

OSOCZE RATUJE ŻYCIE

Leki z osocza ratują życie.
Co robić, by ich nie
brakowało?

Instytut „Pomnik-Centrum Zdrowia Dziecka”

7 października 2022 roku

Transmisja live

ORGANIZATORZY:



**Instytut Rozwoju
Spraw Społecznych**

PROGRAM KONFERENCJI:

11:00 – 11:15 Przemówienia otwierające:

- **dr n. med. Marek Migdał**, Dyrektor Instytutu „Pomnik-Centrum Zdrowia Dziecka” w Warszawie;
- **Małgorzata Bogusz**, Prezes Instytutu Rozwoju Spraw Społecznych, Członek Europejskiego Komitetu Ekonomiczno-Społecznego.

11:15 – 12:30 Panel I: Osocze i leki osoczopochodne – wyzwania związane z dostępnością i zakresem zastosowań medycznych.

Moderator: Bartosz Kwiatek, dziennikarz Polsat News

- **Keynote speech: prof. dr hab. n. med. Karina Jahnz-Różyk**, Konsultant krajowa w dziedzinie alergologii, Kierownik Kliniki Chorób Wewnętrznych, Pneumonologii, Alergologii i Immunologii Klinicznej Wojskowego Instytutu Medycznego

PANELIŚCI:

- **Grzegorz Błazewicz**, Zastępca Rzecznika Praw Pacjenta;
- **prof. dr hab. n. med. Karina Jahnz-Różyk**, Konsultant krajowa w dziedzinie alergologii, Kierownik Kliniki Chorób Wewnętrznych, Pneumonologii, Alergologii i Immunologii Klinicznej Wojskowego Instytutu Medycznego w Warszawie;
- **prof. UMK dr hab. n. med. Sylwia Kołtan**, Konsultant krajowa w dziedzinie immunologii klinicznej, Katedra Pediatrii, Hematologii i Onkologii Collegium Medicum UMK Szpitala Uniwersyteckiego w Bydgoszczy;
- **prof. IK dr hab. n. med. Cezary Kęпка**, Zastępca Dyrektora ds. Nauki Narodowego Instytutu Kardiologii w Warszawie;
- **prof. IPCZD dr hab. n. med. Małgorzata Pac**, Kierownik Kliniki Immunologii Instytutu „Pomnik-Centrum Zdrowia Dziecka” w Warszawie;
- **Tomasz Kluszczyński**, współautor „Zielonej Księgi” pt. „Wartość odpowiedniego stosowania immunoglobulin”, autor „Białej Księgi” pt. „Społeczno-ekonomiczna wartość leków osoczopochodnych – perspektywa europejska”.

12:30 – 13:15 Przerwa kawowa

13:15 – 14:30 Panel II: Jak zwiększyć pobór osocza? Zróżnicowanie systemów poboru osocza – doświadczenia, dobre praktyki i efektywność.

Moderator: Bartosz Kwiatek, dziennikarz Polsat News

- **Keynote speech: Maarten Van Baelen**, Dyrektor Wykonawczy, Plasma Protein Therapeutics Association (PPTA)

PANELIŚCI:

- **dr hab. n. med. Radosław Sierpiński**, Prezes Agencji Badań Medycznych Pełnomocnik Prezesa Rady Ministrów ds. Rozwoju Sektora Biotechnologii i Niezależności Polski w Zakresie Produktów Krwiopochodnych;
- **dr n. med. Tomasz Latos**, Przewodniczący Sejmowej Komisji Zdrowia, Poseł na Sejm RP;
- **prof. dr hab. n. med. Piotr Kaliciński**, Kierownik Kliniki Chirurgii Dziecięcej i Transplantacji Narządów Instytutu „Pomnik-Centrum Zdrowia Dziecka” w Warszawie;
- **Maarten Van Baelen**, Dyrektor Wykonawczy, Plasma Protein Therapeutics Association (PPTA);
- **Kamil Sobolewski**, Główny Ekonomista, Pracodawcy RP;
- **Stanisław Maćkowiak**, Prezes Federacji Pacjentów Polskich;
- **dr Alice Simonetti**, Kierownik ds. projektów międzynarodowych i europejskich – Włoskie Stowarzyszenie Krwiodawców (AVIS);
- **Adrian Goretzki**, Prezes Fundacji Instytut Edukacji Zdrowotnej.

