limfoblastycznej. Preparaty te pierwotnie były dostępne do stosowania u dzieci i u pacjentów poniżej 25. roku życia. Od 1 października program lekowy obejmuje też chorych starszych, bez ograniczeń wiekowych.

W przypadku ostrej białaczki szpikowej decyzje refundacyjne są podejmowane na bieżąco – w stosunku do innych krajów UE nie obserwujemy tutaj opóźnień w dostępie do refundacji. To, co chciałbym szczególnie podkreślić, to zaangażowanie PALG w realizację licznych badań klinicznych, które mają wpływ na sposoby leczenia chorych na świecie. To pokazuje, że w Polsce nie tylko jesteśmy realizatorami zaleceń klinicznych, ale również ich twórcami.

Przewlekła białaczka limfocytowa



Prof. dr hab. Iwona Hus, kierownik Kliniki Hematologii Państwowego Instytutu Medycznego MSWiA w Warszawie

Przewlekła białaczka limfocytowa (PBL) jest nowotworem wywodzącym się z limfocytów B – komórek należących do układu chłonnego. Komórki białaczkowe gromadzą się we krwi, szpiku, węzłach chłonnych i śledzionie. W rzadkich przypadkach są wykrywane w innych tkankach i narządach.

Komórki PBL cechują się obecnością na powierzchni charakterystycznych cząsteczek – antygenów, których ocena metodą cytometrii przepływowej w większości przypadków pozwala na ustalenie rozpoznania.

Przewlekła białaczka limfocytowa jest białaczkową postacią chłoniaka z małych limfocytów, w związku z czym pacjenci z chłoniakiem z małych limfocytów powinni być leczeni tak samo jak pacjenci z PBL.

Aby ustalić rozpoznanie przewlekłej białaczki limfocytowej należy stwierdzić:

- przynajmniej 5 tys./ μ l białaczkowych limfocytów B we krwi obwodowej. Badanie wykonuje się z próbki krwi obwodowej pobranej tak jak na badanie morfologii krwi. Do rozpoznania PBL niepotrzebne jest badanie szpiku ani węzła chłonnego.
- Chłoniaka z małych limfocytów rozpoznajemy na podstawie biopsji otwartej węzła chłonnego lub innej zmienionej nowotworowo tkanki u chorego, który nie spełnia kryteriów białaczki.
- Jeśli we krwi stwierdza się białaczkowe limfocyty w liczbie mniejszej niż 5 tys./ μ l i nie stwierdza się powiększenia węzłów chłonnych ani śledziony, rozpoznaje się tzw. monoklonalną B-komórkową limfocytozę (MBL), która nie jest chorobą, lecz stanem przednowotworowym. U 1–2 proc. osób z MBL w ciągu roku rozwija się PBL.

Częstość występowania i czynniki ryzyka rozwoju PBL

Przewlekła białaczka limfocytowa jest najczęstszym rodzajem białaczki. W Europie Zachodniej i Ameryce Północnej stanowi ona około 30 proc. wszystkich białaczek u osób dorosłych. Jest to choroba ludzi starszych, ponieważ średnia wieku przy zachorowaniu wynosi około 70 lat, a ponad 60 proc. chorych ma więcej niż 65 lat. Mężczyźni chorują około dwukrotnie częściej niż kobiety. Ryzyko wystąpienia choroby u krewnych 1. stopnia chorego na przewlekłą białaczkę limfocytową jest 2-7 razy większe niż w populacji ogólnej. Nie ma jednak wskazań do wykonywania badań w kierunku białaczki u krewnych chorych na PBL.

Objawy PBL

Początek choroby jest zwykle bezobjawowy – około 60-70 proc. chorych w chwili rozpoznania nie ma żadnych objawów choroby i zgłasza się do lekarza wyłącznie z powodu zwiększenia liczby krwinek białych, w tym limfocytów. PBL wykrywana jest zwykle w trakcie przypadkowej morfologii krwi lub morfologii krwi zleconej z powodu innych dolegliwości.

Do najczęstszych objawów, które mogą rozwinąć się w dalszym przebiegu PBL, należą:

- niebolesne powiększenie węzłów chłonnych, które występuje u $\frac{3}{4}$ chorych; najczęściej powiększone są węzły chłonne szyjne, nadobojczykowe i pachowe, ale mogą być również powiększone węzły chłonne w jamie brzusznej czy śródpiersiu;
- powiększenie śledziony;
- objawy ogólne związane z PBL: gorączka bez uchwytnej przyczyny, powyżej 38,0 st. C, trwająca ≥ 2 tygodnie, poty nocne trwające ≥ 1 miesiąc, utrata masy ciała > 10 proc. masy wyjściowej w ciągu ostatnich 6 miesięcy, postępujące osłabienie;
- częste zakażenia;
- osłabienie, zmęczenie, zmniejszenie wydolności wysiłkowej, bledność skóry i błon śluzowych (związane z niedokrwistością);
- krwawienia, siniaki i wybroczyny spowodowane małopłytkowością.

Przebieg kliniczny

Przewlekła białaczka limfocytowa jest chorobą o bardzo zmiennym przebiegu klinicznym. U części chorych obserwuje się łagodny przebieg i długie przeży-

cie nawet bez leczenia. U pozostałych osób choroba ma natomiast przebieg agresywny i mimo intensywnej terapii, prowadzi do zgonu w ciągu kilku lat. Uważa się, że 1/3 chorych na PBL nigdy nie wymaga leczenia, 1/3 wymaga go po różnie długim okresie obserwacji, a tylko 1/3 potrzebuje leczenia od razu po ustaleniu rozpoznania PBL.

Powikłania PBL związane są z zaburzeniami w układzie odporności. Należą do nich:

- powikłania tzw. autoimmunologiczne związane z pojawieniem się przeciwciał przeciw własnym komórkom (niedokrwistość autoimmunohemolityczna, małopłytkowość immunologiczna);
- zwiększone ryzyko zakażeń (najczęściej bakteryjnych i wirusowych);
- zwiększone ryzyko wtórnych nowotworów, najczęściej skóry.

Do najpoważniejszych powikłań PBL należy transformacja w bardziej agresywnego chłoniaka, najczęściej jest to rozlany chłoniak z dużych komórek B (DLBCL), znacznie rzadziej chłoniak Hodgkina. Obecnie, w dobie nowoczesnych terapii, transformacja Richtera występuje rzadziej niż wcześniej, gdy podstawą leczenia była chemioterapia.

