
Vzácná onemocnění a hlavní události ve zdravotnictví

Leden 2023

Milí čtenáři,

první měsíc roku 2023 ještě přináší dozvuky českého předsednictví Radě EU. Spolupráce členských zemí Evropské unie v oblasti vzácných onemocnění je zcela zásadním předpokladem k tomu, abychom dokázali rychleji dosáhnout pokroku v diagnostice, léčbě i zlepšování kvality života pacientů i těch, kdo o ně pečují.

Vzhledem k tomu, že začíná únor, musím zmínit blížící se Den vzácných onemocnění. Mám velkou radost, že přesně 28. února se uskuteční hned několik událostí, které budou oslovovat problematiku vzácných onemocnění. Nechte se překvapit, brzy vám pošleme pozvánku.

Věřím, že tyto události i samotný Den vzácných onemocnění nás posunou zase o kousek dál v tom, jakou pozornost věnujeme jako společnost těm, kdo potřebují naši pomoc.

Přeji vám příjemné čtení!

Anna Arellanesová, předsedkyně ČAVO

Vzácná onemocnění

Ministerstvo schvaluje úhrady dalších léků na vzácná onemocnění

Ministerstvo zdravotnictví schválilo maximální cenu a úhradu již druhého léku na vzácné onemocnění, tentokrát určeného pro léčbu metastazujícího adenokarcinomu pankreatu. Další v pořadí by měl být lék pro pacienty s tromboembolickou plicní hypertenzí (CTEPH).



[CELÝ ČLÁNEK](#)



Rozhovor s Irenou Storovou: SÚKL a nový systém úhrad

Nový systém úhrad léků dává pacientům více jistoty, říká šéfka Státního ústavu pro kontrolu léčiv (SÚKL) Ireny Storová. V rozhovoru pro Euractiv.cz popisuje také spolupráci SÚKL s poradním orgánem, jehož stanovisko je pro uznání úhrady zásadní.

[CELÝ ČLÁNEK](#)



Vzácná nemoc ohrožuje rodičky, lékaři ji umí vyléčit

Trombotická mikroangiopatie je poměrně vzácné onemocnění, které ohrožuje ženy v těhotenství nebo těsně po porodu. Lékařům ze Všeobecné fakultní nemocnice se ho nedávno podařilo popsat a našli způsob, jak jej efektivně léčit. Ročně se projeví u několika málo pacientek.

[CELÝ ČLÁNEK](#)

Centrum provázení v Olomoucké nemocnici pomáhá rodinám vážně nemocných dětí

Rodinám dětských pacientů s těžkými zdravotními postiženími, vzácnými chorobami nebo s nízkou porodní hmotností nabízí pomoc Centrum provázení, které otevřela Fakultní nemocnice Olomouc. Služba zahrnuje například plánování péče či rady při nákupu zdravotních pomůcek.



[CELÝ ČLÁNEK](#)



„Anglmánkům“ pomáhají logopedie nebo fyzioterapie

Angelmanův syndrom je jedním z mnoha vzácných onemocnění, která zatím není možné vyléčit. Vzniká náhodně kvůli chybě na patnáctém chromozomu. Zjistit se dá jen pomocí cíleného genetického testu, který není součástí běžných vyšetření. V rozhovoru pro Českou televizi popisuje své zkušenosti s dostupnými terapiemi, které zdravotní stav zlepšují, matka jednoho z malých pacientů.


[CELÝ ČLÁNEK](#)

Vzácní mezi vzácnými

Vzácným diagnózám se v obsáhlém článku věnuje magazín Květy. Upozorňuje například na četnost vzácných onemocnění v celkové populaci nebo nedostupnost léčby. V článku dostává slovo také Kateřina Kopečková, onkoložka Fakultní nemocnice v Motole se specializací na vzácné nádory.

[CELÝ ČLÁNEK](#)



„Přemýšlela jsem, jak bych se měla chovat, když bych byla v té době. Bylo by to jako být v té době. A od té doby žádnou jinou školu nehledám. Být vzácný, a ještě tak nějak na hraně zlomu, mezi tím či oním, je velmi složité.“
Nakonec dívka našla místo v kroužku, který vede ředitelka soukromé školy, kam nějaký čas chodila. Alespoň zde se posouvají limity. Neumíte udělat kormelec? Nevadí! Ivanka Křígelová, duchovní máma těhle organizace, se stane průvodcem. „Obul“ máloho sportovce vlastním tělem a kutáli se s ním. Kotoul je tu! Rozárka sem chodí jako asistentka trenérky, pomáhá dětem překonat strach, nejistotu nebo je jen navede na směr, kterým mají popoběhnout. Je nadšená, že někomu může i ona podat pomocnou ruku. 

Zdravotnictví

Svaz pojišťoven odhaduje schodek v systému pojištění na 12 miliard



Zdravotní pojišťovny plánují letos schodek systému veřejného zdravotního pojištění ve výši 12 miliard korun. Očekávané příjmy budou 464 miliard, o 7,4 procenta vyšší než loni. V tiskové zprávě to dnes uvedl Svaz zdravotních pojišťoven (SZP), který sdružuje šest menších pojišťoven..

[CELÝ ČLÁNEK](#)

Česko i další státy postihl výpadek léků

V Česku i dalších evropských chybí léky na respirační onemocnění, některá antibiotika i dětské léky. Podle očekávaní ministra zdravotnictví Vlastimila Válka přetrvá problém s dostupností do jara, byť resort situaci řeší. Na podzim by podle něj problém měl definitivně zmizet



[CELÝ ČLÁNEK](#)

Ministerstvo představilo úspěchy českého předsednictví EU v oblasti zdravotnictví



Ministerstvo zdravotnictví vnímá české předsednictví Radě EU jako úspěšné. Prioritami byly onkologie, vzácná onemocnění, posílení důvěry v očkování, posílení globální role EU v oblasti zdraví a pomoc Ukrajině. V těchto oblastech se podle resortu podařilo dosáhnout politických i legislativních úspěchů, které byly oceněny evropskými partnery i institucemi.

[CELÝ ČLÁNEK](#)

Národní asociace patientských organizací formuje svou strategii

Národní asociace patientských organizací (NAPO) si určila dlouhodobé strategické priority a cíle pro rok 2023 a založila pět pracovních skupin. Jejich úkolem bude rozvíjet a určovat společné pozice spolku. ČAVO je jednou z členských organizací NAPO.



[CELÝ ČLÁNEK](#)



3D tisk i unikátní operace, ohlíží se za rokem 2022 IKEM

Využití nových technologií a několik unikátních operací byly pro rok 2022 nejvýraznějšími úspěchy pražského Institutu klinické a experimentální medicíny (IKEM). Tamní lékaři například provedli transplantaci Langerhansových ostrůvků, aniž by léčený pacient dorazil přímo do Prahy.

[CELÝ ČLÁNEK](#)

Ze světa



V Bruselu začne Týden vzácných onemocnění

V pondělí 6. února v Bruselu odstartuje tzv. Týden vzácných onemocnění (Rare Disease Week 2023). Během čtyř dnů se v hlavním městě unijní politiky odehraje řada akcí, které upozorní na různé aspekty života pacientů se vzácnými nemocemi a podpoří snahu najít společná evropská řešení existujících problémů.

[CELÝ ČLÁNEK](#)

Referenční sítě by země EU mohly využívat lépe

V současné době funguje 24 evropských referenčních sítí, v nichž jsou zapojeny téměř dva tisíce odborných pracovišť. Odborníci se shodují v tom, že využití jejich potenciálu je nyní úkolem pro jednotlivé členské země. Pomocť by měl i Evropský akční plán pro vzácná onemocnění.

[CELÝ ČLÁNEK](#)



Evropa na křižovatce: levné léky, nebo inovace?



Evropští politici se musí rozhodnout, zda chtějí mít ze starého kontinentu výzkumného lídra v oblasti life sciences, nebo zda upřednostní nízké výdaje na léky na úkor všeho ostatního. Před takovou volbou Evropa stojí podle analýzu deníku The Financial Times. Odliv investic do výzkumu a vývoje léků ovlivňuje míra cenové regulace.

[CELÝ ČLÁNEK](#)

Technologie z filmu Avatar by mohla pomoci v boji proti vzácným onemocněním

Vědci využívají technologii umělé inteligence, která oživuje postavy ve filmech jako Avatar: Vodní tvor, ke sledování raných stádií vzácných onemocnění. Nový systém slouží k analýze pohybů těla a dokáže diagnostikovat poruchy dvakrát rychleji než lékaři, píše server Interesting Engineering.

[CELÝ ČLÁNEK](#)



Celé články

Úhrada dalšího léku na vzácné onemocnění schválena

Minulou středu schválilo ministerstvo zdravotnictví, na základě doporučení svého poradního orgánu, maximální cenu a úhradu již druhého léku na vzácné onemocnění, tentokrát určeného pro léčbu metastazujícího adenokarcinomu pankreatu. Již za týden se má poradní orgán sejít znovu, aby posoudil cenu a úhradu léku pro pacienty s tromboembolickou plicní hypertenzí (CTEPH). Vyplývá to z údajů na stránkách rezortu. Na dotaz Zdravotnického deníku, kdo se jednání poradního orgánu účastnil, odmítl rezort odpovědět s odvoláním na ochranu jeho členů před případným tlakem.

Po přípravku k léčbě spinální svalové atrofie, který byl vůbec prvním lékem schváleným novým mechanismem správního řízení určeným pro léky na vzácná onemocnění, vydalo ministerstvo zdravotnictví již druhé pozitivní doporučení ke schválení maximální ceny a úhrady. Tentokrát jde o přípravek Onivyde Pegylated Liposomal (s léčivou látkou pegylovaný lipozomální irinotekan), určený k léčbě pacientů s metastazujícím adenokarcinomem pankreatu. Jde o onemocnění, jež významným způsobem zkracuje očekávanou dobu života a vede k častým hospitalizacím.

Lék je v současné době pacientům, kteří jsou k léčbě indikováni, sice již hrazen z prostředků veřejného zdravotního pojištění, jde ovšem o režim tzv. vysoce inovativního léčivého přípravku (VILP) se stanovenou dočasnou úhradou platnou do konce ledna tohoto roku. Francouzský držitel registrace podal žádost o stanovení maximální ceny a úhrady podle správního řízení pro orphany vloni na konci dubna. Státní ústav pro kontrolu léčiv (SÚKL) vydal první hodnotící zprávu v srpnu, ta však byla ještě dále během podzimu doplňována. Poradní orgán ministerstva pro úhradu léků na vzácná onemocnění její konečnou verzi projednal 5. ledna, kdy ministru zdravotnictví Vlastimilu Váلكovi předal doporučující stanovisko. Ten se následně s jeho názorem ztotožnil.

