

Zagreb, 22. listopada 2021.

Dragi bolesnici, dragi roditelji, obitelji i prijatelji oboljelih od cistične fibroze,

Vjerujemo da ste primili s radošću vijest o odobrenju modulatora za liječenje cistične fibroze (CF) u Hrvatskoj. Velik je to iskorak u odnosu na dosad dostupnu terapiju, i očekivanja su (s pravom) velika: ovo su prvi lijekovi koji ne liječe samo posljedice bolesti nego djeluju i na uzrok, jer dijelom popravljaju funkciju CFTR- bjelančevine, tzv. kloridnog kanala, te tako usporavaju napredovanje bolesti, zajedno s ostalom terapijom koja se nastavlja provoditi. Srećom, većina bolesnika u Hrvatskoj nositelji su mutacija na koje bi trebali djelovati odobreni lijekovi. Hvala cijeloj CF zajednici čija je dugotrajna i ustrajna borba urodila plodom!

Sljedeći korak je uvođenje terapije svim zainteresiranim pacijentima s CF koji zadovoljavaju kriterije za takvo liječenje. HZZO je odredio jasna pravila koja trebamo slijediti pri propisivanju ovih lijekova, pa iako je njihova primjena dopuštena od 15. listopada nadalje, postupak do realizacije prve terapije potrajat će više tjedana. Stoga je važno da podijelimo te informacije s vama i pojasnimo dogovorenu proceduru.

Prema odredbi HZZO-a odluku tj. preporuku za liječenje CFTR modulatorima ne može donijeti nijedan liječnik - pojedinac koji prati bolesnika, nego se indikacija postavlja uvijek timski, i to u Centru za cističnu fibrozu djece i odraslih KBC-a Zagreb gdje će i početi primjena terapije, neovisno o tome u kojoj se ustanovi bolesnik primarno liječi. Ova odluka ne diskriminira liječnike ni bolesnike; dapače, upravo pruža jednake mogućnosti pacijentima i sigurnost da je terapija dobro odabrana i pravodobna. Naime, takvim se pristupom osigurava uniformnost u procjeni bolesnika prije početka liječenja i jednoobrazno praćenje tijeka terapije – učinkovitosti i možebitnih neželjenih popratnih učinaka lijekova, i preduvjet je da se jednoobrazno i po istim kriterijima procjenjuju ishodi liječenja, objektiviziraju nuspojave i po potrebi modificira shema liječenja, što doprinosi sigurnosti terapije.

Većina bolesnika u Hrvatskoj jesu pacijenti Centra za CF KBC-a Zagreb, dok otprilike četvrtinu bolesnika zbrinjavaju liječnici u drugim ustanovama u Hrvatskoj. Stoga je Centar za CF djece i odraslih KBC-a Zagreb odmah po objavi odluke HZZO- a o uvjetima propisivanja lijekova organizirao virtualni sastanak sa svim liječnicima koji skrbe o bolesnicima s CF u Hrvatskoj. Koordinirali smo pripremu i prihvat pacijenata na terapiju tj. usuglasili se oko ravnomjernog uključivanja bolesnika u postupak odobravanja liječenja.

