

# Leki przyczynowe jako podstawa komfortu psychicznego w przypadku mukowiscydozy

Nie ma wątpliwości, że nowoczesne terapie genowe w postaci leków przyczynowych zmieniają oblicze wielu chorób przewlekłych – w tym mukowiscydozy. Stają się przepustką do dłuższego życia i jednocześnie zdecydowanie poprawiają jego jakość. Choć od kilku lat mieszkam w Niemczech, to z wielką radością przyjąłem informację, że 15 lutego 2022 r. Ministerstwo Zdrowia w Polsce ogłosiło projekt refundacji trzech ważnych leków: Orkambi, Symkevi i Kaftrio. To przełomowe wydarzenie i szansa na większy komfort życia dla części pacjentów chorujących na mukowiscydozę. Sam przyjmuję Kaftrio i Kalydeco od grudnia 2020 r., więc wiem, jak to się przekłada na codzienne funkcjonowanie z chorobą. Mam też świadomość, że wiele osób ma pytania i obawy, dlatego chciałem podzielić się swoimi refleksjami na temat tego, jak leki przyczynowe mogą zmieniać jakość życia w przypadku chorych na mukowiscydozę.

Przyznam, że jeszcze nie tak dawno, bo półtora roku temu, bardzo obawiałem się infekcji. Każda z nich – zarówno wirusowa, jak i bakteryjna – oznaczała pogorszenie mojego stanu zdrowia i większe zaflegmienie płuc, co z kolei negatywnie odbijało się na parametrach oddechowych i powodowało ciągle obniżanie się wartości spirometrii. To wszystko rodziło poczucie niepokoju i niepewności. Martwiłem się o to, jak mój organizm poradzi sobie z kolejnymi zaostrenziami. Rzadko mogłem sobie pozwolić na domowe metody ratowania zdrowia w postaci miodu, czosnku czy herbaty z cytryną. Większość infek-



Pierwsza wycieczka rowerowa po miesiącu przyjmowania leków przyczynowych (fot. z archiwum autora)

cji kończyła się dla mnie włączeniem silnych antybiotyków doustnych, a gdy te nie pomagały, to pozostawało jedynie dożylnie przeleczenie. Przez wiele lat leczyłem się w Karpaczu i doceniałem wiedzę oraz zaangażowanie lekarzy i fizjoterapeutów w pomoc chorym. Jednak pewne bariery systemowe rodziły poczucie bezsilności – zarówno po stronie pacjentów, jak i lekarzy.

Ja również przez wiele lat czułem niepokój o swoją przyszłość. Będąc w szkole średniej, nie wyobrażałem sobie, że dożyję trzydziestki. A kiedy w końcu przekroczyłem ten magiczny próg, to nie wyobrażałem sobie, że przeżyję kolejną dekadę... Mimo wszystko starałem się funkcjonować w miarę normalnie i wyznaczać sobie kolejne cele. Jednym z nich był wyjazd za granicę. W 2015 r. postanowiłem

wyjechać do Niemiec. Paradoksalnie nie zrobiłem tego z powodu mukowiscydozy, bardziej ze względów zawodowych i osobistych, bo wyjechałem z ówczesną narzeczoną. I choć koleje losu potoczyły się inaczej, niż planowałem, to sam wyjazd przyniósł mi wiele korzyści zdrowotnych.

Już pierwsza wizyta w aptecce – w kraju za Odrą – była dla mnie sporym zaskoczeniem, bo zapłaciłem niecałe 90 euro za lekarstwa warte ponad 4400 euro. Wtedy uświadomiłem sobie, jak wielka jest przepaść między takimi krajami jak Polska i Niemcy pod względem systemu opieki zdrowotnej. Pod koniec października 2015 r. wylądowałem w szpitalu na leczeniu dożylnym i tam przeżyłem kolejne zdumienie. Okazało się bowiem, że mam możliwość kontynuowania leczenia w domu.

W Niemczech do szpitala przyjeżdża się tylko na 4–5 dni i jeśli w tym czasie antybiotykoterapia przebiega bez problemów, to wychodzi się ze szpitala i przez resztę dni odbywa się kurację w warunkach domowych. W Polsce to wciąż marzenie wielu chorych...

Zupełnie inaczej wyglądają także procedury związane z przyznawaniem stopnia niepełnosprawności. Decyzja o tym zapada zaocznie, tylko i wyłącznie na podstawie dokumentacji medycznej, którą instytucja orzekająca sama ściąga od lekarzy prowadzących – w moim przypadku od lekarza rodzinnego i lekarza z poradni mukowiscydozy. Całe zaangażowanie chorego w ten proces kończy się wraz ze złożeniem odpowiedniego wniosku o przyznanie stopnia niepełnosprawności. Tymczasem w Polsce są to niekończące się powroty na posiedzenia komisji (co 2–3 lata, a niekiedy nawet raz w roku), które często bywają upokarzające dla osób chorych, oraz ogrom dokumentów i zaświadczeń medycznych.