Jde o paliativní lék, který se podává pacientům v pokročilém věku s nepříznivou prognózou onemocnění (přežití v měsících) a který zpomaluje progresi onemocnění. V Závazném stanovisku ministerstva pro SÚKL, zveřejněném na rezortních stránkách, se dále uvádí, že výrobce původně odhadoval dopad na rozpočet v prvních pěti letech ve výši 53,5 až 72,7 milionů korun, přičemž náklady na léčbu jednoho pacienta se měly pohybovat kolem půl milionu korun. „Žadatel následně předložil scénář s navrženým finančním ujednáním, které...bude příznivější než žadatelem původně předložená analýza dopadu na rozpočet,“ píše se v dokumentu.

Poradní orgán se má sejít znovu za týden v pondělí. Jak vyplývá z ministerského oznámení, tentokrát se bude projednávat přípravek určený k léčbě chronické tromboembolické plicní hypertenze Trepulmix, kde držitel registrace podal žádost o stanovení maximální ceny a úhrady také vloni v dubnu.

Jednání v utajení

Správní řízení podle §39da zákona o veřejném zdravotním pojištění, jak z ní oficiální název řízení pro vyhodnocení a stanovení úhrady specificky pro léky na vzácná onemocnění, rozděluje celý proces do dvou fází – hodnocení, které probíhá na SÚKL, a posuzování, jež se přesouvá na ministerstvo zdravotnictví. Tam pro účely tohoto řízení vznikl již zmíněný poradní orgán ministra zdravotnictví, složený vždy po dvou zástupcích státu, zdravotních pojišťoven, odborné veřejnosti a pacientů.

Vůbec poprvé se sešel vloni v srpnu, další setkání se uskutečnilo až letos v lednu. Jeho členy jmenuje a odvolává ministr zdravotnictví, a to ze seznamu nominantů za každý sektor s ohledem na aktuálně projednávaný přípravek. Posouzení léku by se totiž neměl účastnit v této fázi řízení – na rozdíl od jednání se SÚKL – podle zákona nikdo, kdo má k dané problematice přímý vztah. Personální obsazení nicméně ministerstvo tají. „Konkrétní jména nejsou uváděna, jejich identita je chráněna před případným tlakem,“ sdělil Zdravotnickému deníku na dotaz ohledně konkrétního složení orgánu tiskový mluvčí rezortu Ondřej Jakob.

Jeden z účastníků srpnového jednání, které trvalo pět hodin, člen předsednictva České lékařské společnosti JEP Jan Švihovec, nedávno na kulatém stole Zdravotnického deníku konstatoval, že pro zachování maximální otevřenosti je klíčové utajenost jednání zachovat. Nicméně do budoucna bude podle něj zapotřebí nastavit určitá vnitřní pravidla pro rozhodování s tím, že na jednom z příštích jednání očekává diskuzi jen k tomuto tématu.

„(Na druhém jednání poradního orgánu) se diskutovalo pouze o předmětném léčivém přípravku. Interní pravidla jsou řešena mezi předsedou a členy poradního orgánu mimo ústní projednání ke konkrétnímu přípravku,“ doplňuje ještě na závěr Jakob.

Zdroj: zdravotnickyydenik.cz

Storová: Nová cesta úhrady léků na vzácné nemoci přináší pacientům jistotu

U léčivého přípravku na spinální svalovou atrofii platilo, že pacienti museli o úhradu v pravidelných intervalech individuálně žádat své zdravotní pojišťovny. Teď budou mít větší míru jistoty, říká o fungování nového systému úhrad léků ředitelka SÚKL Irena Storová.

Nový proces rozhodování o úhradě léčiv na vzácná onemocnění [1] nyní v Česku platí 11 měsíců (nyní už více než rok, pozn. red.). Jak postup zatím hodnotíte? Funguje podle Vás adekvátně, i co se týká délky?

Na začátku roku 2022 přibyl do naší agendy zcela nový typ správního řízení, to s sebou přineslo specifické lhůty i nový okruh účastníků. Nebyl to ale jen SÚKL, kdo stál před novým úkolem, i další účastníci řízení se museli dobře připravit na svou novou roli. Všichni jsme se však tomuto úkolu museli postavit čelem, což se daří a všem bych za to ráda poděkovala. Po prvním ukončeném řízení je ještě brzo na hodnocení postupu i lhůt, na žádné zásadní komplikace jsme nenarazili.

Co nový typ řízení znamenal pro kapacity SÚKLu? V čem je jiný než u běžných léčiv? Jak náročný je?

Jak jsem již uvedla, stanovení úhrady léčivým přípravkům pro vzácná onemocnění probíhá v procesu správního řízení, se kterým má SÚKL bohaté zkušenosti již od roku 2008. Nicméně má každé správní řízení jistá specifika, na které bylo třeba se připravit i zde. Nové jsou v rámci tohoto procesu například lhůty pro navrhování důkazů, okruh účastníků, kdy se jimi nově staly odborné společnosti a pacientské organizace, či role tzv. poradního orgánu, který vydává závazné stanovisko k hodnocenému léčivému přípravku. Na všechny tyto novinky se SÚKL pečlivě připravil (např. specifické návody a formuláře podání pro každý typ účastníků), o čemž svědčí hladký průběh prvního ukončeného správního řízení s přípravkem pro léčbu spinální svalové atrofie.

Jak se vlastně takové řízení liší od schvalovacího procesu, který provádí Evropská agentura pro léčivé přípravky (EMA)?

Evropská agentura pro léčivé přípravky je součástí procesu registrace některých léčiv (přesněji těch, která musejí být registrována centralizovaně). EMA dává doporučení k jejich registraci Evropské komisi, která následně vydává rozhodnutí platící pro všechny státy EU a EHP (Evropský hospodářský prostor, pozn. red.). EMA nerozhoduje o výši a podmínkách úhrady léčiv, to je tedy ten hlavní rozdíl.

V průběhu diskuze se ve velké míře řešil poradní orgán, který je součástí procesu. Jak se s jeho existencí vyrovnáváte? „Neleze do zelí“ SÚKLu?

Takto bych to neřekla. Veškerá odborná zhodnocení a všechny došlé písemnosti zpracovává a hodnotí i nadále SÚKL, který je poté společně s vypracovanou Hodnotící zprávou postupuje poradnímu orgánu. Jeho rolí je pak závěry SÚKL kriticky posoudit včetně nových hodnotících kritérií, jakými jsou např. celospolečenský význam možnosti terapeutického ovlivnění vzácného onemocnění či tradičních kritérií, jako je např. finanční dopad do rozpočtu, a vypracovat závazné stanovisko. V něm poradní orgán vysloví souhlas či nesouhlas se stanovením úhrady, případně navrhne změnu výše či podmínek úhrady. Na základě závazného stanoviska pak vydá SÚKL samotné rozhodnutí. Role SÚKL je při jednání poradního orgánu v zásadě observační, kdy do závěrů poradního orgánu nijak nezasahuje a

pouze shrnuje dosavadní průběh řízení a závěry obsažené v hodnotící zprávě. Tím je dosažena nezávislost poradního orgánu a jeho oddělení od správního orgánu, který řízení vede.

Schvalovací proces začal u 12 léčiv, do cíle dorazilo jediné. Příští rok podle vlastních slov očekáváte, že o schválení bude požádáno u 20 dalších léčiv. Čím si toto „urychlení“ vysvětlujete?

Je možné, že někteří držitelé (registrací léčiv, pozn. red.) měli zprvu obavu z nového procesu a spoléhali se na jiné mechanismy úhrady, např. přes § 16 zákona o veřejném zdravotním pojištění (vysvětleno např. zde [2], pozn. red.). Další přípravky mohly mít stanovenou tzv. dočasnou úhradu (vysoce inovativní léčivé přípravky – VILP), která jim však vypršela či v dalším období vyprší. Některé přípravky totiž mohou naplňovat definici VILP i definici pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění a může jim být stanovena různá vícero cestami. Přirozeně také platí, že stále nové a nové přípravky budou průběžně na EMA registrovány jako léčivé přípravky pro vzácné onemocnění.

V Česku je k dispozici přibližně 25 % léků na vzácná onemocnění schválených na úrovni EU. Dá se odhadnout, jak by se tento podíl mohl změnit díky novému schvalovacímu procesu?

Z dat, která má SÚKL k dispozici za rok 2021 plyne, že opravdu cca čtvrtina přípravků registrovaných u EMA byla dostupná v ČR ve standardních úhradách. Ovšem další cca čtvrtina byla uhrazena pojišťovnami jinými mechanismy úhrady, např. přes § 16 zákona o veřejném zdravotním pojištění. S ohledem na existenci nového procesu lze předpokládat, že se postupně poměrná část přípravků bude přesouvat právě ze zmíněných výjimečných úhradových mechanismů do standardního systému úhrad. Rychlost této změny lze těžko odhadovat, bude záležet na držitelích registrace, účastnících řízení, ale především na rozhodovací praxi nového poradního orgánu, kolik přípravků touto cestou bude vstupovat.

Zelenou dostal lék SPINRAZA na spinální svalovou atrofii. Co toto schválení v praxi znamená pro pacienty?

Rozhodnutí SÚKL o úhradě léků pro vzácná onemocnění pro pacienty znamená větší míru jistoty. Lék, který potřebují, bude mít díky takovému rozhodnutí pevně stanovenou úhradu. Například u léčivého přípravku pro pacienty se spinální svalovou atrofií před rozhodnutím platilo, že museli o úhradu v pravidelných intervalech individuálně žádat své zdravotní pojišťovny.

Zdroj: Euractiv.cz

Vzácná nemoc ohrožuje rodičky. Nenechte se odbýt, vyzval ženy lékař

Trombotická mikroangiopatie je poměrně vzácné onemocnění, které ohrožuje ženy v těhotenství nebo těsně po porodu. Lékařům ze Všeobecné fakultní nemocnice se ho nedávno podařilo popsat a našli způsob, jak jej efektivně léčit.

Nemoc byla pro odborníky dlouhou dobu záhadou.

Ročně se projeví u několika málo pacientek, velká část gynekologů a porodníků s ní proto nemá zkušenosti.

Objevuje se navíc náhle, správná léčba je proto stěžejní. A pokud ji pacientky nedostanou, v 80 procentech případů zemřou.