14:30 – 15:15 Obiad roboczy

Leki z osocza ratują życie. Co robić, by ich nie brakowało?

Leki z osocza, będącego jednym ze składników krwi, to jedyna gwarancja nie tylko zdrowia, ale i życia dla setek tysięcy ludzi, a zapotrzebowanie na nie rośnie. W ostatnich latach byliśmy świadkami kryzysów z dostępem do tych terapii. Jedyny sposób na to, by nie dochodziło do dramatu, jest zwiększenie dawstwa osocza oraz możliwości jego przetwarzania. To kierunek, w którym Polska chce zmierzać w najbliższych latach.

O tym wszystkim była mowa podczas międzynarodowej konferencji „Osocze ratuje życie” zorganizowanej 7 października br. w Instytucie – „Pomnik Centrum Zdrowia Dziecka” przez tę placówkę oraz Instytut Rozwoju Spraw Społecznych. Wzięli w niej udział m.in. naukowcy, klinicyści, przedstawiciele pacjentów oraz instytucji publicznych. Wydarzenie było częścią jubileuszowego 10. Międzynarodowego Tygodnia Świadomości o Osoczu.

Według dr. Radosława Sierpińskiego, prezesa Agencji Badań Medycznych zapewnienie potrzebującym leków produkowanych z osocza to kwestia nie tylko bezpieczeństwa zdrowotnego, ale wręcz narodowego. Leki te mają bowiem coraz szersze zastosowanie, a jednocześnie w wielu wskazaniach nie mają żadnych zastępników.

Zastosowanie leków z osocza

- Pacjenci po transplantacji narządów i tkanek;
- Pacjenci po operacjach kardiochirurgicznych i z ciężką niewydolnością serca;
- Konflikt serologiczny;
- Leczenie oparzeń i wstrząsów;
- Pierwotne niedobory odporności (PNO);
- Wtórne niedobory odporności;
- Skazy krwotoczne;
- Hemofilia;
- Szereg chorób rzadkich;
- Choroby hematoonkologiczne;
- Choroby neurologiczne.

Biorący udział w konferencji eksperci medyczni podkreślali, że powyższa lista nie wyczerpuje wszystkich wskazań, w których stosowane są leki osoczopochodne. Jak wyjaśniła prof. Małgorzata Pac, jeśli pacjent potrzebuje leku o działaniu immunomodulującym – istnieją możliwości jego zastąpienia. Jeśli jednak lek zastępuje białko czy białka, których organizm chorego nie wytwarza, nie da się leku produkowanego z osocza czymkolwiek zastąpić.

– To jedyna opcja terapeutyczna dla pacjentów z pierwotnymi niedoborami odporności (PNO). Nie mają alternatywy. Dla innych pacjentów są najbezpieczniejszą i najbardziej efektywną opcją leczenia, jak w chorobach neurologicznych – mówiła prof. Sylwia Kołtan z Collegium Medicum Szpitala Uniwersyteckiego w Bydgoszczy, krajowa konsultant w dziedzinie immunologii klinicznej.

Prof. Karina Jahnz-Różyk, krajowa konsultant w dziedzinie alergologii z Wojskowego Instytutu Medycznego podała, że jeśli chodzi tylko o grupę pacjentów z pierwotnymi (wrodzonymi) niedoborami odporności, obecnie w ramach programów lekowych lekami osoczopochodnymi w 2020 roku leczonych było 2351 chorych, natomiast liczba pacjentów, którzy otrzymywali te leki poza programami lekowymi wyniosła ponad 42 tysiące. W Europie pacjentów zmagających się tylko z PNO jest około 44 tysięcy.

