

## **Towarzystwa medyczne i organizacje pacjentów łączą siły w walce o wzrok**

Choroby oczu to nie tylko jaskra i zaćma. To również cała gama schorzeń o podłożu genetycznym lub cywilizacyjnym. Choć każde z nich dotyka stosunkowo niewielką liczbę osób, łącznie to problem kilkudziesięciu tysięcy Polaków. O sytuacji tych pacjentów, postęпах w nowoczesnych terapiach, ale też wyzwaniach stojących przed lekarzami i całym systemem ochrony zdrowia dyskutowano podczas panelu ekspertów „Łączymy się w walce o wzrok” zorganizowanego w ramach Kongresu Zdrowie Polaków 2020.

Gospodyni wydarzenia - Małgorzata Pacholec, Prezes Stowarzyszenia Retina AMD Polska, Dyrektor Instytutu Tyflogicznego Polskiego Związku Niewidomych, podsumowując ostatni rok, wymieniła sukcesy: skrócenie kolejek do planowanego zabiegu zaćmy czy bardzo dobrze działający program lekowy „Leczenie wysiękowej postaci AMD”. Zwróciła uwagę na przełom, jaki dokonał się w leczeniu schorzeń siatkówki oka uwarunkowanych genetycznie - nową terapię, która może uchronić, zwłaszcza dzieci, przed ślepotą. „Niestety polscy pacjenci nie mają do niej dostępu - to jest wyzwanie dla polskiej służby zdrowia na najbliższą przyszłość. Ogromne nadzieje budzi podpisana przez prezydenta ustawa o Funduszu Medycznym, który ma gwarantować pieniądze na leczenie rzadkich schorzeń uwarunkowanych genetycznie.” - dodała M. Pacholec.

Tematem przewodnim panelu była interdyscyplinarność w leczeniu schorzeń oka obejmująca współpracę lekarzy różnych specjalizacji medycznych, wspólne działania diagnostów molekularnych, a także zaangażowanie pacjentów.

Prof. dr hab. n. med. Lidia Gil, Kierownik Kliniki Hematologii i Transplantacji Szpiku Uniwersytetu Medycznego im. Karola Marcinkowskiego w Poznaniu, mówiąc o potrzebie silnej współpracy między lekarzami różnych specjalności w leczeniu chorób narządu wzroku podała za przykład zespół suchego oka. To dość częste schorzenie, u podłoża którego leży stan zapalny. Przewlekły stan zapalny, bez odpowiedniego leczenia, może prowadzić do uszkodzenia rogówki i poważnych problemów z widzeniem, aż do utraty wzroku. Zespół suchego oka przybiera szczególnie ostry przebieg, kiedy towarzyszy chorobom hematologicznym - chorobie przeszczep przeciwko gospodarzowi (GVHD), po przeszczepieniu allogenicznych komórek krwiotwórczych (HSCT) czy reumatologicznym, takim jak zespół Sjögrena (ZS) pierwotny i wtórny (związany m.in. z reumatoidalnym zapaleniem stawów - RZS). Zespół suchego oka, jak tłumaczyła prof. Gil, może wystąpić u pacjentów, po transplantacjach allogenicznych, czyli takich, kiedy podawane są komórki od dawcy. „W Polsce wykonuje się ok. 1 900 transplantacji rocznie, z czego ok. 700 z nich to przeszczepy allogeniczne, po których mogą wystąpić tego typu powikłania. Choroba przeszczep przeciwko gospodarzowi rzadko występuje u dzieci, znacznie częściej problem ten pojawia się u dorosłych. Szacuje się, że dotyczy ok. 600 pacjentów rocznie, a u połowy z nich rozwija się zespół suchego oka.” - przytoczyła dane. Diagnostyka i leczenie zespołu suchego oka stanowią wyzwanie dla lekarzy prowadzących. Niezwykle ważna jest współpraca okulisty z lekarzami innych specjalności. „Jako hematolog i transplantolog mogę zaproponować pacjentom tylko sztuczne łzy. Natomiast dalsze leczenie jest już w rękach okulisty, który może przepisać preparaty sterydowe lub cyklosporynę w kroplach, która jest doskonałym lekiem, natomiast obecnie w Polsce nie jest refundowana.” - mówiła ekspertka.

Prof. Gil zaznaczyła, że Polskie Towarzystwo Okulistyczne, Polskie Towarzystwo Reumatologiczne i Polskie Towarzystwo Hematologów i Transfuzjologów wydało rekomendacje dotyczące diagnostyki i leczenia zespołu suchego oka - pokazują one ścieżkę postępowania z pacjentami dotkniętymi tym

schorzeniem. „Rekomendacje te powinny trafić do wszystkich okulistów, by we właściwym momencie skierować pacjenta do ośrodka, który obejmie go kompleksową opieką.” - dodała prof. Gil.

