

Pacjenci i eksperci: Polska ma modelowy system leczenia hemofilii. Trzeba go rozwijać

Polski system leczenia chorych na hemofilię zapewnia bezpieczeństwo oraz dostęp do leków w całym kraju – chwalą go pacjenci i eksperci, a także organizacje międzynarodowe. – Dzięki właściwej organizacji leczenia pacjenci mogą normalnie żyć, pracować, rozwijać pasje, a często wręcz zapomnieć o chorobie – podkreślają eksperci i pacjenci z okazji przypadającego 17 kwietnia Światowego Dnia Chorych na Hemofilię.

– Leczenie chorych na hemofilię w ostatnich latach zmieniło się diametralnie. Jeden z moich pacjentów zdobywa medale na mistrzostwach Polski w pływaniu, bije rekordy Polski. Inni jeżdżą po świecie, uprawiają sport. Nie mają bariery, że „z powodu hemofilii muszą siedzieć w domu”. World Federation of Hemophilia (WFH) podkreśla, że powinniśmy zapewnić kompleksową opiekę i my ją zapewniamy: nie tylko podanie leku, ale też rehabilitację, konsultacje z innymi specjalistami, jeśli to jest konieczne – podkreśla prof. Paweł Łaguna, kierownik Kliniki Onkologii, Hematologii Dziecięcej, Transplantologii Klinicznej i Pediatrii WUM i przewodniczący Rady Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne.

Długość życia chorych na hemofilię w Polsce nie odbiega obecnie od długości życia osób zdrowych. Pacjenci, którzy od urodzenia są objęci leczeniem profilaktycznym, mogą żyć aktywnie, a nawet uprawiać sport. To zasługa możliwości leczenia profilaktycznego i bardzo dobrej organizacji leczenia, którą zapewnia Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne.

Leczenie: Podstawą jest profilaktyka

W Polsce na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne choruje ok. 6 tys. osób. W wyniku niedoboru czynników krzepnięcia – VIII (hemofilia A) lub IX (hemofilia B) – łatwo dochodzi do krwawień (wylewów). W przypadku ciężkiej postaci hemofilii krwawienia wewnętrzne do stawów i mięśni mogą pojawiać się także bez uchwytnej przyczyny. Gdy się powtarzają, prowadzi to do niszczenia stawów i postępującej artropatii. Niektóre krwawienia mogą być wręcz groźne dla życia, dlatego trzeba jak najszybciej podać czynnik krzepnięcia.

Podstawową formą leczenia hemofilii jest obecnie **leczenie profilaktyczne**, chroniące przed krwawieniami. – *Mamy leczyć tak, żeby jakość życia była porównywalna z jakością życia osób zdrowych* – zaznacza prof. Łaguna. W Polsce leczenie hemofilii opiera się na dwóch programach. Pierwszy to program profilaktyczny dla dzieci z hemofilią A i B, drugi to Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne. – *Zapewnia on dorosłym profilaktykę, a dzieciom i dorosłym leczenie w przypadku krwawienia czy zabiegów operacyjnych. Obejmuje pacjentów ze wszystkimi skazami krwotocznymi, również takimi, które występują bardzo rzadko; nie tylko ze skazami osocзовymi, ale także płytkowymi, np. trombastenią Glanzmanna* – wyjaśnia prof. Paweł Łaguna.

Bezpieczeństwo w przypadku krwawień

Hemofilia jest chorobą nieprzewidywalną, dlatego niekiedy – mimo stosowania leczenia profilaktycznego – może wystąpić krwawienie. Zdarzają się też sytuacje nieprzewidywalne, jak wypadek, uraz: wtedy konieczne jest jak najszybsze podanie czynnika np. na szpitalnym oddziale ratunkowym (SOR), w którym znajdzie się pacjent. Intensywne leczenie czynnikiem krzepnięcia jest też konieczne przed operacją, by zabezpieczyć pacjenta przed krwawieniem.

– Chorzy na hemofilię są na takie sytuacje zabezpieczeni właśnie dzięki Narodowemu Programowi, który zapewnia ciągłość i dostępność leczenia, również w sytuacjach nagłych. Gwarantuje on poczucie bezpieczeństwa: jeśli zdarzy się wypadek, w każdej jednostce systemu ochrony zdrowia można prowadzić leczenie ratujące życie. Zapewniona jest dostępność i odpowiednie ilości leków do leczenia krwawień czy przeprowadzania zabiegów operacyjnych – mówi Bogdan Gajewski, prezes Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię, największej organizacji zrzeszającej chorych na hemofilię w Polsce.