Jednocześnie eksperci podkreślali, że trudno sobie wyobrazić pracę zaawansowanego oddziału bez dostępu do osocza i leków osoczopochodnych.

– W Centrum Zdrowia Dziecka tylko w ubiegłym roku zużyliśmy 190 tys. dawek osocza i 18 tys. gramów immunoglobulin – powiedział dr Marek Migdał, dyrektor CZD.

A prof. Piotr Kaliciński, chirurg i transplantolog z CZD podkreślił, że z punktu widzenia lekarza na oddziale szpitalnym podstawową potrzebą jest wypisanie zapotrzebowania na leki osoczopochodne w razie konieczności i niezwłoczne otrzymanie ich na taki wniosek.

Leki te dosłownie ratują życie. Tomasz Kluszczyński, autor białej książki „Społeczno-ekonomiczna wartość leków osoczopochodnych” wskazał, że zanim zostały wprowadzone do leczenia pierwotnych niedoborów odporności, przeżywalność tych chorych nie przekraczała 30 proc.; w hemofilii średnia długość życia wynosiła około 19 lat, a dziś jest to ponad 70 lat. Dziś ci pacjenci nie tylko żyją, ale kształcą się, pracują, zakładają rodziny.

Zapotrzebowanie rośnie

W czasie konferencji podkreślano, że stale i dynamicznie rośnie zapotrzebowanie na leki z osocza. Jak mówili eksperci, wynika to ze splotu kilku czynników.

- Coraz lepsza diagnostyka

Prof. Małgorzata Pac, kierująca Kliniką Immunologii w CZD wskazywała na przykład, że dzięki dostępowi do coraz lepszych narzędzi diagnostycznych częściej i wcześniej niż w latach ubiegłych stwierdza się choroby, w których terapia opiera się na lekach produkowanych z osocza.

- Postęp w leczeniu ciężkich chorób

W ostatnich latach coraz większe grupy pacjentów uzyskują skuteczne leczenie zaawansowanymi farmakoterapiami (np. w chorobach autoimmunologicznych, w hematologii itp.). Ratują życie, ale nie są one jednak wolne od skutków ubocznych i u pewnych grup pacjentów dochodzi do rozwoju wtórnych niedoborów odporności, w przypadku których trzeba sięgać po leki osoczopochodne.

- Rozszerzanie wskazań terapeutycznych stosowania leków osoczopochodnych

Dr Sierpiński zwrócił uwagę, że już prowadzone są prace naukowe nad stosowaniem leków pochodzących z osocza w terapii chorób neurodegeneracyjnych, a obecnie stosuje się je już w dermatologii w ciężkich chorobach skóry niejako poza wskazaniami rejestracyjnymi.

Deficyty i ryzyko dramatycznych sytuacji

Leki wytwarzane z osocza stanowią szczególny rodzaj farmaceutyków: wytwarza się je z ludzkich komórek. Czas od pobrania osocza do aplikacji gotowego leku potrzebującemu pacjentowi wynosi nawet 12 miesięcy – chodzi nie tylko o odpowiednie przetworzenie pozyskanych komórek, ale i dogłębne sprawdzenie ich bezpieczeństwa, aby nie zakazić chorych potencjalnymi patogenami dawców osocza.

Jednocześnie produkcja tych leków zależy przede wszystkim od dawstwa, przy czym – jak wyjaśniał Tomasz Kluszczyński – w sytuacji, jeśli osocze pobiera się z krwi pełnej, możliwe jest uzyskanie 200 ml od jednego dawcy, a jeśli w procesie plazmaferezy – nawet ponad 600 ml. Aby produkować leki, trzeba mieć zapewnioną całą siatkę dawców. Prof. Jahnz-Różyk wskazała, że tylko na roczną terapię jednego pacjenta z PNO potrzeba około 190 donacji osocza. Jak mówiono na konferencji, jeden dawca może oddawać osocze w Polsce nie częściej niż raz na dwa tygodnie (w procesie plazmaferezy).