Czynniki rokownicze

Z uwagi na zmienny przebieg kliniczny PBL przez wiele lat poszukiwano czynników, które pozwoliłyby przewidzieć rokowanie pacjentów. Obecnie do najważniejszych czynników o znaczeniu prognostycznym (mówiącym o przebiegu klinicznym) i predykcyjnym (mówiącym o odpowiedzi na leczenie) należą:

- zaburzenia genu TP53 (mutacja TP53, delecja 17p);
- stan mutacji genów immunoglobulinowych (IGHV).

Obecność delecji 17p/mutacji TP53 wiąże się z najgorszym rokowaniem w związku z opornością na chemo- i immunoterapię. Wyniki leczenia znacznie poprawiły się dzięki wprowadzeniu do terapii PBL leków o odmiennym niż chemioterapia mechanizmie działania – inhibitorów BCR i BCL2. Niemniej nawet przy zastosowaniu nowych metod leczenia ich rokowanie pozostaje nadal gorsze niż u chorych bez tych nieprawidłowości.

Zaburzenia genu TP53 występują u około 10 proc. chorych przy rozpoznaniu białaczki i częstość ta zwiększa się wraz z czasem trwania choroby. Ocena zaburzeń genu TP53 powinna być wykonywana przed każdą kolejną linią leczenia. Uważa się, że najskuteczniejszą metodą leczenia w przypadku ich wykrycia jest ciągła terapia inhibitorem BTK, która zapewnia lepszą kontrolę choroby niż terapie ograniczone w czasie.

Niezmutowany stan genu IgVH wiąże się z bardziej agresywnym przebiegiem PBL, krótszym czasem przeżycia chorych oraz krótkim czasem odpowiedzi na immunochemioterapię. Natomiast inhibitory kinazy tyrozynowej Brutona (BTK) działają niezależnie od stanu mutacji IgHV. Przebieg postaci ze zmutowanymi genami IgVH jest łagodniejszy. Ocenę stanu mutacji zaleca się przeprowadzić jednorazowo, przed rozpoczęciem leczenia 1. Linii, ponieważ nie zmienia się on w czasie.

Ocena zaawansowania choroby

W celu oceny stopnia zaawansowania choroby stosuje się dwie klasyfikacje: 3-stopniową klasyfikację Bineta i 5-stopniową klasyfikację Raia.

Leczenie PBL

Przewlekła białaczka limfocytowa pozostaje chorobą nieuleczalną przy pomocy konwencjonalnych metod leczenia. Jedyną metodą prowadzącą do wyleczenia jest allotransplantacja komórek macierzystych, jednak jej wykonanie jest możliwe u niewielu chorych. Metoda ta jest obarczona wysokim ryzykiem śmiertelnych powikłań.

Celem terapii chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową jest wydłużenie życia i poprawa jego jakości.

W praktyce klinicznej nie należy rozpoczynać leczenia u chorych z nowo rozpoznaną PBL we wczesnych stadiach (Rai 0 i Binet A), bez cech progresji choroby, ponieważ nie wykazano wydłużenia czasu przeżycia u chorych wcześniej rozpoczynających leczenie, nawet nowoczesnymi terapiami, w porównaniu do chorych, u których leczenie zastosowano przy obecności wskazań do niego.

Chorzy we wczesnych stadiach powinni pozostawać pod obserwacją, z monitorowaniem statusu choroby co 3–12 miesięcy (strategia „wait and watch”).

Chorzy w pośrednim okresie zaawansowania (stadium I i II wg Raia lub B wg Bineta) wymagają ścisłego monitorowania określonych parametrów białaczki co 3–9 miesięcy i rozpoczęcia leczenia w przypadku cech progresji.

Chorzy na PBL w zaawansowanym okresie choroby (okres III i/lub IV wg Raia lub C wg Bineta) wymagają zastosowania leczenia przeciwbiałaczkowego. Należy pamiętać, że wysoka bezwzględna liczba limfocytów sama w sobie nie jest wskazaniem do rozpoczęcia terapii.

Tabela 1. Wskazania do rozpoczęcia leczenia

Znaczne lub szybko postępujące powiększenie węzłów chłonnych (>5-6 cm).
Znaczne powiększenie śledziony, grożące jej pęknięciem.
Szybkie narastanie limfocytozy krwi obwodowej (dla wartości powyżej 30 000/ μ l lub wzrost liczby limfocytów >50 proc. w ciągu dwóch miesięcy).
Niedokrwistość (Hgb <10 g/dl) lub małopłytkowość (liczba płytek krwi <100 tys./l). Niedokrwistość lub małopłytkowość autoimmunologiczna niereagująca na leczenie kortykosteroidami.
Pojawienie się objawów ogólnych (gorączka, nocne poty, utrata masy ciała).
Objawowe zajęcie narządów pozawęzłowych.

Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę zmieniło się istotnie w ciągu ostatnich lat. Miejsce stanowiącej jeszcze niedawno standard leczenia immunochemioterapii zajęły nowe terapie celowane, przede wszystkim inhibitory kinazy Brutona (ibrutynib, akalabrutynib, zanubrutynib) oraz inhibitor białka Bcl-2 (wenetoklaks). Leki te w monoterapii stosowane są w sposób ciągły do progresji lub nieakceptowanej toksyczności, natomiast w schematach skojarzonych (wenetoklaks + obinutuzumab, wenetoklaks + ibrutynib, wenetoklaks + ibrutynib) przez czas określony.

W Polsce leczenie chorych na PBL jest refundowane w ramach programu lekowego B.79 i należy podkreślić, że obecnie możliwe jest leczenie chorych na PBL bez chemioterapii, zgodnie z aktualnymi wytycznymi polskich i międzynarodowych towarzystw naukowych

Leczenie 1. linii

Opcje leczenia chorych na PBL w pierwszej linii obejmują trzy strategie:

- schematy skojarzone bez chemioterapii ograniczone w czasie:
 - wenetoklaks i obinutuzumab
 - wenetoklaks i ibrutynib
- terapie celowane stosowane w sposób ciągły:
 - inhibitory kinazy Brutona (BTK: ibrutynib, akalabrutynib, zanubrutynib)
- ograniczona w czasie immunochemioterapia z zastosowaniem przeciwciał monoklonalnych anty-CD20.