Nejdůležitější je podle lékařů z VFN včasné rozpoznání příznaků a multioborová péče.

Během onemocnění vzniká krevní sraženina. Pacientky si proto často stěžují na různorodé bolesti, je tedy složitější nemoc detekovat. Bez okamžité pomoci ovšem dojde k selhání orgánů.

Špička ledovce Byť jsou projevy nemoci náhlé, její vývoj je podle lékaře VFN Michala Kouckého dlouhodobý a je patrně podmíněn genetikou. „To, co vidíme na konci, je pouze špička ledovce,“ řekl v úterý novinářům.

Podle něj si řada odborníků vykládá projevy nemoci banálně – zaměňuje je za chřipku, virózu či jiná onemocnění.

„Nesmíte se nechat odbýt,“ vzkázal Koucký ženám s tím, že to, zda je vše v pořádku, nebo může jít o závažnější problém, lze určit na základě jednoduchých krevních testů. Pokládá proto za důležité, aby se o onemocnění mluvilo, a informace se tak dostaly do širšího povědomí.

Jen osvěta ale podle lékařů nestačí a důležitá je mezioborová spolupráce. „V prosinci k nám byly přivezeny dvě maminky. Právě díky spolupráci kolegů z jiných oborů se nám povedlo je zachránit,“ přiblížil přednosta Gynekologicko-porodnické kliniky VFN David Cibula.

Onemocnění je komplikované a lékaři musí sdílet poznatky a spolupracovat, aby byla pacientkám poskytnuta správná péče.

Pocit, že orgány vyskočí z těla Jednou ze zmíněných pacientek byla dvaatřicetiletá Sabina. „Měla jsem pocit, že mi orgány vyskočí z těla. Ta bolest byla nepopsatelná,“ popsala moment, kdy se jí projevil příznaky.

Už dříve porodila zdravé dítě, tehdy se ale těhotenství obešlo bez komplikací. Až do prosince vše probíhalo podle plánu i u druhého očekávaného potomka. Potíže se objevily náhle a Sabina skončila v nemocnici, kde ji lékaři stabilizovali.

Ten samý den císařským řezem přivedli na svět dítě, v nemocnici ale Sabina strávila bezmála další tři týdny.

Povědomí o nemoci prý do té doby neměla. „Nechápala jsem to, celé těhotenství jsem byla úplně v pohodě,“ svěřila se.

Zdroj: Seznam Zprávy

FN Olomouc nabízí rodinám dětských pacientů pomoc a podporu v Centru provázení

Pomoc a podporu rodinám dětských pacientů s těžkým zdravotním postižením, vzácným onemocněním nebo s nízkou porodní hmotností poskytuje od začátku letošního roku Centrum provázení ve Fakultní nemocnici Olomouc. Největší zdravotnické zařízení na střední Moravě se tak zařadilo mezi nemnoho českých a moravských nemocnic, které zdravotně - sociální poradenství při léčebném procesu dětí nabízejí. Služba zahrnující například plánování péče o dítě v domácím prostředí, pomoc při zajištění pomůcek hrazených zdravotní pojišťovnou nebo při zajištění podpory ze strany státu a nadací je hrazena ze zdravotního pojištění.

„Období přípravy, sdělování a následné péče po sdělení závažné a nepříznivé zdravotní diagnózy je naprosto zásadní v životě dítěte i jeho rodiny. Zajištění odpovídající podpory v těchto zásadních okamžicích je proto naším důležitým úkolem. Zkušenosti z praxe jasně ukazují, že nezbytným předpokladem úspěšné léčby je informovaná, spolupracující a podporující pečující osoba,“ zdůrazňuje náměstkyně nelékařských oborů FN Olomouc Ing. Bc. Andrea Drobiličová, která otevření Centra provázení iniciovala společně s MUDr. Janem Hálkem z Podpůrného a paliativního týmu. „Rodičům pomůžeme s orientací v nových informacích a také s krizovou komunikací. Snáz pak reagují na situaci, v níž se ocitli, spolupracují s lékaři a jsou tak schopni zajistit co nejlepší péči o dítě,“ dodává Mgr. Dana Balutová, vedoucí Sociálního oddělení FN Olomouc, pod nějž Centrum provázení spadá.

Provázení se odvíjí podle aktuálních individuálních potřeb rodiny a ošetřujícího personálu. Trvá zpravidla 1-6 měsíců, u závažných diagnóz i déle. „Nejdéle je možné poskytovat provázení dva roky u dětských pacientů se stejnou diagnózou,“ doplňuje pracovnice centra Mgr. Hana Heroldová. Rodiny dětských pacientů se na ni mohou obrátit například v náročném období, kdy čekají na diagnózu, při změně zdravotního stavu dítěte, při zvládnutí hospitalizace dítěte a plánování péče v domácím prostředí a v řadě dalších situací, s nimiž není lehké se vyrovnat. „Naše služby jsou je zařazeny do systému hrazené péče z veřejného zdravotního pojištění, poskytované u vybraného okruhu poskytovatelů zdravotní péče,“ dodává Hana Heroldová s tím, že olomoucké Centrum provázení čerpá z metodiky a bohatých zkušeností kolegů z již fungujících center v několika fakultních nemocnicích.

Zdroj: fnol.cz

Léčbu těžce nemocného dítěte pojišťovna nehradí

Jakub ŽELEZNÝ, moderátor

Je to nemoc, která se nedá léčit. Šestiletý Oliver má Angelmanův syndrom. Ten vzniká náhodně kvůli chybě na patnáctém chromozomu. Zjistit se dá jen pomocí cíleného genetického testu, který není součástí běžných vyšetření.

Lenka HAJGAJDA, maminka nemocného Olivera Hajgajdy

Takhle fascinované je teďka výtahama. Ještě když jsou otevřené, že tam vidí tu techniku, tak je, to je úplně. /nesrozumitelné/ to tady uťapkáš. Oliver je velmi zvědavý veselý chlapeček, kterému velmi často říkáme průzkumník, je velmi společenský. Jaký ještě jsi. Komunikativní, přestože nemluví.

reportérka

Nemluví, má problémy s rovnováhou a koordinací pohybu. Mentálně se vyvíjí mnohem pomaleji než jeho vrstevníci. I přesto, ale jeho rodiče mluví o štěstí. Oliver na rozdíl od většiny dětí s touto nemocí nemá epileptické záchvaty ani problémy se spánkem.

Lenka HAJGAJDA, maminka nemocného Olivera Hajgajdy

On mě naučil přesně ten pohled tady a teď a naučil mě právě radovat se z těch maličností, oslavujeme každý jeho pokrok, takže nemám pocit, že bychom se nějak nechali tím ochudit o radosti života.

Jakub ŽELEZNÝ, moderátor

Lenka Hajgajda teď živě ve studiu, vítám vás, dobrý večer. Lenko, děkuju, že jste přišla.

Lenka HAJGAJDA, maminka nemocného Olivera Hajgajdy

Dobrý večer.

Jakub ŽELEZNÝ, moderátor

Jak jste se dozvěděla, že Oliver má tenhle ten Angelmanův syndrom, což fakt není běžná nemoc.

Lenka HAJGAJDA, maminka nemocného Olivera Hajgajdy

Určitě ne. Zhruba v jednom roce podstoupil kompletní neurologické vyšetření potom, co jsme měli podezření na to, že se nevyvíjel, tak jak běžné děti. A genetické testy odhalily Angelmanův syndrom, který jsme slyšeli teda poprvý v životě. A co považuju asi za takové největší trauma, že bylo nám to sděleno telefonicky, takže, takže vlastně takové úplně první informace o tom, co Angelmanův syndrom obnáší, tak jsme si v podstatě studovali na internetu.

Jakub ŽELEZNÝ, moderátor

Mě vždycky u debat o těch vzácných nemocech zajímá, jak se vlastně na ně může přijít, když i sebelepší lékař se třeba s takovou nemocí ve své praxi nesetkal. Třeba o ní jenom četl nebo se s ní setkal jednou v životě. Nejsou to prostě běžné diagnózy, tak tohle na tom musí být asi dost složité i třeba pro ten, pro toho lékaře.

Lenka HAJGAJDA, maminka nemocného Olivera Hajgajdy

Je to tak. Ve většině případů těch pacientů od každé nemoci je tak málo, že je to první první setkání kolikrát i s touto nemocí, takže u nás to skutečně jsou cílené genetické testy, protože na základě nějakých projevů by se to těžko odhadovalo nebo určovalo.

Jakub ŽELEZNÝ, moderátor

Co byste poradila rodičům, kteří třeba mají takové podezření, teď nás třeba sledují a nedej bože by si řekli, aby naše dítě nemělo stejný problém.

Lenka HAJGAJDA, maminka nemocného Olivera Hajgajdy

Myslím si, že určitě je dobré vědět, čemu člověk čelí, přestože třeba na to onemocnění dané není, není léčba, tak vždycky je něco, co se dá dělat. Proto určitě bych doporučila rodičům pátrat, nenechat se odbýt lékaři. A pokud máte, já nevím, intuice vám napovídá, že něco není úplně v pořádku, tak nebála bych se klidně vyměnit doktora a prostě jít si za tím.

Jakub ŽELEZNÝ, moderátor

Vy ale s Oliverem chodíte na logopedii, na fyzioterapii, byť žádná léčba neexistuje, takže co od toho vlastně očekáváte?

Lenka HAJGAJDA, maminka nemocného Olivera Hajgajda

Léčba, která by dávala šanci Olimu na úplné vyléčení, není, ale je tu určitě spousta terapií, které mohou projev, které mohou zlepšit jeho určité symptomy a projevy.

Jakub ŽELEZNÝ, moderátor

To teď vidíme zrovna shodou okolností, ano.

Lenka HAJGAJDA, maminka nemocného Olivera Hajgajdy

Takže, ať už je to fyzioterapie, která věřím tomu, že Oliho postavila na nohy, logopedie.

Jakub ŽELEZNÝ, moderátor

Promiňte, ale vypadá tam jako klasický rošťák, což říkám s úsměvem samozřejmě, doufám, že vám to nevadí.

Lenka HAJGAJDA, maminka nemocného Olivera Hajgajdy

On je. On je.

Jakub ŽELEZNÝ, moderátor

To je správné. To musí být, to je v pořádku.

Lenka HAJGAJDA, maminka nemocného Olivera Hajgajdy

Víte co, našim dětem, oni Angelmanův syndrom, takže se nabízí anglmánci nebo také andílci, ale často říkáme, že jsou to takoví andílci.