Maarten Van Baelen, dyrektor wykonawczy PPTA (Plasma Protein Therapeutics Association) zwrócił uwagę, że z powodu ograniczeń w czasie pandemii dawstwo osocza spadło w Europie o około 14 proc., na czym ucierpiała produkcja leków, a zatem i pacjenci.

Deficyty leków osoczopochodnych zdarzają się. Jak mówił Adrian Goretzky, prezes Fundacji Instytut Edukacji Zdrowotnej, którego zdrowie i życie jest uzależnione od tych medykamentów, ostatnio do takiej sytuacji w Polsce doszło wiosną tego roku. Lekarze obecni na konferencji przyznali, że nie zdarzyło się, by leków osoczopochodnych całkowicie zabrakło, ale występowały niedobory. Prof. Kołtan mówiła, że dochodziło wtedy do racjonowania leków.

– Musieliśmy dawać mniejsze, suboptymalne dawki, osobiście szukałam ośrodków dla pacjentów, którzy w swoich ośrodkach nie mogli dostać leków – mówiła.

Widmo kolejnych kryzysów nie jest nierealne

– Najbardziej boję się, że w sytuacji niedoboru to my padniemy ich ofiarą, bo niejako jesteśmy „na końcu tej kolejki”, a mamy coraz więcej chorych, którzy potrzebują leków osoczopochodnych – mówił prof. Cezary Kępką, zastępca dyrektora ds. nauki Narodowego Instytutu Kardiologii.

Jego obawa wynika z tego, że kardiologia nie wiąże się w oczywisty sposób ze stosowaniem leków pochodzących z osocza, gdy tymczasem coraz częściej są one w tej dziedzinie z powodzeniem wykorzystywane.

Tomasz Kluszczyński mówił, że w kontekście potencjalnych deficytów leków przydałoby się zorganizowanie zespołów klinicystów z różnych dziedzin, którzy opracowaliby priorytety i zasady postępowania w takich sytuacjach. Zgadza się z nim prof. Kołtan, która uzupełniła, że na wzór dystrybucji szczepionek przeciwko COVID-19 należałoby stworzyć odpowiednie, solidarystyczne mechanizmy na poziomie ogólnoeuropejskim w sytuacji deficytu leków z osocza.

Konieczne zwiększenie poziomu dawstwa osocza

Uczestnicy konferencji podkreślali nierównomierny poziom zarówno dawstwa osocza, jak i jego frakcjonowania na terenie Europy. Tomasz Kluszczyński wskazał, że 40 proc. osocza pobieranego w Europie pochodzi z Niemiec. Ponadto na naszym kontynencie tylko cztery kraje mają „nadwyżki” pobieranego osocza (nie znaczy to, że nie jest ono wykorzystywane; wprost przeciwnie – zyskują na tym pacjenci z innych krajów; na dodatek, z przyczyn klinicznych warto, by osocze pochodziło od dawców z różnych regionów geograficznych – przyp. red.). Kraje z „nadwyżkami” pobieranego osocza to Niemcy, Austria, Węgry i Czechy. Jak podano na konferencji, w każdym z tych krajów system dawstwa jest publiczno-prywatny (działają np. prywatne ośrodki pobierania osocza). Przewidziane są niewielkie rekompensaty dla dawców za poświęcony czas i dojazd, ewentualnie dzień wolny od pracy.

Krajem, który obecnie podnosi poziom dawstwa osocza, są Włochy. dr Alice Simonetti z Włoskiego Stowarzyszenia Krwiodawców mówiła, że dawstwo zogniskowane jest wokół prężnych stowarzyszeń, które nie tylko grupują dawców, ale i promują ideę dawstwa osocza i pozyskują nowych.