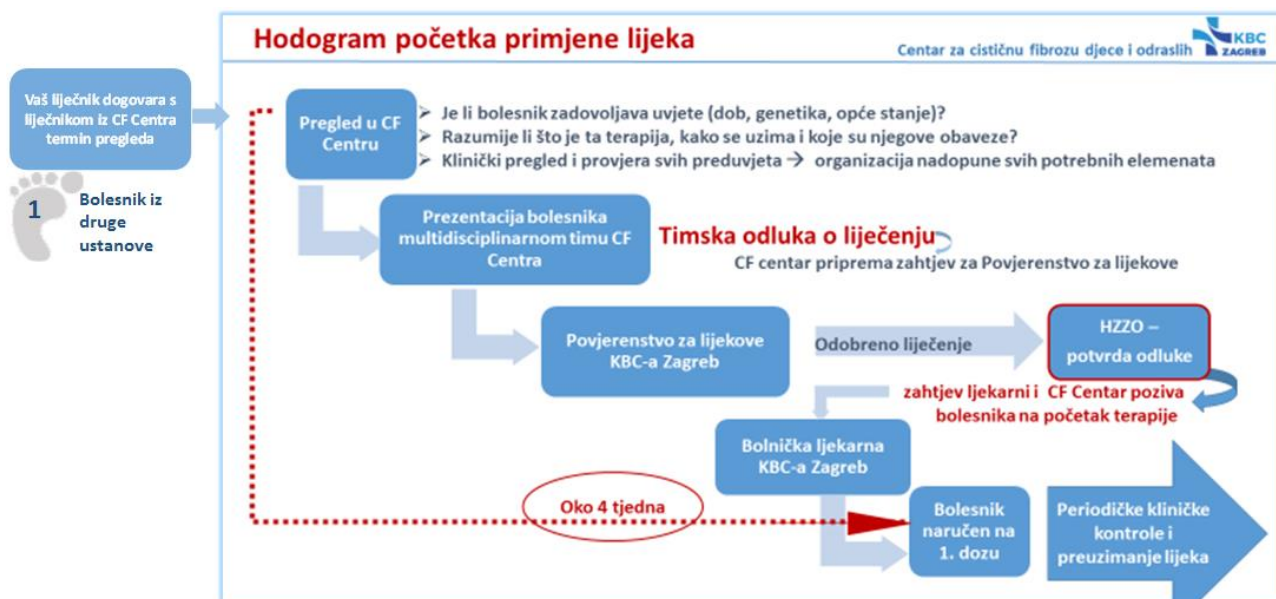
Ovim putem želimo cijeloj CF zajednici opisati proceduru uvođenja terapije te odgovoriti na najčešća pitanja i nedoumice s kojima se susrećemo. Opisat ćemo detaljnije postupak prije početka liječenja i praćenje bolesnika, a na kraju je sažeta shema pojedinih koraka u tom procesu.

- Ponajprije treba procijeniti aktualno stanje pacijenta i provjeriti je li pogodan za terapiju CFTR modulatorima (na temelju uvida u tijek bolesti, klinički status i neke nalaze). Ovo je postupak koji će svaki bolesnik – potencijalni korisnik terapije, bez obzira gdje se liječi, proći sa svojim

nadležnim liječnikom na redovnom kontrolnom pregledu. Vaš će Vam liječnik objasniti djelovanje lijeka, potencijalne koristi i moguće nuspojave te obaveze korisnika lijeka i pomoći da razjasnite moguće nedoumice.