Przy wyborze między leczeniem ograniczonym w czasie a stosowanymi w sposób ciągły inhibitorami BTK należy uwzględnić czynniki, takie jak:

- wyniki badań genetycznych (u chorych z zaburzeniami genu TP53 preferowane jest leczenie ciągłe inhibitorem BTK);
- profil toksyczności – wenetoklaks: funkcja nerek i ryzyko zespołu lizy guza (przy gwałtownym rozpadzie komórek białaczkowych) vs inhibitory BTK: migotanie przedsionków i ryzyko krwawienia;
- możliwość ponownego zastosowania leczenia (przy terapiach ograniczonych w czasie);
- droga podawania (dożylna + doustna vs wyłącznie doustna);
- częstość wizyt kontrolnych (5-tygodniowy okres zwiększania dawki wenetoklaksu);
- preferencje pacjenta.

Schematy ograniczone w czasie mają wiele zalet zarówno dla pacjenta, jak i dla systemu ochrony zdrowia, uważa się jednak, że w przypadku PBL wysokiego ryzyka związanego z obecnością delecji 17p/mutacji TP53 zastosowanie leczenia ciągłego inhibitorem BTK zapewnia lepszą kontrolę choroby. Należy podkreślić, iż w przypadku wyboru 1. linii leczenia (z wyłączeniem pacjentów z delecją 17p (del17p) / mutacją w genie TP53 (mutTP53), rodzaj terapii coraz częściej zależy od preferencji pacjenta i powinien być z nim omówiony. Szczegółowo przedstawione powinny być potencjalne korzyści i działania niepożądane, drogi podawania leków i konieczność hospitalizacji związana z daną metodą leczenia.

Leczenie chorych na nawrotową/oporną PBL

Wskazania do kolejnych linii leczenia takie jak do 1. Linii. Zgodnie z zaleceniami międzynarodowych towarzystw naukowych optymalną metodą leczenia chorych na oporną/nawrotową PBL są nowe terapie celowane – inhibitory BTK i BCL2.

Powinno się zastosować jedną z dwóch opcji leczenia:

- 1) wenetoklaks + rytuksymab (24 miesiące);
- 2) inhibitory BTK (jako leczenie ciągłe).

W leczeniu drugiego i kolejnego rzutu decyzja terapeutyczna zależy od:

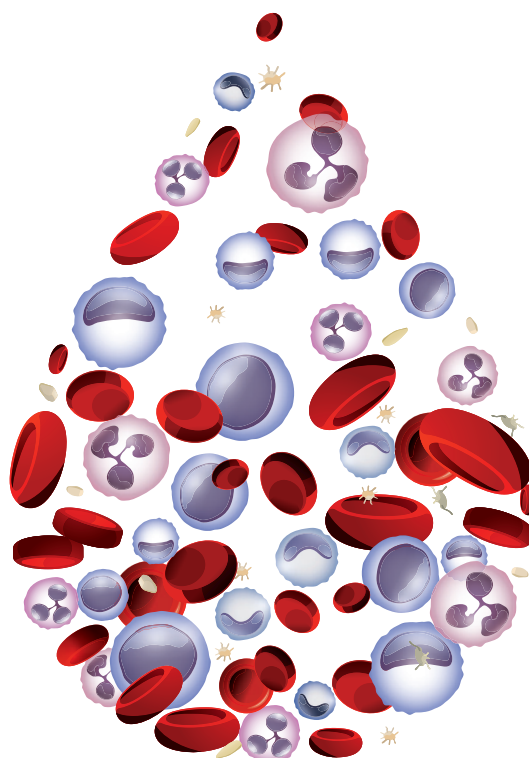
- rodzaju wcześniejszego leczenia;
- czasu trwania remisji;
- obecności delecji 17p/mutacji TP53;
- stanu ogólnego chorego;

- chorób współistniejących;
- preferencji chorego;
- dostępności leków.

Zakażenia jako powikłanie przewlekłej białaczki limfocytowej

Najczęstszym powikłaniem PBL są zakażenia. Stanowią one główną przyczynę śmiertelności chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową (30-50 proc. zgonów). Zakażenia u chorych na PBL wynikają z zaburzeń odporności związanych z białaczką, ale również z podeszłego wieku chorych, obecności chorób współistniejących (np. cukrzyca, niewydolność krążenia).

U chorych na PBL zaleca się szczepienia ochronne przeciw pneumokokom (*Streptococcus pneumoniae*) najlepiej bezpośrednio po ustaleniu rozpoznania, przed rozpoczęciem leczenia. Zaleca się również coroczne (wrzesień, październik) szczepienia przeciw grypie sezonowej szczepionkami zawierającymi aktualne w danym sezonie szczepy tego wirusa oraz szczepienia przeciw COVID-19 zgodnie z aktualnie obowiązującymi zaleceniami. Nowe zalecane szczepienia ochronne to szczepionki przeciw półpaścowi i wirusowi RSV. U chorych na PBL należy unikać szczepień żywymi szczepionkami przeciw gruźlicy (BCG) oraz odrze, różyczce, śwince, ospie wietrznej/półpaścowi, żółtej febrze. Szczepień ochronnych nie wykonuje się także w czasie poważnych infekcji i ostrych chorób przebiegających z gorączką. Łagodne infekcje (przeziębienie) nie powinny być powodem odroczenia szczepień.



Nowotwory mieloproliferacyjne



Katarzyna Lisowska, przedstawicielka Stowarzyszenia Hematoonkologiczni, prezeska Fundacji Per Humanus

Zespoły mieloproliferacyjne to grupa chorób rzadkich, nowotworów hematologicznych związanych z klonalnym rozrostem linii mieloidalnej komórek hematopoetycznych. Charakteryzują się nadprodukcją jednego lub kilku elementów morfotycznych krwi: czerwonych krwinek, białych krwinek, płytek krwi, dlatego przynajmniej raz w roku trzeba robić morfologię krwi obwodowej. Często lekarze rodzinni lekceważą pierwsze objawy tej choroby.

W przypadku mielofibrozy pacjent zgłasza się do lekarza z objawami sugerującymi raczej przeziębienie niż tak poważną chorobę nowotworową: zmęczenie, gorączka, nocne poty, ból kości, świąd skóry, uczucie pełności w brzuchu, ból pleców, zgaga, nudności, wymioty, duszność, podatność na infekcje. Część chorych może mieć także powiększoną śledzionę, która może osiągać ogromne rozmiary i powodować ból brzucha.

Na mielofibrozę chorują pacjenci w różnym wieku, także dzieci. Liczba nowych zachorowań wynosi od 0,5 do 1,5 osoby na 100 000 tys. mieszkańców. Mutacje genowe JAK2 w komórkach macierzystych szpiku kostnego, a także mutacje MPL i CARL sprawiają, że nieprawidłowe komórki mnożą się w szpiku kostnym bez kontroli, ale u ok 15 proc. chorych nie stwierdza się żadnej z tych mutacji. Dlatego na chwilę obecną nie wiemy, co dokładnie powoduje tę chorobę.