Dyskutanci nie mieli wątpliwości, że poziom dawstwa osocza trzeba w Polsce zwiększyć. Powoływano się tu na przykład udanej promocji dawstwa komórek macierzystych ze szpiku – Polska jest obecnie jednym z potentatów europejskich, i nie tylko, w tej dziedzinie.

Będą zmiany

Podczas konferencji podniesiono, że nad zmianą regulacji związanych z dawstwem osocza oraz produkcją na jego bazie leków pracuje obecnie zarówno Parlament Europejski, jak i szereg instytucji i organów unijnych. Zmiany będą również w Polsce.

– W tej chwili przygotowujemy ustawę systemową, która zamieni starą ustawę o krwiodawstwie. Jest już prawie gotowa i wkrótce projekt trafi do konsultacji zewnętrznych. Jeśli wszystkie prace się powiedzą, możemy myśleć o wprowadzeniu tej ustawy w życie w połowie przyszłego roku – zapowiedział dr Sierpiński.

Jak wyjaśnił, projekt zawiera zapisy przewidujące zbudowanie zakładu frakcjonującego osocze (innymi słowy fabryki, która będzie wytwarzać leki osoczopochodne), ale w pierwszej kolejności odpowiedniego „biura”, które zajmie się pozyskiwaniem licencji i niezbędnego know-how do produkcji leków.

– Fabryka to widoczny, ale końcowy efekt. Wcześniej konieczne są prace, które umożliwią końcową produkcję – zaznaczył. Wyjaśnił, że budowę można by zacząć na początku 2024 roku.

Jednocześnie uczestnicy dyskusji wskazywali, że konieczne jest podniesienie świadomości dawstwa osocza i jego promocji, przy czym do ustalenia będą takie kwestie, jak organizacja pobierania osocza oraz ewentualne rekompensaty dla dawców.

– Nie wystarczy mieć fabrykę frakcjonowania osocza, ale trzeba mieć przede wszystkim osocze – podkreślił Tomasz Kluszczyński.

Dr Sierpiński wskazał, że jeśli zachować zasadę dwóch dni wolnego dla dawcy osocza za każdą donację, stworzyłoby to problemy dla pracodawców. Na ten sam problem zwrócił uwagę Kamil Sobolewski z Pracodawców RP, który wyliczył, że jeśli jeden dawca oddawałby osocze dwa razy w miesiącu, zyskiwałby dodatkowe ponad 40 dni urlopu.

– Ekwiwalent finansowy powinien być osiągalny. Zwrot kosztów dojazdu, rekompensata za poświęcony czas – mówił dr Sierpiński.

Tego rodzaju rozwiązania stosowane są w krajach o wysokim dawstwie osocza.

Stanisław Maćkowiak, prezes Federacji Pacjentów Polski, wyraził nadzieję, że tym razem uda się doprowadzić do takich zmian legislacyjnych, organizacyjnych i edukacyjnych, że Polska nie tylko będzie pozyskiwać więcej osocza, ale też produkować leki na jego bazie.

Fakty o osoczu i jego pobieraniu

Osocze to płynny składnik krwi, zawierający białka m.in. albuminy, immunoglobuliny (stosowane np. w zapobieganiu i leczeniu konfliktu serologicznego, zaburzeniach odporności, chorobach autoimmunologicznych) oraz czynniki krzepnięcia (stosowane w leczeniu skaz krwotocznych).

Jak pobiera się osocze w toku plazmaferezy:

- pobiera się osocze w ilości 650 ml,
- czas oddawania do 50 min,
- częstotliwość oddawania – nie częściej niż co 2 tygodnie,
- w ciągu roku można pobrać od jednego dawcy do 25 litrów osocza.
- osocze może oddać dawca, który już oddawał krew oraz stan jego żył umożliwi przeprowadzenie pobrania 650 ml osocza.

Osocze można też pobierać z krwi pełnej; wówczas jego objętość z jednej donacji to zaledwie ok. 200 ml a pobór jest możliwy tylko kilka razy w roku.

Justyna Wojteczek

