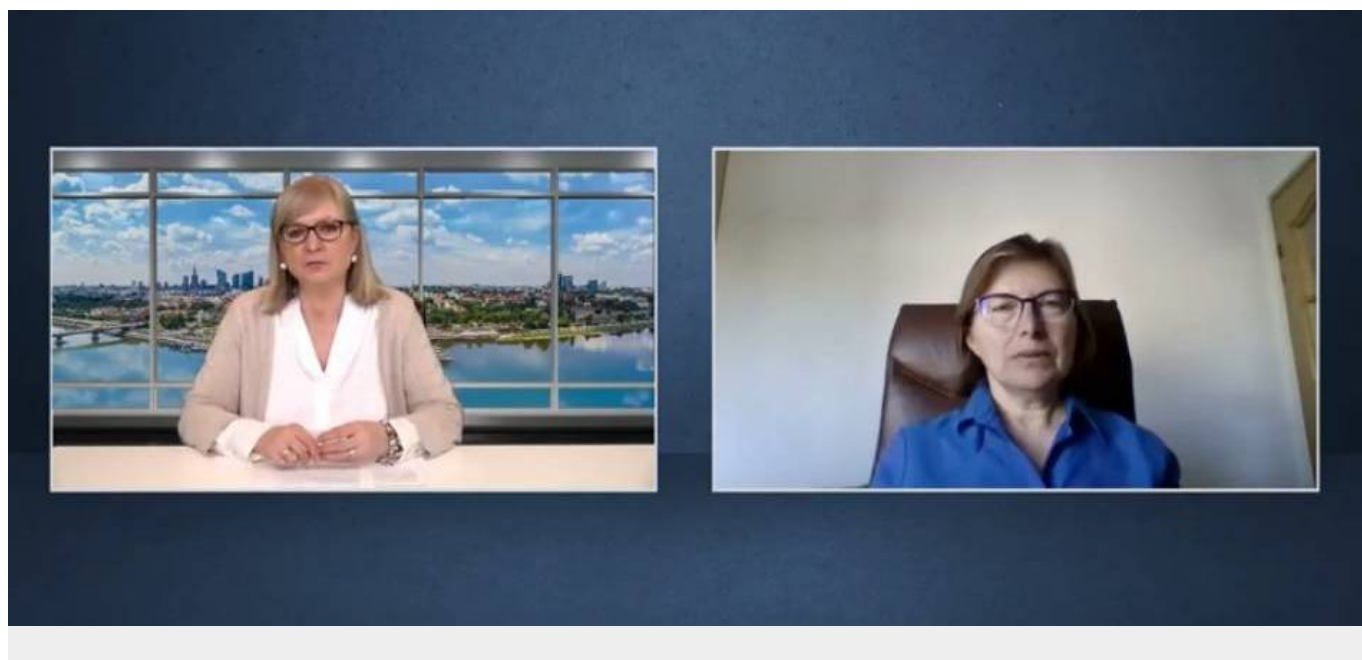




Iwona Schymalla, 2021-03-04 08:40

Mukowiscydoza może stać się chorobą przewlekłą dzieci, młodzieży i dorosłych



Gościem Iwony Schymalli jest prof. Dorota Sands, kierownik Centrum Leczenia Mukowiscydozy im. Dzieci Warszawy w Dziekanowie Leśnym, prezes Polskiego Towarzystwa Mukowiscydozy.

Ostatnie miesiące przyniosły bardzo dobre wiadomości dla pacjentów chorych na mukowiscydozę związane z dostępem do leczenia przyczynowego. Na ile to zmienia sytuację i życie pacjentów, poprawia jego jakość?