Obecnie na mielofibrozę nie ma leku, więc celem leczenia jest przedłużenie życia pacjenta. Leki łagodzą objawy i poprawiają jakość życia. W Polsce mamy obecnie refundowane leczenie w ramach programu lekowego B.81. Leczenie chorych na nowotwory mieloproliferacyjne Ph(-) (ICD-10: D45,

D47.1). Wyleczenie chorego można osiągnąć jedynie poprzez allogeniczne przeszczepienie krwiotwórczych komórek macierzystych (przeszczep szpiku). O tym, jaką metodę leczenia zastosować, decyduje lekarz wspólnie z pacjentem.

Czerwienica prawdziwa to także przewlekły nowotwór szpiku kostnego. Nie jest znana przyczyna tej choroby, ale wiadomo, że u chorych dochodzi do zwiększenia produkcji krwinek czerwonych, w mniejszym stopniu także innych komórek krwi (płytek i białych krwinek). Pacjenci często zgłaszają się do lekarza rodzinnego z silnym świądem skóry nasilającym się po gorącej kąpeli.

Morfologia krwi jest badaniem, które pokazuje, że pacjent ma podwyższone parametry czerwonekrwinkowe. Dalsza diagnostyka wykaże, czy pacjent choruje na czerwienicę prawdziwą czy wtórną. Nieleczona czerwienica prawdziwa może prowadzić do zakrzepicy, która z kolei może być przyczyną zatoru płucnego, udaru mózgu lub niedokrwienia narządów w jamie brzusznej. Jaką metodę leczenia zastosować? To decyzja lekarza podjęta wspólnie z lekarzem. Ma ona zapobiec powikłaniom zakrzepowym.

Nadpłytkowość samoistna to kolejny nowotwór mieloproliferacyjny. Charakteryzuje się zwiększonym wytwarzaniem płytek krwi. W wyniku mutacji w komórce macierzystej szpiku dochodzi do niekontrolowanego wytwarzania płytek krwi. Dlaczego tak się dzieje? Dlaczego dochodzi do nadprodukcji płytek w naszym organizmie? Tego nie wiemy. Często pacjenci latami nie wiedzą, że chorują na nadpłytkowość. Dlatego ważne jest wykonywanie morfologii krwi obwodowej przynajmniej raz w roku. Dalsza diagnostyka i wdrożenie leczenia pomoże skutecznie kontrolować tę chorobę.

Trzeba pamiętać, że zarówno czerwienica prawdziwa, jak i nadpłytkowość samoistna może z czasem przejść w mielofibrozę. Natomiast mielofibroza może transformować w ostrą białaczkę szpikową (AML).

W Polsce toczą się obecnie badania kliniczne, w których udział biorą chorzy na nowotwory mieloproliferacyjne. Jako środowisko czekamy także na dostęp do leków, które otrzymały rejestrację na rynku europejskim. Mamy wspaniałych lekarzy, którzy na co dzień pomagają naszym pacjentom.

Od kilku lat pacjentom z nowotworami mieloproliferacyjnymi pomaga również Stowarzyszenie Hematoonkologiczni. Na Facebooku prowadzone są grupy wsparcia. Nasi pacjenci mogą skorzystać z poradników, uczestniczyć w webinarach oraz warsztatach stacjonarnych z ekspertami. Staramy się, aby wiedza, którą otrzymuje od nas pacjent, była rzetelna i sprawdzona.

Bezpieczeństwo krwi

Pacjenci hematologiczni to grupa pacjentów, u których zapotrzebowanie na terapię krwią oraz składnikami krwi jest – według ekspertów – jednym z największych. Jest to związane ze specyfiką schorzeń, ale również wynika z faktu, że dotychczas nie udało się opracować substytutu krwi. Co roku w Polsce wykonuje się ponad 1,7 mln transfuzji krwi i jej składników, a w 2023 roku dawcami było ponad 640,2 tys. mieszkańców Polski, z czego 640 tys. stanowili dawcy honorowi¹. W całym kraju w 2023 roku zarejestrowano 1,501 mln donacji krwi i jej składników, o 5,2 proc. więcej niż w 2022 roku. Dane wskazują, że wskaźnik liczby krwiodawców na 10 tys. mieszkańców wyniósł 170 (w 2023 roku) i był wyższy o 6 krwiodawców/10 tys. mieszkańców od odnotowanego w 2022 roku. Kontrole Najwyższej Izby Kontroli potwierdzają, że potrzeby państwa i pacjentów w zakresie pozyskania, przechowywania i transportu krwi niezbędnej do funkcjonowania krajowego systemu ochrony zdrowia są zabezpieczone.

Na system pozyskiwania krwi należy jednak patrzeć również przez pryzmat wyzwań demograficznych. Według prognoz GUS² do 2060 roku liczba ludności rezydującej zmniejszy się do 32,9 mln osób. Dodatkowo prognozowane są głębokie zmiany w demografii populacji kraju, bowiem do 2060 roku o ponad jedną trzecią wzrośnie liczba osób w wieku 65 lat i więcej, a liczba osób w wieku 80+ ulegnie podwojeniu. Dlatego zasadnym wydaje się zwiększenie efektywności wykorzystania zasobów krwi – poprzez optymalizację wykorzystania i docelowo minimalizację zużycia.

Jednym z wyzwań w przypadku transfuzji wykonywanych u pacjentów ze schorzeniami hematologicznymi jest ryzyko rozwoju powikłań. Praktyka kliniczna wskazuje, że wraz z wydłużeniem czasu terapii krwią i preparatami krwiopochodnymi nie tylko rośnie zapotrzebowanie na krew, ale istnieje również większe ryzyko powikłań, w tym zakażeń czynnikami zakaźnymi³. Według wytycznych Światowej Organizacji Zdrowia (WHO) wszystkie donacje krwi powinny być badane pod kątem ryzyka przeniesienia infekcji. W przypadku wirusa nabytego niedoboru odporności (HIV), zapalenia wątroby typu B, zapa-