Jakub ŽELEZNÝ, moderátor

S čertíkem v těle.

Lenka HAJGAJDA, maminka nemocného Olivera Hajgajdy

Přesně tak, v očích.

Jakub ŽELEZNÝ, moderátor

Pomáhá mu to, máte pocit, že se posouvá někam?

Lenka HAJGAJDA, maminka nemocného Olivera Hajgajdy

Určitě, určitě, stoprocentně.

Jakub ŽELEZNÝ, moderátor

Pojišťovna tuhle péči nehradí, jakou podporu byste jako máma dítěte s takhle vzácnou specifickou chorobou potřebovala?

Lenka HAJGAJDA, maminka nemocného Olivera Hajgajdy

No právě větší pružnost těch pojišťoven, myslím si, že určitě by měly reflektovat to, že jsou tady nějaké moderní terapie, které bezesporu těm našim dětem ohromně pomáhají, posouvají je a zlepšují jim kvalitu života. A vlastně ty rodiče, když chtějí podstupovat tyto terapie, tak dennodenně čelí prostě shánění peněz.

Jakub ŽELEZNÝ, moderátor

To zní dost dost zvláštně, zvlášť když jde o takhle vzácné choroby, zvlášť když jde o děti, tak by si člověk. A teď se ptám, teď to řeknu jako absolutní laik a jako táta, tak bych čekal, že to bude ten nejmenší problém, že pojišťovna řekne, tohle je nejmenší problém.

Lenka HAJGAJDA, maminka nemocného Olivera Hajgajdy

Je to jako velmi frustrující, protože skutečně vy máte nárok ze zdravotního pojištění na jednu nebo dvakrát návštěvu lázní, což ano, využíváme, taky taky dobré, ale nesrovnatelné například s některými jinými dalšími terapiemi.

Jakub ŽELEZNÝ, moderátor

Přesto ale, buďte aspoň trošku pozitivní, změnil se přístup k nemocným s Angelmanovým syndromem třeba za za těch 6 let Oliverova života aspoň trošku?

Lenka HAJGAJDA, maminka nemocného Olivera Hajgajdy

Jsou oblasti, kde určitě ano, jsou oblasti, kde určitě ano, co se týče proplácení těch terapií, tak určitě ne.

Jakub ŽELEZNÝ, moderátor

A do budoucna by mohl pomoci akční plán pro vzácná onemocnění. Česko vyzvalo v rámci předsednictví EU Evropskou unii k jeho vytvoření. Může tohle pomoci třeba dětem, jako je Oliver? Nebo dětem s podobným problémem?

Lenka HAJGAJDA, maminka nemocného Olivera Hajgajdy

Tak abych byla pozitivní.

Jakub ŽELEZNÝ, moderátor

No trošku, já bych byl rád, kdyby to aspoň trošku pozitivně skončilo.

Lenka HAJGAJDA, maminka nemocného Olivera Hajgajdy

Určitě ano, určitě ano, myslím si, že všechny tyto změny, které se připravují, tak dávají nám obrovskou šanci v tom, že je šance, že se ta kvalita života Oliho změní i teď, i v budoucnu. A už jenom to, že je tady spousta lidí a organizací, které se to snaží změnit, tak si myslím, že to je to pozitivní.

Jakub ŽELEZNÝ, moderátor

Co byste nejvíc potřebovala teď konkrétně?

Lenka HAJGAJDA, maminka nemocného Olivera Hajgajdy

Léčbu pro Oliho. Léčbu pro Oliho. Pro nás je třeba velmi pozitivní oblast výzkumu, kde se sami angažujeme s organizací Asociace genové terapie. Je tu spousta vědců, kteří třeba dávají šanci na vyléčení, ale to není to tady a teď.

Jakub ŽELEZNÝ, moderátor

Dobře. V každém případě tady a teď běžte za Oliverem, protože to je to nejdůležitější, obejměte ho.

Lenka HAJGAJDA, maminka nemocného Olivera Hajgajdy

Moc děkuju.

Jakub ŽELEZNÝ, moderátor

Já děkuju, že jste přišla a držím vám palce. Mějte se moc hezky, na shledanou.

Lenka HAJGAJDA, maminka nemocného Olivera Hajgajdy

Děkuju, na shledanou.

Jakub ŽELEZNÝ, moderátor

Vy také můžete obejmout své děti ještě před spaním. I když už spí. Dobrou noc i vám. Na shledanou.

Zdroj: Česká televize

Vzácní mezi vzácnými

Když se řekne „vzácné onemocnění“, vybaví se nám zpravidla choroba, již trpí třeba jeden člověk z tisíců, ba milionů. Jenže takových vzácných onemocnění je dnes mnoho, takže i přes raritu jednotlivých diagnóz tvoří ve svém celku už poměrně široký populační výskyt. Podle odhadů jde o cca osm procent lidí, pro které vesměs neexistuje žádná léčba.

Častá pozorování určitých nemocí je pomáhají pochopit, definovat a podporují jejich standardizované diagnostické i terapeutické přístupy. Pokud jde o vzácné choroby, podobné postupy obvykle chybí, nebo bývají velmi chudé. Navzdory tomu, že termín „vzácný“ naznačuje okrajový problém, představují tato onemocnění například v Evropě velký zdravotní problém: podle Evropské komise se týká odhadem 27 až 36 milionů lidí, z nichž 50 procent nemá diagnózu, a odhadem 95 procent pacientů se vzácným onemocněním nemá k dispozici schválenou terapii.

Když je diagnóza oříšek

Jen pro 6 procent z více než 6000 vzácných onemocnění existuje lék. Cesta k diagnóze, pokud je vůbec stanovená, trvá v průměru 5 let. Pacienti s takovou nemocí čelí velké zátěži a nejistotě. MUDr. Kateřina Kopečková, onkoložka Fakultní nemocnice v Motole se specializací na vzácné nádory a zároveň odborný garant České asociace pro vzácná onemocnění (ČAVO) tvrdí, že v těchto případech je největším úskalím právě diagnostika, protože mnozí lékaři se ještě třeba nikdy s danou nemocí neseťkali a už se také nikdy neseťkají. Vždyť leckdy bývá oříšek dopátrat se správné diagnózy i u chorob celkem běžných. Co teprve pojmenovat nemoc, již u nás třeba nikdo jiný netrpí.

„Je samozřejmě časté, že se pacient se svými problémy obrací na různé specializace a odbornosti, ale nikdo si s ním dlouho neví rady. A až časem se dostane na pracoviště, kde – i když zdejší lékaři třeba také žádnou zkušenost s jeho konkrétní nemocí nemají, ale jsou úzce zaměřeni na skupinu chorob, do níž patří – dopátrají se jí snáze. Mnozí lékaři o některých vzácných chorobách maximálně něco četli na studiích, ale takto nemocného nepotkali,“ říká odbornice.

Medicína však jde stále kupředu, a kdo ví, třeba se posune i v případě vzácných chorob. Jisté je, že i u nás žijí lidé, kteří na určení své tajemné diagnózy už léta čekají, případně ji znají, ale možnosti jakékoliv terapie jsou zatím jen hudbou vzdálené budoucnosti.

Tetrasomie chromozomu X

Ještě ve dvou letech jen ležela jako hadrová panenka. Lékaři marně pátrali po důvodu. Nikoho nenapadlo, že pátý prst jako součást paprsku čtvrtého prstu na nožkách dívky není jen zanedbatelná anomálie, ale zjevný příznak choroby zvané tetrasomie chromozomu X. Jak by také mohlo, touto nemocí nikdo jiný v naší republice netrpí a na celém světě se najde sotva padesát pacientů. Leč dnes čtrnáctiletá Rozárka je opravdu jedním z nich, což nakonec odhalili lékaři z genetického výzkumu ve Fakultní nemocnici v Motole. Matka dostala do ruky papír s diagnózou, základní fakta o nemoci a doporučení, ať si bližší informace nastuduje v odborné literatuře. Nastudovala. A dnes tak občas musí radit lékařům, nemajícím pochopitelně s chorobou pražádné zkušenosti, ani jak v případě léčby postupovat.

„Vzpomínám, jak mi tehdejší odborná lékařka v jakýchsi prehistorických genetických lékařských knihách ukazovala až děsivé černobílé fotografie dívek trpících stejným onemocněním,“ vzpomíná Klára Vaňáková. „Dnes to mohu doplnit: je to celé o dost horší. Nikde v těch knihách nebyla kapitola o tlaku, kterému budu vystavena, o problémech, které zatíží celou rodinu, o ekonomické situaci, která bude někdy nad mé možnosti, a nikde žádná zmínka o tom, že si člověk mockrát sáhne na dno svých sil.“

Tetrasomie chromozomu X je spojena s opožděným vývojem řeči, poruchami učení, opožděním psychomotorického vývoje a změnami výrazu v obličeji. Také bývá přítomná anomálie nezaloženého druhého chrupu, velká svalová slabost, srdeční problémy či oslabená imunita. Do dvou let prodělala dívka šest zápalů plic.

Hned po počátečním stanovení diagnózy jedna z lékařek matce otevřeně řekla, že to „bude blbý“. A bylo. Jenže paní Klára se nehodlala vzdát. Nesmířila se s tím, že dcera bude jen ležák, a například z neoprenu vyrobila provizorní závěsné „dupačky“, do nichž Rozárku upoutala, a celou ji chvilkami během dne vertikalizovala, aby měla alespoň trochu jiný pohled na svět. Situaci komplikoval fakt, že vůbec nikdo neměl s nemocí zkušenosti, takže když lékař nasadil speciální léčbu, která měla pomoci, dívčin stav se naopak na řadu měsíců prudce zhoršil. Nicméně díky neúnavné snaze matky se Rozárka vzdor všem prognózám naučila stát, chodit, mluvit a dílčí pokroky přicházely i v dalších směrech. Vše víceméně z její vlastní iniciativy a z vlastní kapsy.