Organizacja leczenia w Polsce, oparta na Narodowym Programie, została uznana przez Cesara Garrido, prezydenta World Federation of Hemophilia (WFH), za **wzorcowy model leczenia**. *– Ocena prezydenta WFH jest bardzo ważna, ponieważ zna funkcjonowanie systemów leczenia hemofilii na całym świecie. WFH bardzo wysoko ocenia rozwiązania obecne w Polsce* – dodaje Bogdan Gajewski.

Narodowy Program zapewnia kompleksową opiekę nad pacjentem

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne zapewnia nie tylko dostęp do leków, ale też rozwój ośrodków leczenia hemofilii, edukację lekarzy, fizjoterapeutów, pielęgniarek, dostawy domowe leków dla pacjentów najbardziej potrzebujących, a także przewiduje rozwój nowych systemów cyfrowych, w tym systemu e-Hemofilia.

– Sytuacja chorych na hemofilię w Polsce bardzo się poprawiła w ostatnim czasie – potwierdza dr hab. Andrzej Mital z Kliniki Hematologii, Transfuzjologii i Terapii Komórkowych Gdańskiego Uniwersytetu Medycznego. – Do naszego ośrodka przychodzą pacjenci po zakończeniu leczenia pediatrycznego. To zdrowi młodzi mężczyźni, bez artropatii, co w przeszłości nie miało miejsca. W naszym ośrodku mają opiekę nie tylko hematologa, ale też innych specjalistów, w tym fizjoterapeuty – dodaje.

Ponieważ długość życia pacjentów z hemofilią nie odbiega już od długości życia osób zdrowych, to dotyczą ich też choroby cywilizacyjne, a czasem konieczność przeprowadzenia operacji np. z przyczyn onkologicznych. *– W takim przypadku ośrodek leczenia hemofilii współpracuje ze szpitalem, który leczy pacjenta. Podpowiadamy, jak zabezpieczyć pacjenta przed krwawieniem w czasie operacji* – zaznacza prof. Maria Dawidziak-Podolak, przewodnicząca Grupy ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologicznego i Transfuzjologicznego.

Wyraźnie poprawiły się też możliwości rehabilitacji chorych na hemofilię: to również w dużej mierze zasługa funkcjonowania Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię, w którym zapewniono m.in. **szkolenia dla fizjoterapeutów**. – *Początkowo było niewiele osób zainteresowanych nauką fizjoterapii u chorych na hemofilię, obecnie zainteresowanie jest bardzo duże. Przede wszystkim został obalony mit, że rehabilitacja chorych na hemofilię jest czymś bardzo trudnym. Jeśli pacjent jest dobrze zabezpieczony dzięki leczeniu profilaktycznemu, to można bez przeszkód prowadzić taką rehabilitację* – zaznacza dr Janusz Zawilski z Centrum Medycznego INTERLAB w Poznaniu.

W przypadku dzieci leczonych profilaktycznie opieka fizjoterapeuty obecnie zwykle ogranicza się do monitorowania stanu narządu ruchu przy pomocy testów rekomendowanych przez WFH oraz do doradztwa sportowego. – *Młodzi chłopcy dzięki dobrodziejstwu nowoczesnego leczenia profilaktycznego mogą pozwolić sobie w zasadzie na uprawianie wszystkich dyscyplin sportu: są osoby, które pływają, grają w piłkę nożną, uprawiają kolarstwo, choć oczywiście profilaktyka musi być prowadzona z głową* – zaznacza dr Zawilski. Dużo bardziej wymagająca jest rehabilitacja w przypadku osób po 40. roku życia, u których – z powodu nieodpowiedniego leczenia w przeszłości – rozwinęła się artropatia hemofilowa.

– *Ci pacjenci wymagają właściwie stałej rehabilitacji, a także konsultacji z ortopedą zaznajomionym ze specyfiką hemofilii, który ewentualnie podejmuje się zabiegów uszkodzonych stawów. Fizjoterapeuci chętnie podejmują pracę z dorosłymi pacjentami, choć jeszcze w tej kwestii nadal pozostaje wiele do zrobienia* – przyznaje dr Janusz Zawilski.

Narodowe Centrum Krwi – koordynuje organizację leczenia

Głównym koordynatorem Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne jest Narodowe Centrum Krwi (NCK), które pełni tę rolę w imieniu Ministra Zdrowia. – *System leczenia chorych na hemofilię opiera się przede wszystkim na dostępności: koncentratów czynników krzepnięcia, produktów leczniczych czy desmopresyny, ciągłości i koordynacji opieki. Wszystkie te funkcje realizuje Narodowy Program. **NCK codziennie monitoruje stany produktów leczniczych**; jeśli w którymś z Regionalnych Centrów Krwiodawstwa i Krwiolecznictwa (RCKiK) zmniejsza się ilość danego czynnika, to natychmiast są one sprowadzane z innego miejsca, gdzie jest ich większy zapas, żeby zapewnić pacjentom ciągły dostęp do leku i pełne bezpieczeństwo* – zaznacza dr n. ekon. Sebastian Twaróg, dyrektor Narodowego Centrum Krwi.