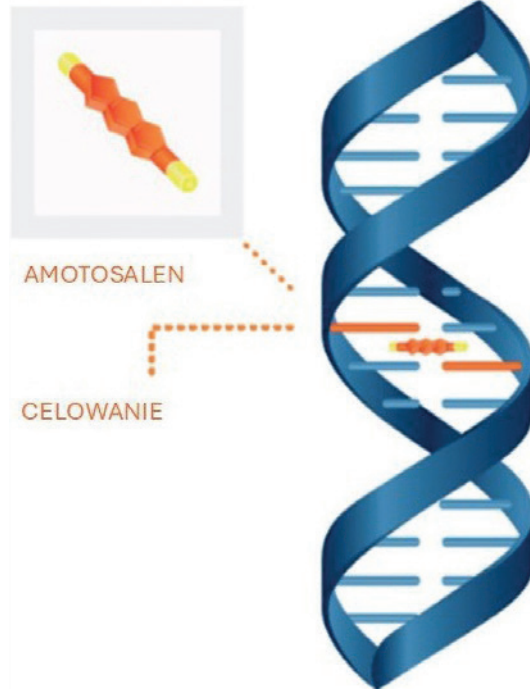
¹ Dane GUS Krwiodawstwo w Polsce 2023 https://stat.gov.pl/download/gfx/portalinformacyjny/pl/defaultaktualnosci/5513/18/3/1/krwiodawstwo_w_2023_r.pdf

² Dane GUS Prognoza ludności rezydującej dla Polski na lata 2023-2060 https://stat.gov.pl/files/gfx/portalinformacyjny/pl/defaultaktualnosci/5469/12/1/1/prognoza_ludnosci_rezydujacej_dla_polski_na_lata_2023-2060.pdf

³ Grabarczyk P, Kopacz A, Sulkowska E, Kalińska A. Ryzyko przeniesienia czynników zakaźnych przez transfuzje w Polsce [Risk of transmission of blood-derived pathogens by transfusion in Poland]. *Acta Haematol Pol.* 2017 Jul-Sep;48(3):174-182. Polish. doi: 10.1016/j.achaem.2017.07.006. Epub 2017 Jul 24. PMID: 32226060; PMCID: PMC7094117.

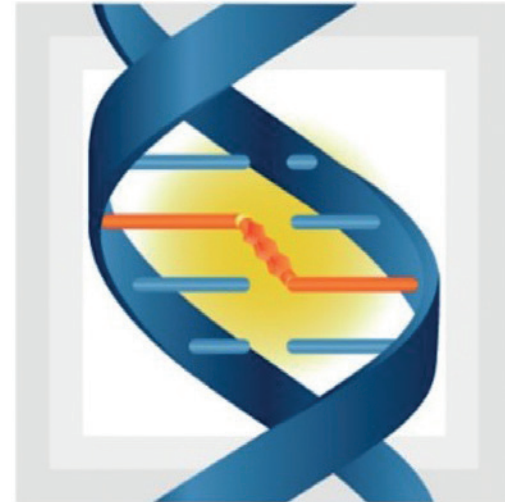
1

Interkalacja w helikalne regiony DNA i RNA



2

Sieciowanie po naświetleniu UVA



NAŚWIETLANIE UVA

3

Blokowanie replikacji, transkrypcji i translacji



Rycina 1. Mechanizm działania amotosalenu/ UVA: Blokowanie namnażania patogenów poprzez sieciowanie DNA i RNA.

Holistyczna strategia bezpieczeństwa krwi

Rycina 2. Inaktywacja czynników chorobotwórczych stanowi proaktywny środek bezpieczeństwa krwi zapewniający ochronę przeciwko chorobom zakaźnym



lenia wątroby typu C oraz kiły badaniom powinny podlegać wszystkie donacje. W Polsce, zgodnie z zapisami rozporządzenia Ministra Zdrowia z 11 września 2017 roku w sprawie warunków pobierania krwi od kandydatów na dawców krwi i dawców krwi, próbki krwi osoby zakwalifikowanej do pobrania krwi wymagają oznaczenia antygeny HBs, przeciwciał anti-HIV 1/2, przeciwciał anti-HCV, RNA HCV, DNA HBV, RNA HIV oraz markerów zakażenia krętkiem kiły. W części państw europejskich istnieją protokoły pozwalające na testowanie krwi pod kątem zakażeń pierwotniakiem *Trypanosoma cruzi*⁴, wirusem HTLV I i II⁵ czy zarodźcem malarii⁶. W 14 państwach wdrożono politykę testowania pod kątem zakażeń wirusem Zachodniego Nilu, w czterech kolejnych donacjach ocenianych pod kątem zakażeń parwowirusem B19.

Mimo nowoczesnych metod pobierania, preparatyki i przechowywania, zawsze istnieje ryzyko przeniesienia czynnika zakaźnego z transfuzją krwi. Ostrożność jest potrzebna na wszystkich etapach transfuzji, od kwalifikacji dawcy, po przetoczenie biorcy. Zakażenia bakteryjne są bagatelizowanym zagrożeniem dla łańcuchów dostaw płytek krwi na całym świecie.

Na całym świecie systemy czuwania nad bezpieczeństwem krwi są rozdrobnione i niedofinansowane. W rezultacie liczba zgłaszanych każdego roku zakażeń bakteryjnych przenoszonych drogą transfuzji (TTBI) jest prawdopodobnie zaniżona w stosunku do rzeczywistego obciążenia chorobowego. Na podstawie badań aktywnego nadzoru, w których wszystkie składniki płytek krwi są badane pod kątem TTBI przed transfuzją i po transfuzji, szacuje się, że zakażenie bakteryjne może występować w 1 na ok. 2000 płytek krwi⁷, a wskaźniki TTBI mogą być nawet 30-krotnie wyższe niż wykrywane wyłącznie w ramach nadzoru biernego^{8,9}. Jako że pacjenci otrzymują zazwyczaj wiele dawek płytek krwi w trakcie leczenia, ryzyko ekspozycji na zakażone bakteryjnie płytki krwi w przeliczeniu na pacjenta może być bliższe 1 na 400. Poza inaktywacją bakterii inaktywacja czynników chorobotwórczych umożliwia optymalizację procesów wytwarzania składników krwi i ochronę przed szeroką gamą innych zagrożeń chorobotwórczych. Stosowanie technologii inaktywacji czynników chorobotwórczych (PIT) stało się integralną częścią procesu zapewniania bezpieczeństwa płytek krwi

⁴ Protokoły selektywnego testowania funkcjonują m.in. w Belgii, Francji, Włoszech, Hiszpanii, Portugalii, Szwecji, czy Szwajcarii.

⁵ Protokoły testowania funkcjonują m.in. we Francji, Grecji, Izraelu, Luksemburgu, Portugalii, Norwegii, Rumunii, Hiszpanii, Szwecji, czy Wielkiej Brytanii.

⁶ Protokoły testowania funkcjonują m.in. w Finlandii, Islandii, Norwegii, Szwecji, Belgii, Grecji, Włoszech, Portugalii, Hiszpanii, Wielkiej Brytanii.