Również prof. dr hab. n. med. Bożena Romanowska-Dixon, Prezes Elekt Polskiego Towarzystwa Okulistycznego, Kierownik Oddziału Klinicznego Kliniki Okulistyki i Onkologii Okulistycznej Szpitala Uniwersyteckiego w Krakowie, podkreślała wagę ścisłej współpracy interdyscyplinarnej dla dobra pacjentów z chorobami oczu. Jako przykład przytoczyła współpracę między okulistami i diabetologami: „Taka współpraca to podstawa efektywnego prowadzenia pacjenta cukrzycowego.” - podkreśliła profesor. Jest to szczególnie ważne, gdyż powikłania oczne są jednymi z najczęściej występujących w cukrzycy. „Pacjenci z cukrzycą stanowią ok. 5% populacji, dlatego absolutnie niezbędne jest utworzenie programu lekowego obejmującego leczenie powikłań ocznych cukrzycy: cukrzycowego obrzęku płamki i retinopatii cukrzycowej. Leki dedykowane w tych schorzeniach są zbyt drogie, by stosować je w ramach jednorodnych grup pacjentów, w związku z tym najczęściej stosuje się leczenie off label, czyli podaje się poza wskazaniami bewacyzumab, który jest skuteczny, ale nie zawsze tak bezpieczny i efektywny jak leki dedykowane, a najlepszą opiekę i dostęp do leczenia gwarantują programy lekowe.” - dodała profesor. „Według danych Narodowego Funduszu Zdrowia w zeszłym roku leczonych było około 700 pacjentów z tymi schorzeniami, a specjaliści oceniają, że powinno być ich 10 razy tyle - dodała Małgorzata Pacholec.

Prof. dr hab. n. med. Maciej Krawczyński, Kierownik Pracowni Poradnictwa Genetycznego w Chorobach Narządu Wzroku Uniwersytetu Medycznego im. Karola Marcinkowskiego w Poznaniu, zwrócił uwagę na przełom w dziedzinie leczenia genetycznie uwarunkowanych chorób siatkówki, który dokonał się właśnie dzięki ścisłej współpracy genetyków z okulistami. „W okulistyce za dziedziczenie chorób siatkówki oka odpowiada ok. 300 genów. Obecnie możemy badać dowolną liczbę genów w jednym teście i takie badania możemy przeprowadzać już w Polsce, dzięki czemu są tańsze, choć nadal bardzo kosztowne dla pacjenta, bo nie są finansowane ze środków publicznych.” - mówił prof. Krawczyński. Diagnostyka molekularna jest pierwszym krokiem do skutecznego leczenia, a pierwsze terapie genowe są już dostępne. „Przełom nastąpił w 2018 r., gdy zarejestrowano pierwszy lek dla pacjentów z wrodzoną ślepotą Lebera powodowaną mutacjami genu RPE65. To jest przełom, który daje doskonałe perspektywy, zarówno jeśli chodzi o diagnostykę jak i leczenie.” - wyjaśnił. Zwrócił również uwagę na korzyści ekonomiczne płynące z diagnostyki molekularnej. „Choć jednostkowe badanie genetyczne jest kosztowne, to często kończy wieloletnie postępowanie diagnostyczne, które wcześniej było nieskuteczne”. Prof. Krawczyński wskazał, że obecnie terapią genową na świecie leczonych jest ponad 100 pacjentów. „Leczenie to pozwala na zachowanie widzenia na takim poziomie z jakim pacjent zgłasza się do kliniki. Aby pacjent mógł się do niego zakwalifikować konieczne jest by posiadał dostateczną ilość żywych funkcjonalnych receptorów siatkówki - dotyczy to pacjentów młodych.” - podkreślał.

Podsumowując spotkanie, Małgorzata Pacholec zwróciła uwagę na konieczność zintegrowanego podejścia do pacjentów okulistycznych: „Wiele schorzeń musi być leczonych interdyscyplinarnie, ale też my, pacjenci, musimy się edukować, musimy wiedzieć co nam dolega, musimy być dobrze zdiagnozowani, by móc podejmować odpowiednie kroki i nie lekceważyć wskazań lekarza. Mamy odpowiedni know-how, ekspertów medycznych, a schorzenia wzroku są coraz lepiej rozpoznawalne i diagnozowalne, ale brakuje pieniędzy i odpowiednich procedur.” Zaapelowała również do przedstawicieli Ministerstwa Zdrowia, Narodowego Funduszu Zdrowia, Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, posłów i senatorów, by wspierali pacjentów i lekarzy w walce o wzrok i przypomniała, że utrata widzenia kosztuje dużo więcej niż samo leczenie.