K pesimismu má však maminka důvodů stále dost. Kolikrát se jen pokoušela najít pro dceru vhodnou školu. „Nepovedlo se. Někde byla moc zdravá, jinde moc nemocná. Někde moc chytrá a samostatná, jindy byl problém opačný. Posledním důvodem bylo, že je do třídy moc stará. A od té doby žádnou jinou školu nehledám. Být vzácný, a ještě tak nějak na hraně zlomu, mezi tím či oním, je velmi složitě.“

Nakonec dívka našla místo v kroužku, který vede ředitelka soukromé školy, kam nějaký čas chodila. Alespoň zde se posouvají limity. Neumíte udělat kotrmelec? Nevadí! Ivanka Kriegelová, duchovní máma téhle organizace, se stane průvodcem. „Obalí“ malého sportovce vlastním tělem a kutálí se s ním. Kotoul je tu! Rozárka sem chodí jako asistentka trenérky, pomáhá dětem překonat strach, nejistotu nebo je jen navede na směr, kterým mají popoběhnout. Je nadšená, že někomu může i ona podat pomocnou ruku. **

Tu podala i mamince, které vzal covid o dost mladší sestru, a pak ji samotnou připravil o sluch. Naštěstí se lidé na Doniu.cz složili na sluchadla.

Loni Rozárka napsala Ježíškovi, že by si moc přála naučit se plavat. Taková přání Ježíšek plní těžko. Ale maminka se nevzdává. Dva dny v týdnu je dívka v bazénu, trenérka Jitka Pilíková jí pomáhá zbavit se strachu z vody. „V tomhle skvělém týmu to určitě dokážeme!“ má jasno Klára Vaňáková. A všem, co pomáhají, vzkazuje: „Mojí milí, kterým osud jedné ‚vzácné mezi vzácnými‘ není lhostejný, jste mi vším. Bez vás bych tuhle vzácně těžkou cestu nezahládla.“

Angelmanův syndrom

Málokteré dítě je tak usměvavé, společenské a energické. V jeho přítomnosti se cítíte blaženě. Není divu, že se v tomto případě občas spíš než o nemoci hovoří o „syndromu šťastného dítěte“. Šťěstí má ale i odvrácenou tvář: absence řeči, mentální retardace, motorické problémy, nedostatek spánku, také poruchy polykacího reflexu či epileptické záchvaty. Je celoživotně odkázané na péči druhých. To je jen hrubý výčet některých projevů Angelmanova syndromu. Vzácného chromozomálního defektu, který postihl i Olivera, syna inženýrů Radoslava a Lenky Hajgajdových.

Že jde právě o tuto chorobu, odborníci zjistili, když byl chlapečkovi rok. O nemoci nevědí ani mnozí lékaři, není tedy divu, že rodiče, ač velmi vzdělaní, netušili, o co jde. Nicméně okamžitě začali vyhledávat veškeré dostupné informace. Nelítostný verdikt „neléčitelný“ v jednu chvíli protkla informace o tom, že z genetického pohledu dávají vědci této chorobě v budoucnu naději na uzdravení. Rodičům vlila energii a sílu jít vstříc nemožnému. „Byla to taková jiskřička naděje v dálce. Můj manžel se k ní upnul a začal téma do hloubky studovat. Zkusil pak oslovit české vědce a nějakým způsobem rozhybat výzkum tohoto onemocnění i tady v Čechách. A k našemu velkému přepostoupit se to podařilo,“ vzpomíná Lenka Hajgajda.

Rodiče se obrátili na Akademii věd ČR a České centrum pro fenogenomiku, kde odborníky myšlenka, že se blízcí pacienta sami snaží iniciovat základní výzkum, nadchla. Hajgajdovi zároveň založili Asociaci genové terapie, jež výzkum Angelmanova syndromu u nás podporuje.

„Na téma Angelmanova syndromu

probíhá spousta výzkumů po celém světě a je i několik léků v klinických zkouškách. To je samozřejmě velká naděje. Jenže tyto klinické zkoušky se zatím dostávají do slepých uliček. To byl impuls, který přivedl manžela k tomu, že je třeba vrátit se na úplný počátek, k základnímu výzkumu, a přesně pochopit principy onemocnění. A teprve pak k dalšímu kroku, klinickým zkouškám. Víme, že to bude trvat mnohem déle, a tím snižujeme šanci, že léčba pomůže našemu Olimu. Ovšem jsme přesvědčeni, že toto je ta správná cesta, aby byl Angelmanův syndrom jednou léčitelné onemocnění,“ říká Lenka.

Oliver zatím každý den nadšeně dochází do speciální školky, kde si užívá třeba hipoterapie či muzikoterapie. „Neustále ale musíme být opatrní, abychom Oliho nepřetěžovali,“ upozorňuje maminka. „Když je nespokojený nebo unavený, dává to v posledních týdnech hodně hlasitě najevo. Což je občas vyčerpávající. Je to neustálá zkouška naší trpělivosti, která bohužel jednou za čas dojde. Snažíme se tak hodně dbát na určitý balanc v životě a nezapomínat na odpočinek a společné chvílky, kdy si jednoduše jen užíváme jeden druhého.“

Nejvyšší metou rodičů je přispět k tomu, aby jednoho dne byl Angelmanův syndrom zcela léčitelný. Šance je pouze v případě podání genové terapie, navíc nejlépe hned po narození nebo ještě v prenatálním stadiu. Přesto věří, že se snad za několik let podaří vyvinout lék, který pomůže i dětem, jako je Oli. Nejvíce je teď trápí neustále hrozící epileptické záchvaty. „Kvalitu života by nám určitě velmi zvedla možnost komunikovat s ním mluvenou řečí. V tuto chvíli se snažíme Oliho naučit alternativní způsob komunikace pomocí piktogramů. Jeho schopnosti jsou ale velmi omezené. Také mě trápí jeho zranitelnost. Nedovedu si představit, že tu jednoho dne nebudeme, abychom ho chránili, a Oli tu nebude mít naši náruč, kam se může kdykoli schoulit,“ svěřuje se Lenka Hajgajda.

Duchennova svalová dystrofie

„Jakubovu diagnózu mi sdělil pan primář Honzík na oddělení metabolických poruch. Dětské doktorce se zdál bledý, a tak nechala udělat krevní rozbor kvůli železu. Našla několiksetkrát zvýšené jaterní enzymy. Byl to jasný průšvih,“ vzpomíná Pavla Němcová. Podstoupil genetické vyšetření, na jehož výsledky čekali několik měsíců, a modlili se, aby se někde někdo spletl. Nespletl. V synových 13 měsících věděli, že má Duchennovu svalovou dystrofii. Netušili, o co jde. Jediná specializovaná neuroložka byla na roční stáži v Anglii a „běžným“ doktorům byla tato vzácná diagnóza známá jen z knih. „Nebyli mi schopni zodpovědět otázky, zda bude někdy chodit, či zda bude mít i mentální handicap. Ale alespoň mi na rovinu řekli, že nevědí.“

Genetická vada postihuje pouze chlapce a je typická ochabováním a ztrátou aktivní svalové hmoty. V současné době je Jakub ve fázi, kdy ztrácí sílu, občas padá a už nevstane. „Při této diagnóze je velice těžké vysvětlit okolí, jak je vážná. Syn vypadá víceméně normálně. Mentální poškození nemá. Když jsem ale poprvé viděla starší kluky, nemohla jsem několik hodin mluvit...“

Vzhledem ke skvělému přístupu vedení ZŠ Starochodovská a jejich přidružené školce chodí Kuba do standardní třídy. Když si pořád zoufal, že klukům nestačí, stala se skvělá věc. „Díky mé klientce Kristýně Budské dostal šanci začít hrát powerchair hockey – florbal na elektrických vozíčkách. Jeho tým Jaguars Praha zakládá momentálně dorostové družstvo, reprezentují ČR v tomto sportu na mezinárodní úrovni. Kuba dostal do užívání elektrický vozík, a tím se stal pánem svého života. Dojede, kam potřebuje a jak daleko chce sám.

Přesto ke každodenním obavám z budoucnosti stále přibývají otázky: Proč třeba pojišťovny nehradí invalidní vozíky s vertikalizací? Mají podobnou cenu jako elektrické, které se vyvýší v sedu, ale člověka ztuhlého do sedu už nenatáhnete. Dojít si na záchod bez pravidelné vertikalizace je též poněkud složitější. Jsme v experimentální léčbě a díky tomu je možné být součástí klinické studie. Bizarní je, že lék, který užívá, schválilo FDA, ale ne EMA (FDA – americký Úřad pro kontrolu potravin a léčiv, EMA – Evropská agentura pro léčivé přípravky – pozn. red.). Tudíž po konci experimentální léčby nám ho seberou?“ zamýšlí se paní Němcová.

I u nás žijí lidé, kteří na určení své tajemné diagnózy už léta čekají, případně ji znají, ale možnosti jakékoliv terapie jsou zatím jen hudbou vzdálené budoucnosti. Nelítostný verdikt „neléčitelný“ v jednu chvíli protkla informace o tom, že z genetického pohledu dávají vědci této chorobě v budoucnu naději na uzdravení.

Zdroj: Květy

Svaz zdravotních pojišťoven: Schodek systému bude 12 mld., vyčerpají se rezervy

Praha - Zdravotní pojišťovny plánují letos schodek systému veřejného zdravotního pojištění ve výši 12 miliard korun. Očekávané příjmy budou 464 miliard, o 7,4 procenta vyšší než loni. V tiskové zprávě to dnes uvedl Svaz zdravotních pojišťoven (SZP), jehož členy je šest menších pojišťoven. Schodek systému pojišťovny čekaly i v letech 2021 a 2022, reálně ale hospodařily lépe. Největší Všeobecná zdravotní pojišťovna (VZP) před koncem roku uvedla, že výsledkem za 2022 bude vyrovnané hospodaření nebo ztráta do jedné miliardy korun.

Svaz letos očekává velmi obtížná jednání se zástupci poskytovatelů zdravotní péče o jejich úhradách v roce 2024, protože rezervy pojišťoven budou podle svazu vyčerpány.

Pojišťovny loni v listopadu odevzdaly své zdravotně-pojistné plány na letošní rok. Proti loňskému roku navyšují úhrady o 8,5 procenta, což je zhruba o procentní bod víc než očekávaný nárůst příjmů.

"Deficit v roce 2023 se ještě uhradí ze zůstatků na fondech pojišťoven, ale už se nebezpečně přibližujeme hranici, kdy nebude z čeho dál čerpat. Navíc deficit prakticky znemožní cenové dohody pro rok 2024, o nichž by se mělo začít jednat už v březnu," uvedl v tiskové zprávě prezident svazu Ladislav Friedrich.

Pojišťovnám taková finanční situace podle něj umožní nabídnout meziroční navýšení úhrad jen o tři až čtyři procenta, poskytovatelé ale budou i kvůli inflaci očekávat výrazně víc.