⁷ White SK, Schmidt RL, Walker BS, Metcalf RA. Bacterial contamination rate of platelet components by primary culture: a systematic review and meta-analysis BACKGROUND: Platelets have the highest bacterial. Published online 2020. doi:10.1111/trf.15762

⁸ Hong H, Xiao W, Lazarus HM, Good CE, Maitta RW, Jacobs MR. Detection of septic transfusion reactions to platelet transfusions by active and passive surveillance. Blood. 2016;127(4). doi:10.1182/blood-2015-07-655944

⁹ White SK, Schmidt RL, Walker BS, Metcalf RA. Bacterial contamination rate of platelet components by primary culture: a systematic review and meta-analysis BACKGROUND: Platelets have the highest bacterial. Published online 2020. doi:10.1111/trf.15762

FAZY WHO

OKRES MIĘDZYPANDEMICZNY

- | | |
|---|---|
| 1 | Nie wykryto żadnych nowych podtypów wirusa grypy u ludzi. Podtyp wirusa grypy, który spowodował zakażenie u ludzi, może występować u zwierząt. Jeśli występuje u zwierząt, ryzyko zachorowania u ludzi uważa się za niskie. |
| 2 | Nie wykryto żadnych nowych podtypów wirusa grypy u ludzi. Jednostwarzakże krążący podtyp wirusa grypy u zwierząt znaczne ryzyko zachorowania na chorobę u ludzi. |

OKRES ALARMOWY PANDEMII

- | | |
|---|--|
| 3 | Zakażenie(a) u ludzi nowym podtypem, ale bez przeniesienia zakażenia z człowieka na człowieka lub, w bardzo rzadkich przypadkach, przeniesienie zakażenia na osobę mającą bliski kontakt. |
| 4 | Niewielkie skupiska o ograniczonej transmisji z człowieka na człowieka, ale rozprzestrzenianie się jest silnie zlokalizowane, co sugeruje, że wirus nie jest dobrze przystosowany do ludzi. |
| 5 | Większe skupiska, ale rozprzestrzenianie się z człowieka na człowieka nadal ma charakter lokalny, co sugeruje, że wirus jest coraz lepiej przystosowany do ludzi, choć może jeszcze nie być w pełni zaraźliwy (znaczne ryzyko pandemii). |

OKRES PANDEMII

- | | |
|---|---|
| 6 | Faza pandemii: zwiększona i utrzymująca się transmisja w populacji ogólnej. |
|---|---|

DYSKWALIFIKACJA
DAWCÓW

TESTOWANIE

INAKTYWACJA CZYNNIKÓW
CHOROBOTWÓRCZYCH

i osocza w wielu krajach na całym świecie (inaktywowane krwinki płytkowe 100% m.in. Francja, Belgia, Szwajcaria, Austria, Luksemburg, Islandia, Słowenia, powyżej 70% Kanada, USA; Polska 12.70% płytki; osocze 24.73%¹⁰).

W przeszłości działania na rzecz ochrony KKP i innych preparatów krwiopochodnych przed zagrożeniami związanymi z chorobami zakaźnymi opierały się na metodach i technologiach badań laboratoryjnych. Badania przyczyniły się wprawdzie do znacznego zmniejszenia ryzyka poważnych zagrożeń wirusowych w zasobach krwi na całym świecie, ale nawet najbardziej czułe platformy testowe nie są w stanie wykryć niskich poziomów zanieczyszczenia krwi. Technologie PIT umożliwiają niwelację „ryzyka resztkowego” i zapewniają dodatkową ochronę przed zagrożeniami chorobotwórczymi, dla których nie ma dostępnych testów lub testy nie są rutynowo stosowane.

Obserwowane zmiany w występowaniu czynników chorobotwórczych, a także zwiększona mobilność społeczna sprawiają, że rośnie znaczenie technologii stosowanych w inaktywacji czynników chorobotwórczych w procesie zabezpieczenia zasobów krwi i jej składników. Z tak przygotowanych preparatów krwi oraz ich składników korzystać powinny szczególnie wrażliwe grupy pacjentów, m.in. pacjenci pediatryczni, chorzy onkologicznie, ze schorzeniami hematologicznymi. Obecnie do inaktywacji czynników chorobotwórczych w płytkach krwi oraz osoczu stosuje się różnorodne rozwiązania i technologie inaktywacji patogenów (PIT). W zabezpieczaniu krwi stosuje się m.in.:

- reakcję fotochemiczną amotosalenu (S-59) i światła ultrafioletowego A (UVA)
 - stosowana jest do inaktywacji czynników chorobotwórczych w płytkach krwi i osoczu;
- mechanizm rozpuszczalnik/detergent – stosowany jest do inaktywacji czynników chorobotwórczych w osoczu;
- reakcje fotodynamiczne z udziałem:
 - o ryboflawiny (witamina B12) oraz światła UVA lub UVB – stosowana jest do inaktywacji czynników chorobotwórczych w płytkach krwi i osoczu;
 - o błękitu metylenowego ze światła widzialnego – stosowana jest do inaktywacji czynników chorobotwórczych w osoczu.

Każdy ze wskazanych mechanizmów inaktywacji czynników chorobotwórczych (PIT) ma własną specyfikę i zastosowanie. Dla przykładu technologia

amotosalen/UVA wykorzystuje amotosalen w połączeniu ze światłem UVA do namierzenia kwasów nukleinowych, podczas gdy systemy oparte na błękitie metylenowym i ryboflawinie/UV wykorzystują do inaktywacji czynników chorobotwórczych związki fotouczulające i określone długości fal świetlnych. Metoda rozpuszczalnik/detergent rozbija błony lipidowe, dzięki czemu jest szczególnie skuteczna w inaktywacji wirusów otoczkowych¹¹.