- Ako udovoljavate kriterijima i odlučite se za primjenu lijeka, a ne kontrolirate se primarno u CF Centru KBC-a Zagreb, Vaš će liječnik kontaktirati CF Centar i dogovoriti što skoriji termin prihvata u CF Centru, te pripremiti potrebnu dokumentaciju prema već dogovorenom obrascu. Upućivanje u CF centar je strukturirani proces, posredstvom nadležnog liječnika u unaprijed predviđenom terminu za tu svrhu. Stoga nisu potrebne nikakve dodatne aktivnosti bolesnika.
- U CF centru se razmatraju kandidati za uvođenje lijeka po redu kako su naručeni na redovne kontrole. Postupak u CF Centru uključuje uvid u dokumentaciju, antropometriju, spirometriju, klinički pregled (minimalno CF-pedijatra ili CF-interniste, a za djecu i oftalmologa) i po potrebi dodatne pretrage.
- Kad se objedine svi nalazi, bolesnik se prezentira na sastanku Multidisciplinarnog timu za cističnu fibrozu našeg Centra (MDT CF Centra), koji je tijelo ovlašteno da donese preporuku o liječenju CFTR-modulatorima. Ukoliko pacijent zadovoljava sve kriterije i MDT CF Centra dađe pozitivno mišljenje, liječnici CF Centra pripremaju dokumentaciju i upućuju Zamolbu Povjerenstvu za lijekove KBC-a Zagreb koje treba odobriti liječenje. Pozitivna odluka Povjerenstva za lijekove prosljeđuje se s potrebnom dokumentacijom u HZZO – krajnje tijelo koje će potvrditi liječenje lijekom s Liste posebno skupih lijekova. Očekivano trajanje ovog procesa, od pregleda u CF centru do slanja mišljenja u HZZO je otprilike 4 tjedna. Tek po primitku finalnog odobrenja HZZO-a doći će lijek u bolničku ljekarnu i potom možemo dogovoriti termin prve primjene lijeka.
- Početak terapije mora biti pod nadzorom CF centra, za punoljetne osobe u adultnom dijelu, a za maloljetne pacijente pedijatrijskom dijelu CF centra. Djecu mlađu od 6 godina i sve bolesnike koji imaju kompleksniju sliku bolesti, neovisno o dobi, hospitalizirat ćemo na par dana kako bi započeli s terapijom. Svi bolesnici stariji od 6 godina u stabilnom stanju bolesti dobit će prvu dozu lijeka u Dnevnoj bolnici CF centra, gdje će se potom opservirati tijekom više sati.
- Očekivani prosječni tempo uvođenja terapije je, s obzirom na organizacijske kapacitete, 3 punoljetna i 3 maloljetna pacijenta tjedno. Ovim ritmom uključili bismo kroz 6, a najdulje 12 mjeseci sve zainteresirane pacijente koji zadovoljavaju kriterije za terapiju modulatorima. Uzimajući u obzir da je terapija cjeloživotna, a da su prvi tjedni pa i mjeseci terapije razdoblje u kojem očekujemo najviše izazova i koje zahtijeva češći nadzor, struka smatra da je ovaj plan realan i odraz odgovornog pristupa.
- U proces uvođenja terapije razmjerno će se uključiti pacijenti iz svih bolnica, kako bi se osigurao pravedan pristup svima – prvenstveno po medicinskim kriterijima, bez obzira na mjesto gdje se pacijent/ica do sad kontrolirao. Ostvarit ćemo to u suradnji svih liječnika koji prate CF bolesnike po principu koji smo dogovorili na zajedničkom sastanku. Nije potrebno da ijedan bolesnik sam poduzima dodatne korake i kontaktira CF centar, budući da je dogovoren strukturirani prihvata bolesnika u suradnji svih CF liječnika!
- Po uvedenoj terapiji bolesnik nastavlja uzimati lijekove kod kuće. Svoje redovne kontrole i liječenje u slučaju pogoršanja bolesti pacijent može nastaviti kod liječnika/ice kod kojeg se pratio do sada. Kod sumnje na nuspojavu ili komplikaciju lijeka potrebno je obavijestiti CF Centar, ili izravno ili posredstvom svog liječnika.
- U pogledu praćenja liječenja novim lijekovima, obvezne su kontrole u CF centru nakon 7-10 dana te zatim svaka 3 mjeseca u prvoj godini, jer za svakog bolesnika CF centar mora podnijeti izvješća HZZO-u. Nakon prve godine liječenja nadzor nad provedbom terapije može se nastaviti u drugoj ustanovi, uz obavezu kontrole obrade u CF Centru jednom godišnje. Odluku

o nastavku terapije HZZO obnavlja godišnje, na preporuku multidisciplinarnog tima CF Centra KBC-a Zagreb.



Kao što možete vidjeti iz ranije napisanog, procedura započinjanja terapije je komplicirana i dugotrajna te traži puno strpljenja i truda kako od liječnika, tako i od pacijenata i obitelji. Od razgovora kod liječnika kod kojeg se pratite pa do započinjanja terapije će proći minimalno 2 mjeseca, a ovisno o nepredviđenim komplikacijama i više. Svjesni smo da smo svi dugo čekali ovaj lijek, ali molimo za još malo strpljenja i razumijevanje cijelog procesa. Mi ćemo s naše strane učiniti sve što je moguće kako bi i to razdoblje pokušali skratiti, ali želimo, u duhu partnerskog odnosa koji moramo svi razvijati, biti u potpunosti iskreni i otvoreni prema svima vama.

Ukoliko imate dodatnih pitanja, slobodno se obratite liječnicima kod kojih se kontrolirate za pojašnjenja, a s kojima smo u redovnom kontaktu.

Veliki pozdrav,

Multidisciplinarni tim Centra za cističnu fibrozu djece i odraslih KBC-a Zagreb