Inny jest także dostęp do leków czy sprzętów medycznych. Przykładem może być to, że w Niemczech osoby chorujące na mukowiscydozę, posiadające receptę na Colistynę, otrzymują w zestawie do leku, który wystarcza na miesiąc inhalacji, za darmo nebulizator do inhalatora Pari eFlow. A na przykład kamizelkę oscylacyjną, na którą swego czasu była moda w Polsce, tutaj można otrzymać na zasadzie wypożyczenia sprzętu medycznego. Osoby z chorobami przewlekłymi mogą liczyć na wsparcie ze strony państwa. To dotyczy także refundacji kosztownych terapii genowych. Stąd też tutejsze środowisko pacjentów i rodzin osób chorych na mukowiscydozę nie musiało podejmować walki o refundację leków przyczynowych. Nie było marszów, spotkań czy negocjacji... To była jedynie kwestia czasu.

Przyznam, że informacja o zatwierdzeniu leków przyczynowych przez niemiecki rząd dotarła do mnie latem w 2020 r. Pamiętam, że na jakimś portalu związanym z mukowiscydozą znalazłem wykaz mutacji, jakie trzeba mieć – oprócz „dety” – aby móc przyjmować leki przyczynowe. Z uwagi na to, że moja druga mutacja należy do bardzo rzadkich, nie było jej na liście. Z tego powodu nie zgłębiałem tematu. Drugi raz o refundacji dowiedziałem się pod koniec sierpnia 2020 r., podczas pierwszego dnia pobytu w szpitalu. Minęły raptem dwa tygodnie, a lekarka prowadząca poinformowała mnie, że od 1 września w Niemczech będą refundowane leki przyczynowe i należałoby się „zająć” moimi mutacjami. Rozmowa stanęła na tym, że wyniki moich badań genetycznych zostały wysłane do producenta leku, który miał zdecydować o tym, czy z moją drugą mutacją załapie się na ten ówczesnie jeszcze mało znany „cud medycyny”. Ostatecznie w połowie grudnia zacząłem przyjmować Kaftrio i Kalydeco.

### Gdy codzienność wkracza na nowy poziom

Kiedy zacząłem przyjmować leki przyczynowe, moje życie zmieniło się o 180 stopni. Nie tylko pozytywnie wpłynęły one na moje samopoczucie fizyczne, ale i ogólnie zmieniły sposób myślenia o życiu i przyszłości. Mam obecnie 35 lat i nie martwię się o to, czy i w jakim stanie zdrowotnym dożyję czterdziestki – tak jak to było jeszcze kilka lat temu. Nie przeraża mnie też „zmiana kodu na czwórkę z przodu”, która nastąpi jeszcze w tym dziesięcioleciu. Człowiek w końcu może się cieszyć życiem i zwykłą codziennością. Przede wszystkim mam obecnie siłę, aby realizować swoje pasje, takie jak spacerowanie po lesie, jazda na rowerze czy odwiedzanie różnych ludzi i miejsc, aby poznać ich historię (zgle-

biam tajniki genealogii). Moja kondycja zdrowotna poprawiła się na tyle, że od kilku miesięcy aktywnie szukam pracy. Mogę brać też udział w kursach doszkalających czy szkoleniach dla osób chcących podnieść swoje kwalifikacje zawodowe. Wcześniej nie miałem na to po prostu sił. Obecnie czuję się zdecydowanie lepiej. Ostatnie wyniki spirometrii pokazują, że istotny wskaźnik FEV<sub>1</sub> wzrósł o ponad 20 punktów procentowych. Dla porównania – przed rozpoczęciem kuracji oscylował on między 50% a 60%, co przy obecnych ponad 80% stanowi znaczącą różnicę.

A jak wygląda sam przebieg infekcji w czasie przyjmowania leków przyczynowych? Jeśli porównałoby się walkę z chorobą do bajki, która dawniej nie miała szczęśliwego zakończenia, to obecnie jest zupełnie inaczej. W ciągu ostatniego roku zaliczyłem kilka infekcji, ale każda obejmowała górne drogi oddechowe, tj. zatoki, nos i gardło. Tylko w jednym przypadku musiałem przyjmować antybiotyk, bo infekcja ciągnęła się przez kilka tygodni i dotyczyła zatok. Co ciekawe, płuca i oskrzela nie były w tym czasie w ogóle zaflegmione i pozostawały czyste jak przysłowiowa łąka. A jeśli już o łąkach mowa, to przyznam, że chciało mi się płakać ze szczęścia, że tak to teraz wygląda. Sama świadomość, że w czasie choroby można czuć komfort psychiczny związany z tym, że nie będzie trzeba faszerować się antybiotykami, to naprawdę wiele.