Hlavní příčinou schodků jsou podle svazu centrálně určované ceny za vykázanou péči, které jdou nad možnosti systému a které pojišťovny nemohou ovlivnit. "Nejen vedou k deficitům, ale omezují možnosti zdravotních pojišťoven reagovat na konkrétní situaci jednotlivých poskytovatelů péče a smluvně intervenovat ve prospěch pacientů," sdělil Friedrich.

Spravedlivější by podle něj bylo, aby každá ordinace i nemocnice měla přiměřený zisk, který by odpovídal nákladům a kvalitě služeb pro pacienty. "Toho však plošným cenovým předpisem dosáhnout nelze," dodal.

Dohodovací řízení mezi zdravotními pojišťovnami a zástupci 14 segmentů zdravotní péče na rok 2024 začne letos v březnu. V červnu by pak mělo být jasné, zda se dospěje k dohodám, nebo ministerstvo pro některé oblasti péče úhrady určí. Do konce října pak ministerstvo výsledky dohod i navržené úhrady pro segmenty bez dohod shrne v úhradové vyhlášce na rok 2024.

Ministr zdravotnictví Vlastimil Válek (TOP 09) před koncem loňského roku uvedl, že chce letos dosáhnout v dohodovacím řízení některých změn. "Chtěl bych dosáhnout změny dohodovacího řízení tak, abychom se bavili o delším horizontu, třeba dvou let," uvedl tehdy Válek. V letošním roce je naposledy fixně stanovená měsíční částka 1900 korun, kterou stát hradí do systému veřejného zdravotního pojištění za děti, seniory nebo nezaměstnané. Od roku 2024 státní platby do zdravotnictví porostou o inflaci a o polovinu růstu reálné mzdy. Pokud by ekonomika nerostla, zůstane platba stejná.

Zdroj: ČTK

Problém s dostupností léků přetrvá do jara, na podzim už bude vyřešen, očekává Válek

S nedostatkem léků se bude Česko, potažmo Evropa potýkat až do jara, očekává ministr zdravotnictví Vlastimil Válek (TOP 09). V Otázkách Václava Moravce však ujistil, že se snaží potíže co nejvíce zmírnit a objednal přípravky z mimoevropských zemí. Problém je však i v tom, že se poptávka po lécích zvýšila, za tři týdny se podle něj vykoupily zásoby Nurofenu, které by jindy vystačily na čtvrt roku. Místo- předsedkyně sněmovního zdravotního výboru Karla Maříková (SPD) se obává, že se situace může ještě zhoršit kvůli německému rozhodnutí odstranit stanovené maximální ceny pro některé léky.

V Česku se šíří akutní respirační infekce a přes zmírnění v době vánočních prázdnin neočekávají zdravotníci, že by rychle skončila. Nemocných je více, než bývalo obvykle při epidemiích před příchodem covidu-19, ale ministr zdravotnictví se nechystá prosadit povinnost nosit respirátory.

„My jsme o tom velmi intenzivně diskutovali. (...) Situace není taková. Poslali jsme samozřejmě doporučení do zdravotnických zařízení,“ řekl Válek.

Shoduje se v tom se svými politickými konkurenty i lékaři. Podle opoziční poslankyně Maříkové není situace tak špatná, že by bylo potřeba plošně nařídit ochranu dýchacích cest. Za vhodné by spíše považovala apel, aby nemocní lidé nechodili do práce. „Cílem je, aby se lidé naučili s viry žít, protože nezmizí, a abychom byli zodpovědní. Ne abychom cokoli nařizovali,“ podotkla.

I podle předsedy Sdružení praktických lékařů Petra Šonky je potřeba „se vrátit k tomu, že se musíme s virózy naučit žít“.

Chybějící léky

Letošní chřipková sezona je však zvláštní tím, že chybějí některé léky. Ministr Válek zdůraznil, že je to tak v celé Evropě, a nemyslí si, že se to vyřeší do konce zimy. „Musíme počítat s tím, že do konce března bude situace stále velice složitá,“ předeslal.

Dodal však, že ministerstvo se snaží zažehnat největší krizi. Mimo jiné se obrátil na výrobce z mimoevropských zemí, což mu nově umožňuje zákon. „Pojišťovny je zaplatí v té výši, která bude skutečnou cenou léku,“ ujistil.

Válek zároveň věří, že do podzimu se podaří situaci nadobro vyřešit. „Kroky, které jsme podnikli i v rámci předsednictví, které podniká HERA (Úřad pro připravenost a reakci na mimořádné situace ve zdravotnictví), které podniká pan náměstek Dvořáček, povedou k tomu, že na podzim to snad už bude v pořádku,“ slíbil ministr.

Maříková se však obává, že kvůli tomu, že stát reguluje ceny předepisovaných léků, může nedostatek trvat dlouho. „Stát tlačí, aby byla cena co nejnižší a pro farmaceutické firmy je atraktivnější, když dají lék do jiné země, kde na něm více vydělají,“ uvedla.

Nynější situaci na trhu s léky dala také do souvislosti s válečnými uprchlíky z Ukrajiny. „Teď tady máme, musíme si uvědomit, několik set tisíc lidí z Ukrajiny. Jsou to i děti a matky s dětmi. Proto chybí

i léky pro děti. A nějaké léky se vyvezly na Ukrajinu. I to může mít podíl na tom, proč léky nejsou," prohlásila Maříková.

Lékaři a také lékárníci si stěžují, že se jim v podmínkách, kdy některé přípravky nejsou, špatně pracuje. Podle prezidenta České lékárnické komory Aleše Krebse je značně zatěžuje způsob, kterým se objednávají léky. Neexistuje systém, který by je upozornil, že dříve nedostupný přípravek mají distributoři právě na skladě. „Pokud se lék u distributora objeví, někdy tam vydrží jenom pár minut. Tak musíme hlídat, jaké léky a v jakém množství jsou k dispozici,“ poukázal.

Protože se nedostatek týká mimo jiné některých antibiotik a dalších léků na předpis, musí také lékaři zjišťovat, co vlastně mohou nemocným pacientům dát. „Dost často neléčíme tím, co by bylo optimální pro pacienta jako lék volby, nebo co by bylo odpovědné v rámci účelné antibiotické terapie, která by nezvyšovala rezistenci na antibiotika, ale léčíme tím, co prostě je,“ zdůraznil Šonka.

Za ideální by považoval, kdyby stát zajistil, že se lékař vše dozví automaticky, když vyplňuje elektronický recept. „Abych ve chvíli, kdy předepisuji lék, se dozvěděl, že není,“ nastínil.

Ministr zdravotnictví přičítá nynější situaci zejména tomu, že si výrobci léků špatně spočítali poptávku, protože předpokládali, že déle potrvají přísné covidové restriktce. Neočekávali proto takovou vlnu akutních respiračních infekcí, jaká přišla.

Podle Krebse se opravdu antibiotik spotřebovává velké množství. „Mají v současné době u antibiotik spotřebu, jako byla v předcovidových letech za celé sezony. A to jsme v první polovině ledna. Takže nebylo lehké to predikovat,“ podotkl.

Potíž je i v tom, že si lidé v obavách, že nebudou, pořizují léčiva do zásoby. Krebs upozornil, že některé lékárny proto stanovily limit na počet balení, které prodají jednomu zákazníkovi. Podle Válka se to projevilo například v tom, že když se podařilo dovézt dětský Nurofen, prodalo se za tři týdny množství, které by v předcovidových letech vystačilo na čtvrt roku.

Za „minoritní problém“ naopak označil Válka černé obchodování s antibiotiky, byť připustil, že je to existující problém. Šéf lékárníků před nákupy antibiotik na internetu varoval, upozornil však, že se snahy prodávat léčiva například prostřednictvím internetových bazarů objevují již delší dobu. „Ta činnost jako taková je sama o sobě v rozporu se zákonem. Druhá věc je, že to může být velice nebezpečné,“ zdůraznil. Kromě nesprávné indikace hrozí podle něj, že takto pořízený lék bude padělek, anebo že bude poškozený špatným skladováním.

Zdroj: Česká televize

České předsednictví dosáhlo významných úspěchů v oblasti zdravotnictví

Ministerstvo zdravotnictví má za sebou úspěšný půl rok v čele Rady ministrů zdravotnictví Evropské unie. Prioritami byly onkologie, vzácná onemocnění, posílení důvěry v očkování, posílení globální role EU v oblasti zdraví a pomoc Ukrajině. V těchto oblastech se podařilo dosáhnout významných politických i legislativních úspěchů, které byly oceněny evropskými partnery i institucemi.

S cílem zkvalitnění zdravotní péče pro všechny občany Evropské unie si Ministerstvo zdravotnictví v rámci českého předsednictví v Radě Evropské unie (CZ PRES) stanovilo ambiciózní cíle v několika stěžejních oblastech, které vyžadují nejen pozornost na národní úrovni, ale i na úrovni nadnárodní. Důraz proto kladlo na problematiku onkologie, dostupnosti léčby vzácných onemocnění nebo vytvoření základů pro společné sdílení zdravotní dokumentace neboli European Health Data Space. Důležitým tématem bylo také očkování a v neposlední řadě posílení globální role EU v oblasti zdraví.

Rozšíření screeningových vyšetření

V oblasti onkologie je zásadní prioritou především prevence, včasné odhalení rakoviny a zlepšení kvality života onkologických pacientů. České předsednictví si v této oblasti připsalo několik úspěchů. Jedním z nich bylo přijetí doporučení Rady k preventivním screeningovým vyšetřením, které sjednocuje evropské standardy včasné detekce onkologických onemocnění. V oblasti screeningů karcinomu děložního hrdla, karcinomu prsu a kolorektálního karcinomu jsou již zavedené screeningové programy a u screeningového vyšetření rakoviny plic se jedná o program pilotní. Čeští muži budou mít screening karcinomu prostaty, pilotní projekt bude připraven již letos. Screeningová vyšetření by se měla dále rozšiřovat a zkvalitňovat na základě vývoje nových diagnostických nástrojů a technologií. Přijaté doporučení stanoví jednotná pravidla pro provádění screeningů v celé EU, zaručí tak stejnou kvalitu péče pro všechny. Česká republika dále zásadně přispěla k implementaci evropského plánu boje proti rakovině tím, že připravila plán priorit, ke kterému získala podporu všech členských států.