Każda z tych metod ma zarówno zalety, jak również ograniczenia. Błękit metylenowy jest metodą niedrogą i łatwą w użyciu, ale może mieć ograniczoną skuteczność wobec wirusów bezotoczkowych. Dla odmiany technologia amotosalen/UVA jest skuteczna przeciwko szerokiej grupie czynników chorobotwórczych, ale z drugiej strony wymaga specjalistycznego sprzętu do naświetlania i odczynników. W przypadku wykorzystania ryboflawiny/UV otrzymujemy wysoki poziom bezpieczeństwa inaktywowanych preparatów krwi, ale jednocześnie wymaga ona precyzyjnego dozowania i ekspozycji na światło. Metoda rozpuszczalnik/detergent okazuje się być skuteczną wobec wirusów otoczkowych, ale wykazuje ograniczenia wobec wirusów bezotoczkowych i niektórych pasożytów.¹²

Skuteczność technologii PIT znacznie różni się w zależności od rodzaju czynnika chorobotwórczego. Systemy amotosalen/UVA i ryboflawina/UV są co do zasady skuteczne przeciwko szerokiej gamie wirusów, bakterii i pasożytów, ale ich efektywność może się różnić w zależności od konkretnego organizmu. Metody rozpuszczalnik/detergent wyróżniają się na tle wirusów otoczkowych, ale nie radzą sobie z wirusami bezotoczkowymi. Badania wykazały, że zdolność inaktywacji czynników chorobotwórczych mierzona na podstawie sterylności końcowej jest różna dla różnych zatwierdzonych technologii¹³. Dla przykładu w badaniu przeprowadzonym w 2021 roku przez McDonald et al. porównano możliwości inaktywacji płytek krwi w dwóch dostępnych na rynku systemach: amotosalen/UVA i ryboflawina/UV. Oba systemy wykazały wysoki poziom inaktywacji w dniu wykonania procedury, ale płytki krwi inaktywowane przy użyciu systemu ryboflawina/UV wykazały znaczny ponowny wzrost 9 z 10 gatunków bakterii pod koniec siedmiodniowego terminu ważności, które mogą wynikać z różnic w mechanizmach działania systemów.¹⁴

¹¹ Liu H, Wang X. Pathogen reduction technology for blood component: A promising solution for prevention of emerging infectious disease and bacterial contamination in blood transfusion services. *J Photochem Photobiol.* 2021;8. doi:10.1016/j.jpap.2021.100079

¹² Klein HG, Bryant BJ. Pathogen-reduction methods: advantages and limits. *ISBT Sci Ser.* 2009;4(1):154-160. doi:10.1111/j.1751-2824.2009.01224.x

¹³ Estcourt L. Pathogen-Reduced Platelets for the Prevention of Bleeding.

¹⁴ McDonald CP, Bearne J, Aplin K, Sawicka D. Assessing the inactivation capabilities of two commercially available platelet component pathogen inactivation systems: effectiveness at end of shelf life. *Vox Sang.* Published online 2021. doi:10.1111/vox.13040

Wybór technologii PIT powinien uwzględniać różnice w skuteczności klinicznej przetaczanych składników krwi, zaobserwowane w badaniach. Skuteczność kliniczną płytek krwi można oceniać na podstawie ich skuteczności hemostatycznej lub na podstawie badań stosowania składników (najlepiej w rutynowej praktyce klinicznej). W badaniach austriackich i szwajcarskich po rutynowym wprowadzeniu inaktywowanych płytek krwi metodą amotosalen/UVA jako standardu opieki wykazano, że KKP inaktywowane za pomocą PIT były porównywalne do konwencjonalnych KKP^{15, 16}.

Jedną z największych prac, podsumowującą randomizowane kontrolowane badania kliniczne – metaanaliza Cid et al., obejmująca technologie PIT w postaci systemów amotosalen/UVA i ryboflawina/UV, wykazała, że płytki krwi inaktywowane systemami amotosalen/UVA lub ryboflawina/UV mają porównywalne profile bezpieczeństwa i skuteczności do konwencjonalnych płytek. Jednakże tylko płytki krwi poddane działaniu metody amotosalen/UVA nie zwiększały liczby krwawień \geq II stopnia, zachowując skuteczność hemostatyczną, podczas gdy płytki krwi poddane działaniu ryboflawina/UV wykazały jej obniżoną skuteczność¹⁷.

Pacjenci, którzy otrzymali płytki krwi inaktywowane systemem amotosalen/UVA, mieli niższą śmiertelność w porównaniu do tych, którzy otrzymali konwencjonalne płytki krwi. Może to wynikać ze zmniejszenia potencjału zapalnego dzięki inaktywacji białych krwinek. Ostatnia analiza w USA wykazała również, że ryzyko wspomaganej wentylacji mechanicznej z powodu dysfunkcji płuc zmniejszyło się o 50% u pacjentów leczonych przeciwnowotworowo, którzy otrzymali płytki krwi inaktywowane systemem amotosalen/UVA, w porównaniu do tych, którzy otrzymali nieinaktywowane płytki¹⁸.

Inaktywacja osocza jest coraz szerzej implementowana w krajach europejskich i innych częściach świata jako metoda proaktywnego zapewniania bezpieczeństwa osocza terapeutycznego oraz krioprecypitatu, z uwagi na czynniki chorobotwórcze i ryzyka omawiane powyżej (bakterie, znane i nowe czynniki chorobotwórcze, zawęzenie okienka diagnostycznego, zmniejszenie niepożądanych reakcji poprzetoczeniowych). Istotnym jest, aby technologia inaktywacji zachowywała parametry jakościowe osocza, jak najmniej wpły-

¹⁵ Amato M, Schennach H, Astl M, et al. Impact of platelet pathogen inactivation on blood component utilization and patient safety in a large Austrian Regional Medical Centre. *Vox Sang.* 2016;112(1):47-55. doi:10.1111/vox.12456

¹⁶ Jutzi M, Mansouri Taleghani B, Ruesch M, Amsler L, Buser A. Nationwide Implementation of Pathogen Inactivation for All Platelet Concentrates in Switzerland. *Transfus Med Hemother.* 2018;45(3):151-156. doi:10.1159/000489900

¹⁷ Cid J, Charry P, Lozano M. Therapeutic efficacy and safety of pathogen-reduced platelet components: Results of a meta-analysis of randomized controlled trials. *Vox Sang.* Published online 2024. doi:10.1111/vox.13573

¹⁸ Wheeler AP, Snyder EL, Refaai M, et al. Acute pulmonary injury in hematology patients supported with pathogen-reduced and conventional platelet components. *Blood Adv.* 2024;8(9):2290-2299. doi:10.1182/bloodadvances.2023012425

wając na ten składnik krwi. Różnice w mechanizmach działania mają wpływ na jakość osocza.

Najszerzym spektrum inaktywacji oraz dobrze udokumentowanymi badaniami klinicznymi, a także danymi z krajowych systemów czuwania nad bezpieczeństwem krwi, wyróżnia się metoda amotosalen/UVA w zakresie inaktywacji osocza^{19, 20, 21, 22}. Bardzo dobra jakość osocza inaktywowanego została potwierdzona w wielu badaniach klinicznych zastosowania terapeutycznej wymiany osocza w TTP^{23, 24}, gdzie płynem zastępczym było inaktywowane osocze metodą amotosalen/UVA. Potwierdziło to bardzo dobry profil bezpieczeństwa i brak istotnych statystycznie różnic skuteczności w porównaniu z osoczem nieinaktywowanym lub lepszą skuteczność w porównaniu z osoczem przygotowanym metodą rozpuszczalnik/detergent²⁵.