Obecnie infekcje nie są dla mnie powodem do niepokoju, bo wiem, że mój organizm potrafi je zwalczyć. Co ważne, od momentu przyjmowania leków nie muszę też kłaść się do szpitala na leczenie dożylnie. Pod tym względem to również duża zmiana. Nie muszę chyba wspominać o tym, że dla każdego chorego pobyt w szpitalu nie należy do przyjemnych. Zakładanie wenflonu (i to niejednokrotnie), samotność w czte-

rech ścianach, rozłąka z rodziną, próba pogodzenia pobytu w szpitalu z obowiązkami rodzinnymi i zawodowymi. Samo to przysparza choremu wiele stresu, co też negatywnie wpływa na samopoczucie. Psychika obciążona negatywnymi myślami wpływa źle na stan ciała. Tak tworzy się błędne koło, z którego czasami trudno wyjść. A w przypadku choroby przewlekłej stres jest tym, czego najmniej choremu do szczęścia potrzeba.

### Bilans zysków i strat

Zdrowie to nie tylko dobre samopoczucie fizyczne, ale także poczucie radości i zadowolenia z życia. Leki przyczynowe zdecydowanie poprawiają jakość codziennego funkcjonowania. To prawda, że mogą też wywoływać działania niepożądane, ale myślę, że dopóki skut-

ki uboczne nie wpływają na obniżenie komfortu życia – np. poprzez przewlekłe bóle głowy, wymioty, spadek koncentracji, pogorszenie się parametrów krwi pod kątem czynności wątroby – to nie taki diabeł straszny, jak go malują. Lekarz z poradni mukowiscydozy powiedział mi, że odsetek chorych, którzy musieli odstawić leki, jest naprawdę niewielki. Nie podał konkretnych liczb, ale czytając fora internetowe, nie da się oprzeć wrażeniu, że to prawda. W moim przypadku skutki uboczne to nawracająca suchość oczu oraz reakcja alergiczna w postaci wysypki w obrębie klatki piersiowej i pleców. Na dzień dzisiejszy parametry krwi pozostają jednak w normie, a wątroba radzi sobie bardzo dobrze z lekami. Moim zdaniem bilans zysków przewyższa straty i warto skupić się na tym, co pozytywne.

Refundacja Kaftrio i Kalydeco w Polsce weszła w życie półtora roku po tym, jak została ogłoszona w Niemczech. Jak na polskie realia to i tak szybko. Tym bardziej, że polska służba zdrowia – w pewnych aspektach – odstaje od Zachodu o jakieś 10–15 lat. W najbliższym czasie zostaną określone szczegółowe warunki refundacji oraz udziału pacjentów w programie. Mam nadzieję, że to będzie szansa na nowy początek dla wielu osób.

Nie bójmy się marzyć i przekraczać granic, które wcześniej nie pozwalały nam normalnie żyć. Nie bójmy się przekraczać stref komfortu, bo teraz zaczynamy mieć ku temu możliwości. Jak pisał Ram Sharan Sharma: „Kaźda zmiana jest trudna na początku, burzliwa w trakcie, cudowna na końcu”.

**Robert Hellfeier**

## Trzej muszkietierowie, czyli nasi mukoojcowie!

*Niektórzy mówią do mnie po imieniu.  
Ale najważniejsi mówią do mnie „Tato”.  
– autor nieznan*

Potomstwo – to trudny temat dla osób chorujących na muko-wiscydozę. Powszeczna wiedza na temat mężczyzn chorujących na mukowiscydozę głosi bowiem, że w większości przypadków są oni bezpłodni, a więc nigdy nie doczekają się potomstwa. Dotyczy to przede wszystkim tych mężczyzn, którzy posiadają mutacje inne niż 3849+10kbC→T, bowiem panowie posiadający chociaż jedną taką, jak wymieniona powyżej, bardzo często, chociaż nie zawsze, okazują się płodni. Jeżeli jednak mężczyzna oka-

zuje się w pełni bezpłodny i naturalne zapłodnienie jest niemożliwe, wtedy w grę wchodzi metoda in vitro, o którą coraz więcej chorujących panów pyta, ponieważ okazuje się skuteczna. Istnieje nawet grupa na Facebooku zrzeszająca i wspierająca osoby z mukowiscydozą, które zdecydowały się na tę metodę (Cystic Fibrosis IVF support<sup>1</sup>). W tym artykule jest jednak mowa o panach, którzy zostali ojcami w sposób naturalny.

<sup>1</sup> Cystic Fibrosis IVF support – grupa zamknięta na Facebooku, online: <https://www.facebook.com/groups/1845434842155947>, dostęp: 23.02.2022.

Analogicznie dla kobiet przeznaczona jest grupa: Cystic Fibrosis Mummies, online: [https://www.facebook.com/groups/cfmummies/?launch\\_popover=membership\\_questionnaire](https://www.facebook.com/groups/cfmummies/?launch_popover=membership_questionnaire), dostęp: 23.02.2022.



Przez żołądek do serca (fot. 1-3 z archiwum Piotra)

Nie każda chora osoba, która ma możliwość posiadania dzieci, decyduje się na potomstwo. Wszyscy wiemy, z czym „je się” mukowiscydozę... Dlatego też decyzja, by zostać TATĄ,