Lepší přístup ke specializované léčbě

České republice se dále podařilo posunout zásadním směrem i snahy o vytvoření Evropského akčního plánu týkajícího se vzácných onemocnění tak, aby všichni pacienti v Evropě měli stejný přístup k dostupné a efektivní léčbě. Vytvoření Akčního plánu napomůže nejen včasné diagnostice a zahájení léčby, ale také povede ke zvýšení nadějí na plnohodnotný život. Snahou bylo postavit se vzácným onemocněním čelem, léčit jejich příčiny, a nikoliv pouze eliminovat následky. Proto byla pozornost věnována tematickým aspektům vzácných onemocnění jako například podpoře širšího novorozeneckého screeningů.

Pozvednutí důvěry v očkování

Velkým tématem českého předsednictví bylo také očkování, neboť v důsledku pandemie covid-19 došlo ke snížení důvěry v očkování jakožto efektivního nástroje v boji proti řadě nemocí. V této souvislosti došlo k ustanovení národních a nadnárodních komunikačních skupin, které zásadně podpoří boj

proti dezinformacím a pozvednutí důvěry Evropanů v očkování, které nám pomohlo zvládnout nejen covid-19, ale historicky porazit i celou řadu onemocnění. ČR dále apelovala na rozšíření využití digitálního očkovacího průkazu. S tématem úzce souvisí i jednání s výrobcí vakcín proti covid-19, ke kterým Česká republika přistoupila s jednoznačným cílem hájit zájmy a zdraví všech občanů EU.

Posílení bezpečnosti dárců i příjemců

Česká republika v neposlední řadě během svého předsednictví zahájila projednávání legislativního předpisu, jehož přijetím dojde k významnému posílení bezpečnosti dárců nejen krve a plazmy, ale také jejich příjemců. Upravena budou nově i pravidla pro darování např. mateřského mléka a dalších lidských tkání a buněk. „Mnoho projednávaných a úspěšně prosazených bodů jednotlivých agend včetně legislativních úprav pocítí občané již v blízké budoucnosti. Jako například příprava a následné zavedení screeningu karcinomu prostaty pro muže mezi 50-70 lety, lepší se také dostupnost novorozeneckého screeningu, přístup k léčbě pacientů se vzácnými onemocněními a podařilo se nám zajistit, aby občan České republiky měl vždy nejnovější typ vakcíny proti covid-19,“ uzavřel konkrétní kroky pro občany ČR ministr zdravotnictví Vlastimil Válek.

Zdroj: Zezdravotnictvi.cz

Dokončili jsme strategický plán organizace a založili pět pracovních skupin NAPO

Po necelém prvním roce fungování NAPO jsme ve středu 23. listopadu zorganizovali celodenní strategické plánování s cílem připravit plán priorit na příštích 12 měsíců a na dalších pět let. Na ně navázalo druhé strategické setkání, které proběhlo v úterý 24. ledna 2023. Workshopy facilitoval Petr Machálek, v obou případech se zástupci a zástupkyně členských organizací účastnili osobně i online připojení na dálku.

Z velkého množství témat, která se nám na počátku diskuze zdála všechna urgentně důležitá, jsme společně vybrali jedenáct priorit, na něž se NAPO v dalších letech zaměří. Stanovili jsme cíle, kterých bychom v daných tématech chtěli v roce 2023 dosáhnout.

Významným výsledkem strategického plánování je založení pěti pracovních skupin, které se budou věnovat jednotlivým tématům, rozvíjet je a určovat oficiální pozici NAPO. Máme radost, že se do práce NAPO aktivně zapojují jeho členské organizace a daří se nám společně formovat silný hlas pacientů.

Děkujeme za účast: Achilleus, Aliance žen s rakovinou prsu, Asociace genové terapie, Asociace muskulárních dystrofií, Česká společnost AIDS pomoc, Česká asociace pro vzácná onemocnění, České ILCO, Debra, Diakar, Diaktiv ČR, Down Syndrom, Frieda, HAE Junior, Klub nemocných cystickou fibrózou, Líp a spolu, Metoděj, Ondřej – sdružení na pomoc duševně nemocným, PARENT PROJECT, Popálky, Revma Liga ČR, Společnost pro bezpečnou dietu, Sdružení pacientů s plicní hypertenzí, Společnost E, Spolek KOLUMBUS.

Zdroj: silapacientu.cz

S virtuální realitou zachraňují životy v IKEM

KRČ Rok 2022 byl pro pražský Institut klinické a experimentální medicíny (IKEM) opět rokem „zá-zraků“. V tom loňském se lékařům podařilo uskutečnit nejvyšší počet transplantovaných orgánů. Letošek byl pro změnu rokem několika unikátních operací, díky kterým se lékařům podařilo zachránit a vylepšit mnoho životů.

MF DNES ve spolupráci se zástupci IKEM vybrala a přibližuje tři nejzajímavější výkony, které se v krčské nemocnici za uplynulý rok povedly či začaly provádět.

Slovensko–Česko a zpět

IKEM nově rozšířil program transplantace Langerhansových ostrůvků do celé České republiky a poprvé s ní překročil i hranice státu. Pacienti, kterým způsobuje potíže jejich vlastní slinivka, se mohou léčit v nemocnici přímo ve svém regionu, do IKEM putuje jen slinivka. Lékaři v institutu pak s izolovanými ostrůvky míří za pacientem a transplantují v jiné nemocnici. V posledním případě poslali lékaři ze Slovenska slinivku do Prahy, načež z ní místní tým získal ostrůvky a převezl ji zpět, kde je aplikoval. Pro Slovensko to byla vůbec první transplantace Langerhansových ostrůvků v historii. Na Slovensku podstoupil transplantaci devětadvacetiletý pacient, který trpěl opakovanými život ohrožujícími záněty slinivky. „Ako príčina týchto zápalov mu bola zistená vrozená chronická pankreatitída, pri ktorej hrozí riziko vzniku rakoviny pankreasu. Pankreas sa preto musel celý odstrániť, čo by však pacientovi spôsobilo ťažkú formu cukrovky,“ popsala stav pacienta Lenka Nosáková z Univerzitní nemocnice Martin.

Vzhledem k pacientově mládí se lékaři rozhodli pro autotransplantaci. Žláza, která byla vyoperována na Slovensku, letěla ještě týž den do Prahy, kde lékaři provedli izolaci Langerhansových ostrůvků. Zpracované buňky přepravil IKEM ten samý den zpět na Slovensko, kde byly pacientovi úspěšně implantovány do jaterní žíly.

Naděje pro pacienty s polykáním

Achalázie je vzácné onemocnění, jehož příčinu se dosud nepodařilo určit. Lékaři předpokládají, že jím v Česku trpí asi 5 tisíc lidí. U dětí je její výskyt velmi vzácný, jde jen o několik případů ročně. Pro nemocné ale znamená velmi nepříjemné a závažné komplikace, nemohou se totiž pořádně najíst ani napít. Problém se dá řešit například laparoskopickou operací. Endoskopisté v IKEM ale nově nabízejí méně invazivní variantu – takzvaný POEM, který nezanechá viditelné jizvy, je téměř o polovinu levnější a navíc má vysokou úspěšnost.

„Záhy po výkonu se uleví většině pacientů, dva dny po něm mohou zas normálně pít, tři dny od něj mohou začít i s jídlem. Ani po jednom z výkonů, které jsme dosud udělali, nepotřeboval pacient chirurgický zásah,“ popisuje Jan Martínek, lékař Oddělení gastroenterologických metod IKEM. Tento výkon nově IKEM nabízí i všem dětem starším 8 let.

„První jsme provedli u devítiletého chlapce ve spolupráci s dětskou klinikou ve Fakultní Thomayerově nemocnici. Jeho maminka si nás sama našla na internetu a oslovila nás zhruba před rokem. Výsledky jsou u něj stejně dobré jako u dospělých. Nabízíme proto i dalším rodičům, jejichž dítě trpí achalázií, aby se na nás obrátili,“ doplňuje Martínek, který spolu s kolegy provedl endoskopický výkon i u šestnáctiletých pacientů.

VR a 3D tisk

Využívá se především u složitých operací a transplantací jater u dospělých i dětí, použití najde i v kardiologii. IKEM teď plánuje program rozšířit. IT specialisté a chirurgové mají k dispozici pomocný software pro převod dat do virtuální reality, který jim umožní zkrátit zpracování z jednoho nebo dvou dnů na několik hodin. Mohou tak využít metodu i v případech akutního selhání jater, při kterých operace nesnese odklad. Virtuální realita umožní zobrazit i dětská játra do nejmenšího detailu a v maximálním rozlišení. Právě proto se u operací jater využívá nejčastěji.

„Virtuální realita a 3D tisky modelů orgánů nám dodávají nový rozměr a možnosti v předoperační i operační přípravě. Můžeme se ještě před samotnou operací nebo i během operace samotné detailně podívat na ty nejdrobnější struktury a promyslet, jak složitou operaci provedeme. Takto jsme se například připravovali v posledním roce na více než deset dětských velmi vážných případů a modely jsme vytvářeli i pro 93 dospělých. Navíc můžeme obraz sdílet v reálném čase s užitím headsetu i s dalšími kolegy, a to i v jiných zemích a diskutovat nad nejlepší variantou operace,“ vysvětluje přínosy Jiří Froněk, přednosta Kliniky transplantační chirurgie, který v IKEM virtuální realitu rozvíjí.

Souvislosti První transplantace jater od žijícího dárce

IKEM provedl první transplantaci jater od žijícího dárce, jejichž příjemcem byla dospělá pacientka. Dosud byla takto v ČR transplantována játra jen 3 dětem, přitom transplantace dospělému pacientovi je technicky mnohem náročnější. Dárce je v tomto případě odebrána mnohem větší část životně důležitého orgánu. IKEM tak rozšiřuje spektrum pomoci pacientům s jaterními chorobami včetně nádorů. „Je to dáno zejména tím, že pro dospělého příjemce musíme odebrat od žijícího dárce mnohem větší kus jater. Přitom nesmíme ohrozit jeho život. I proto se na tyto nejtěžší výkony připravujeme i pomocí virtuální reality, která nám umožní se podívat na orgán nejen z venku, ale i zevnitř na cévní řečiště, a získáváme tak velkou míru jistoty, protože víme, do čeho přesně jdeme,“ vysvětluje Jiří Froněk, který podobné operace jezdí provádět do zahraničí, kde tyto programy úspěšně zachraňují životy pacientům.

Zdroj: Mladá fronta Dnes

Brussels Rare Disease Week 2023

EURORDIS is delighted to welcome you soon at the second edition of the Rare Disease Week (RDW) ! After a virtual edition in 2021 that brought together more than 30 patient advocates, we are excited to announce that the RDW 2023 will finally be held in-person at the heart of Europe in Brussels.