Wykorzystanie technologii PIT jest nieodzowną częścią procesu zapewnienia bezpieczeństwa płytek krwi oraz osocza. Istniejące protokoły postępowania związane z zagrożeniami chorobami zakaźnymi zmniejszają ryzyko m.in. zakażenia wirusem HIV, ale jednocześnie bardzo czułe platformy testowe nie gwarantują wykrycia wszystkich zagrożeń wynikających z zanieczyszczenia krwi²⁶. Stanem idealnym byłaby sytuacja, w której centra krwiodawstwa wykorzystywałyby w celu osiągnięcia najwyższego możliwego poziomu bezpieczeństwa wszystkie trzy środki bezpieczeństwa: dys-

¹⁹ Bubiński M. et al. Plasma pooling in combination with amotosalen/UVA pathogen inactivation to increase standardisation and safety of therapeutic plasma units *Transfus Med.* 2021 Apr;31(2):136-141. doi: 10.1111/tme.12763.

²⁰ Ravanat C, Dupuis A, Marpoux N, et al. In vitro quality of amotosalen-UVA pathogen-inactivated mini-pool plasma prepared from whole blood stored overnight. *Vox Sang.* 2018;113:622-631.

²¹ Cazenave JP *Transfusion.* 2010 Jun;50(6):1210-9. doi: 10.1111/j.1537-2995.2009.02579.x. An active hemovigilance program characterizing the safety profile of 7483 transfusions with plasma components prepared with amotosalen and UVA photochemical treatment

²² Bost V, Chavarin P, Boussoulade F, Fabrigli P, Chabre C, Benamara H, et al. Independent evaluation of tolerance of therapeutic plasma inactivated by amotosalen- HCl-UVA (Intercept™) over a 5-year period of extensive delivery. *Vox Sang* 2015;109:414-6.

²³ Guignier C, Benamara A, Oriol P, Coppo P, Mariat C, Garraud O. Amotosalen-inactivated plasma is as equally well tolerated as quarantine plasma in patients undergoing large volume therapeutic plasma exchange. *Transfus Clin Biol* 2018;25:73-7.

²⁴ Herbrecht R, Ojeda-Uribe M, Kientz D, Fohrer C, Bohbot A, Hirschberger O, et al. Characterization of efficacy and safety of pathogen inactivated and quarantine plasma in routine use for treatment of acquired immune thrombotic thrombocytopenic purpura. *Vox Sang* 2018(May (21)). <https://doi.org/10.1111/vox.12663>.

²⁵ Garraud O. et al Amotosalen-inactivated fresh frozen plasma is comparable to solventdetergent inactivated plasma to treat thrombotic thrombocytopenic purpura *Transfus Apher Sci.*2019 Dec;58(6):102665. doi: 10.1016/j.transci.2019.10.007.

²⁶ Busch MP, Bloch EM, Kleinman S. Prevention of transfusion-transmitted infections. *Blood.* 2019;133(17):1854-1864. doi:10.1182/BLOOD-2018-11-833996

kwalifikacje dawców, badania przesiewowe oraz inaktywację czynników zakaźnych za pomocą PIT. Ta ostatnia metoda zaliczana jest do proaktywnych strategii istotnych z punktu widzenia większej mobilności dawców, a także zmian klimatycznych, które niosą ze sobą coraz częściej stwierdzane na terenie Europy ogniska m.in. wirusa Zachodniego Nilu, czy innych zakaźnych patogenów.

Zgodnie z wytycznymi Europejskiej Dyrekcji ds. Jakości Środków Leczniczych (EDQM) oraz Światowej Organizacji Zdrowia (WHO) państwa członkowskie powinny proaktywnie chronić zasoby krwi przed kolejnymi potencjalnymi pandemiemi. Jednocześnie Europejskie Centrum ds. Zapobiegania i Kontroli Chorób (ECDC) zaleca krajom UE strategiczne wdrożenie technologii PIT w wybranych centrach krwiodawstwa, aby umożliwić szybkie zwiększenie skali w przypadku wystąpienia poważnej epidemii. Technologie PIT zapewniają wczesną i szeroką ochronę we wszystkich 6 fazach pandemii określonych przez WHO²⁷. Z perspektywy pacjentów hematologicznych bardzo istotnym jest podejmowanie wszelkich działań edukacyjnych na rzecz promowania bezpieczeństwa krwi i jej składników, a co za tym idzie, otwarcia dyskusji w dążeniu zwiększenia możliwości wykorzystania składników inaktywowanych w jak najbardziej efektywnym zabezpieczeniu terapii najbardziej wrażliwych grup pacjentów w Polsce.



HEMATOONKOLOGICZNI
STOWARZYSZENIE CHORYCH
NA NOWOTWORY KRWI I ICH BLISKICH

STOWARZYSZENIE HEMATOONKOLOGICZNI jest organizacją łączącą pacjentów z chorobami hematologicznymi. Powstało w 2019 roku, działa dla i w imieniu chorych zmagających się z nowotworami krwi. Stanowi wsparcie, bazę wiedzy, a także oparcie dla pacjentów oraz ich bliskich.



FUNDACJA PER HUMANUS to pozarządowa organizacja, która powstała w 2022 roku. Jednym z jej głównych celów jest wsparcie i bycie blisko drugiego człowieka. Jako priorytet stawia sobie m.in. ochronę i promocję zdrowia wśród dzieci, młodzieży i dorosłych, a także budowanie współpracy i komunikacji pomiędzy pacjentami, rodzinami osób chorych, środowiskiem medycznym, ekspertami, administracją państwową, samorządami i mediami.



FUNDACJA RZECZNICZY ZDROWIA to pozarządowa organizacja, której nadrzędnym celem jest wspieranie działań na rzecz zapewnienia właściwej dostępności i jakości usług w obszarze ochrony zdrowia. Za cel działalności stawia sobie budowanie świadomości społecznej oraz rozwój kompetencji zdrowotnych społeczeństwa. Jej priorytetem jest inicjowanie i prowadzenie debaty publicznej w oparciu o rzetelne informacje i uwzględniającej szerokie grono interesariuszy.

Raport powstał przy wsparciu firm:

abbvie

AMGEN

AstraZeneca 

Roche

sanofi

SERVIER 

Takeda