To wisienka na torcie, która sprawia, że smakuje on jak powinien. To długo oczekiwany przełom w leczeniu mukowiscydozy. Wydaje się, że w leczeniu objawowym zrobiliśmy już absolutnie wszystko co było możliwe jako środowisko, kadry, naukowcy i ja nie znam drugiej takiej jednostki chorobowej, gdzie udaje się tak znacząco przedłużyć życie, korzystając z wielodyscyplinarnego podejścia, ale ciągle leczenia objawowego. W tej chwili jesteśmy w stanie doprowadzić chorych do lat wczesnej dorosłości. Ale to wciąż za mało i nie satysfakcjonuje profesjonalistów ani pacjentów i ich rodzin, bliskich. Pojawienie się leku przyczynowego sprawia, że będzie możliwe stworzenie warunków do tego, aby mukowiscydoza stała się wreszcie jedną z

chorób przewlekłych, by dało się z nią żyć i funkcjonować, uczyć i pracować, zakładać rodzinę. I to jest to o czym jako środowisko marzyliśmy. Doszliśmy daleko, ale musimy przekroczyć jeszcze granicę bardzo młodej dorosłości do dorosłości poważnej. I dzięki lekom przyczynowym, jak wszystkie symulacje statystyczno-demograficzne pokazują, również wyniki stosowania tych leków w życiu, które absolutnie potwierdzają to co wiemy z dobrze prowadzonych badań klinicznych (też w nich braliśmy udział i okazję cieszyć się tymi wynikami i tą perspektywą, to jest jeszcze wspanialsze jak to w tym życiu można zastosować) i jesteśmy w zasadzie pewni, że to już jest przełom. Jest też oczywiście kwestia dostępności. To pierwszy lek dostępny, który z uwagi na rzadkość występowania mutacji tzw. bramkujących, jest rzeczywiście dla niewielkiej grupy chorych. Natomiast kombinacja potrójna, która jest już w ościennych krajach, dostępna jest w Europie, jest w trakcie rozpatrywania przez AOTMiT. Mamy nadzieję, że stanie się ona również dostępna dla naszych pacjentów. Będzie to dotyczyło 80-90 procent chorych, którzy mają przynajmniej tę jedną kopię najczęstszej mutacji F508del. I to wtedy będzie przełom i wejście na drogę choroby przewlekłej dla polskich chorych z mukowiscydozą.

Jakie systemowe wyzwania widzi Pani teraz, jeśli chodzi o opiekę nad pacjentami z mukowiscydozą? Bo jeśli chodzi o opiekę nad młodymi pacjentami, dziećmi to Państwa ośrodek jest tu absolutnie wiodącym w Europie wzorcem dla organizowania kompleksowej opieki nad pacjentem z mukowiscydozą. Chyba głównym wyzwaniem jest właśnie opieka nad dorosłym pacjentem?

Tak, bo jako środowisko pulmonologów pediatrycznych odnosimy sukces przeprowadzenia pacjenta przez okres dzieciństwa, nastoletniości. Ale dochodzimy do 18 lat i chorzy przy takich perspektywach muszą wchodzić w dalsze życie i jako chorzy przewlekli mieć adekwatną, podobną opiekę dla dorosłych. Rzeczywiście brakuje ośrodków dla dorosłych. I w zasadzie jest stworzony model, gdzie poruszane są dwie kwestie: wyodrębnienia wielodyscyplinarnych zespołów w ośrodkach dla dorosłych oraz pokonanie barier architektonicznych. Ponieważ mukowiscydoza to chroniczna praca w warunkach pandemii, z uwagi na to, że ci chorzy mogą sobie bardzo łatwo przekazać florę bakteryjną, której są nosicielami, kolejnym chorym i w ten sposób doprowadzić do progresji choroby. Dlatego muszą mieć indywidualne sale, pokoje do krótkich pobytów jednodniowych, gdzie nie będą się stykali z całą poradnią i innymi chorymi. Interdyscyplinarny zespół więc, plus pokonanie bariery architektonicznej stworzą możliwości, aby mukowiscydoza była chorobą przewlekłą dzieci, młodzieży i dorosłych.