Ważnym elementem bezpieczeństwa jest **system depozytów**: – *W Polsce mamy 70 depozytów: 21 w RCKiK oraz 49 w szpitalach, na SOR-ach. To miejsca, gdzie są zlokalizowane specjalne zapasy koncentratów czynników krzepnięcia w odpowiedniej ilości przeznaczone do natychmiastowego użycia w sytuacjach nagłych. W przypadku nagłego wystąpienia krwawienia pacjent z hemofilią otrzyma niezwłocznie potrzebny preparat* – zaznacza dyrektor Twaróg.

NCK dba też o organizację nowoczesnego modelu dostaw domowych, który polega na dostarczaniu pacjentom produktów leczniczych bezpośrednio do miejsc ich zamieszkania. Ponadto NCK współpracuje merytorycznie przy pracach dotyczących systemu budowanego przez Centrum e-Zdrowie: systemu e-Hemofilia, którego powstanie przyczyni się do

zwiększenia bezpieczeństwa pacjentów, ponieważ będą w nim zapisane wszystkie dane medyczne.

– W ramach Narodowego Programu został powołany zespół ekspertów, który przygotował wytyczne, mówiące o tym, jakie warunki powinien spełnić ośrodek, by móc ubiegać się o europejską certyfikację. Warto podkreślić, że przeprowadzone spotkania z kierownikami ośrodków leczenia hemofilii wskazują na duże zainteresowanie certyfikacją. Wobec tego należy się spodziewać, że za rok będzie więcej certyfikowanych ośrodków w Polsce

– zapewnia dyrektor Twaróg.

Dostęp do nowoczesnych leków w hemofilii

Ekspersi podkreślają, że zaopatrzenie w czynniki krzepnięcia w Polsce jest na bardzo wysokim poziomie. W ramach programu profilaktycznego dla dzieci obecnie jest możliwość wyboru stosowanego leczenia pomiędzy czynnikami krzepnięcia, lekiem ultra długodziałającym a lekiem stosowanym podskórnie. Dorośli pacjenci, jeśli nie mają hemofilii powikłanej tzw. inhibitorem czynnika krzepnięcia, są na ogół leczeni tradycyjnymi czynnikami krzepnięcia. Rada Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię może podjąć decyzję o zastosowaniu najbardziej kosztownych i zaawansowanych leków.

– W pełni popieramy to, żeby pojawiały się nowe opcje leczenia, jednak przede wszystkim zależy nam na tym, żeby były one wprowadzane w ramach Narodowego Programu, który jest systemem zapewniającym nam bezpieczeństwo. Jesteśmy przeciw rozbijaniu Narodowego Programu i wprowadzaniu programów lekowych, gdyż żaden program lekowy nie funkcjonuje w taki sposób, by zapewnić pacjentom bezpieczeństwo w takim stopniu, jak to robi Narodowy Program, czyli **dostępność do leków w każdym miejscu Polski i w takiej ilości, by leczyć krwawienie czy przeprowadzać zabiegi chirurgiczne**. Programy lekowe nie są też tak elastyczne. Przerwanie leczenia, jego opóźnienie lub prowadzenie w sposób nieoptymalny może skutkować śmiercią pacjenta lub ciężkim kalectwem. Jesteśmy wdzięczni ekspertom, którzy przez lata rozwijali system leczenia hemofilii, a także wszystkim osobom, które obecnie odpowiadają za jego funkcjonowanie, w tym Narodowemu Centrum Krwi. Program działa na bardzo wysokim poziomie. Jako Polska możemy prezentować go na arenie międzynarodowej jako przykład skutecznego rozwiązania i być dumni, że stworzyliśmy system, który tak **skutecznie chroni życie osób chorych na hemofilię** – mówi prezes Bogdan Gajewski.



Polskie Stowarzyszenie
Chorych na Hemofilię

Informacja prasowa przygotowana przez Stowarzyszenie Dziennikarze Zdrowia. Autoryzowane wypowiedzi ekspertów pochodzą z konferencji prasowej pt. *Hemofilia w Polsce: między codziennością pacjentów a systemowymi rozwiązaniami*, zorganizowanej w związku ze Światowym Dniem Chorych na Hemofilię. Kwiecień 2026.