The goal of these four-days series of events is to empower rare disease patient advocates with knowledge and skills enabling them to effectively participate in advocacy activities at the EU level and, as a result, to influence the EU decisions that have a direct impact on their lives.

Through RDW, the hope is also to raise awareness of rare diseases amongst EU decision-makers and present a strong and united message to MEPs and other policy-makers in Brussels on behalf of the rare disease community.

Below, you will find more information about the event (programme, practicalities, webinars etc) that will be regularly updated.

As part of Brussels Rare Disease Week, MEP Frédérique Ries will host a conference, 'For a patient-driven evolution of the Orphan Medicinal Product Regulation: Addressing unmet needs', in the European Parliament on Wednesday 8 February. This conference will reflect on how the EU can ensure that more and better treatments are available, accessible and affordable for people living with rare diseases. The live-streamed event will allow for the sharing of patients', clinicians', regulators' and developers' perspectives.

When?

The RDW itself will be held from Monday 06 February to Thursday 09 February 2023, in the lead up to Rare Disease Day 2023 (28 February). The stay in Brussels is preceded by an online mandatory programme composed of 2 training modules and 3 webinars.

Zdroj: Eurordis.cz

Země EU stále nedokáží využít potenciál referenčních sítí

Naprostá většina zemí EU do konce prosince podpořila českým předsednictvím formulovanou výzvu ke vzniku evropského akčního plánu pro vzácná onemocnění. Součástí dokumentu je i apel na podporu integrace evropských referenčních sítí, této péče o pacienty se vzácným onemocněním, do národních zdravotnických systémů a také zajištění jejich finanční udržitelnosti. Bez toho zůstává potenciál, který ERN jednotlivým zemím nabízí, nevyužitý, upozorňují odborníci.

Evropské referenční síť (ERN – European Reference Network) sdružující pracoviště specializující se na práci s pacienty se vzácnými onemocněními představují podle odborníků příběh opravdu úspěšné spolupráce, kterou umožnila Evropská unie. V současné době jich existuje pro různá onemocnění již 24, propojují kolem pěti set evropských nemocnic, dvou tisícovek odborných týmů a dvaceti tisíc zdravotníků, kteří pečují o zhruba milion až milion a půl pacientů ročně. To je kapacita, která se vejde do 153 Airbusů 320, snažil se to vloni přiblížit účastníkům odborné konference ke vzácným onemocněním v Praze Alexis Arzimanoglou, předseda skupiny koordinátorů ERN a koordinátor ERN pro epilepsie EpiCARE.

Po pěti letech existence (první ERN byly ustaveny v roce 2017), kdy si sami jejich koordinátoři vyjasňovali způsob vzájemné spolupráce a komunikace, však nastal čas posunout se dál a začít plně využívat know-how a potenciál, který tyto síť nabízí, a to i zpětně na národní úrovni. „Jsme zde a jsme připraveni, abychom byli využiti. Nejsme nic virtuálního. ERN se mohou stát katalyzátorem změn i ve členských státech samotných,“ konstatoval na pražské konferenci koordinátor sítě MetabERN, zaměřující se na vzácná dědičná metabolická onemocnění, Maurizio Scarpa.

A to je úkol pro samotné státy, protože se neobejde bez podpory politiků a v konečném důsledku i plátců péče. Právě k nim směřuje výzva k akci v oblasti vzácných onemocnění, jež je výsledkem práce uplynulého českého předsednictví v Radě EU a zmíněné pražské konference a jež se z velké části věnuje právě fungování ERN a podpoře jejich integrace do národních zdravotnických systémů.

ERN nebudou plně funkční bez podpory center na národní úrovni

Vznik evropských referenčních sítí pro vzácná onemocnění umožnila směrnice EU o právech pacientů v přeshraniční zdravotní péči z roku 2011. Ta vůbec poprvé hovoří o tom, že i pacienti, jejichž stav vyžaduje zvláštní koncentraci zdrojů a znalostí, si zaslouží vysoce kvalitní zdravotní péči a Evropská unie by to měla podpořit zřízením těchto sítí. Ty se měly zároveň stát i místem pro výzkum, vzdělávání a osvětu obecně.

Jak již bylo zmíněno, trvalo ještě několik let, než bylo formálně ustaveno celkem 24 sítí, každá pro jednu oblast onemocnění. V roce 2017 zahrnovaly kolem devíti set týmů z tří stovek evropských nemocnic a čeští experti se již tehdy přihlásili do sedmnácti z nich. V roce 2021 došlo k dalšímu rozšíření na současných téměř dva tisíce odborných pracovišť. Ta v současné době představují skutečná centra excelence pro danou oblast, která navíc procházejí přísným auditem renomovaných společností jako je agentura PricewaterhouseCoopers. Shromažďují expertízu na diagnostiku onemocnění a jeho léčbu, probíhají v nich klinické studie a výzkum, vzdělávají.

Často přitom tato vysoce specializovaná odborná pracoviště nejsou na národní úrovni nijak formálně uznávána či právně zakotvena, jak na jiné odborné konferenci k vzácným onemocněním v Bruselu upozornil vedoucí Národního koordinačního centra pro vzácná onemocnění při Fakultní nemocnici

Motol Miroslav Macek. A to představuje základní problém pro plné využití jejich potenciálu, která nabízí. Ani sebelepší síť totiž nebude plně funkční, pokud se její jednotlivá pracoviště nestanou pevnou součástí domácích zdravotnických systémů. Každý pacient musí být totiž nejdříve „nalezen“, tedy správně vyšetřen a diagnostikován, než se dostane do centra. A to není v případech vzácných onemocnění rozhodně nic jednoduchého – v této souvislosti se dokonce hovoří o diagnostické „odyseji“, kdy pacient putuje i několik let systémem, než se podaří (pokud se to vůbec podaří) odhalit skutečnou příčinu jeho potíží.

„Aby pacienti dostali správnou odpověď, musí být domácí systém dobře strukturován,“ tvrdí Alexis Arzimanoglou. Míra příspěvku ERN k určení diagnózy, nastavení léčby a sdílení znalostí je tak do značné míry závislá na tom, jak si její odborníci stojí v národním systému a jak jsou k nim tyto pacienti schopni se nakonec dostat a těžit z jejich expertízy.

Zmíněná výzva českého předsednictví proto hovoří o potřebě silnější integrace ERN do národních zdravotnických systémů. „Otázka však spíše stojí, nakolik dokáží národní systémy využívat jejich expertízu,“ vysvětluje Arzimanoglou. Jiným slovy, odborné týmy musí být pevně napojeny na systém tak, aby ostatní poskytovatelé zdravotní péče věděli, kdy a kam se v případě potřeby obrátit a že o jejich pacienta tam bude postaráno.

Méně diagnóz, horší výsledky

Není tedy překvapením, že stejný dokument vyzývá i k rozvoji a posílení kapacit národních center, a to personálních i finančních. „Jsme velmi podfinancovaní, tvrdě pracujeme prakticky zadarmo. Hlavní motivací, proč děláme to, co děláme, je nadšení. To je ale dlouhodobě neudržitelné,“ vysvětluje v této souvislosti Milan Macek. Navíc provoz center, jak již bylo zmíněno, prochází přísným auditem, který je spojen s náročnou administrativou. „I tuhle všechnu práci potřebujeme nějak obhájit, abychom ji dostali zaplacenou,“ dodává.

Evropská komise sice existenci ERN finančně podporuje, ale přispívá na jejich koordinaci a řízení, nikoli na provoz samotných pracovišť nebo jejich začlenění do národních systémů. Na neudržitelnost takového modelu ostatně již v roce 2019 upozornil i Evropský účetní dvůr (EÚD) ve své hodnotící zprávě. Evropská komise nemá jasnou vizi, jak ERN financovat, chybí kontinuální systém hodnocení a kontroly kvality jednotlivých pracovišť a poznatky z pilotních projektů nejsou zaváděny do praxe, konstatovali tehdy auditoři.

Samostatnou kapitolou jsou pak zásadní rozdíly mezi státy v dostupnosti diagnostiky a léčby pro pacienty. Méně diagnóz rovná se horší výsledky, shrnula stručně v Praze Birute Tumiene, klinická genetička z univerzitní nemocnice v litevském Vilniusu s odkazem na studie, jež jasně poukazují na to, že délka dožití s diagnostikovaným vzácným onemocněním je v západních a severních zemích Evropy vyšší. To souvisí nejen s tím, jak rychle a za jakou cenu se pacienti dostanou k potřebné diagnostice a terapiím s ohledem na finanční možnosti daného systému, ale také se skutečností, že v zemích střední a východní Evropy se nachází o dost méně pracovišť zapojených do ERN, chybí tedy napojení na potřebné know-how (nejvíce jich má Itálie – 329, Německo – 204 a Francie – 163).

S integrací ERN do národních systémů by měl alespoň částečně pomoci společný unijní projekt, který se právě připravuje. Jde o tzv. společnou akci, typ projektu, kdy zapojení je možné jen na úrovni vládních orgánů, aby bylo možné následně výsledky realizovat na národní úrovni. Zahájena by měla být letos v září a ukončena v roce 2026. Evropská komise na ni vyčlenila 11 milionů eur (zhruba 275 milionů korun) a zájem o účast již vyjádřily prakticky všechny země EU.

Bez dat to nepůjde

S ERN se pojí ještě jeden úkol – sběr a analýza dat. Jak popsala Victoria Hedley z univerzity v anglickém Newcastleu na zmíněné konferenci v Bruselu, všechny ERN sbírají vlastní data, vytvářejí registry, ale to opět naráží na omezené financování. I na to upozornil již zmíněný audit EÚD.

„ERN představují velkou příležitost ke sběru a sdílení dat prostřednictvím patientských registrů. Potřebujeme ale vymyslet vhodné modely, které umožní je udržovat a rozvíjet,“ konstatovala Hedley. Evropská komise by měla podle ní podpořit vznik jakési centrální architektury, samotné naplňování registrů se však neobejde bez spolupráce s farmaceutickým průmyslem a také státy samotnými, které by v tom měly „svá“ odborná pracoviště podpořit, a to i finančně.

Nepomáhá však skutečnost, že diagnózy vykazované v souladu s všeobecně užívanou Mezinárodní klasifikací nemocí 10 jsou spíše obecné, a tudíž nepřesné. Proto některé státy postupně začínají využívat unikátní tzv. orpha kódy, které umožňují jednoznačnou identifikaci počtu pacientů, rozložení diagnóz i nákladů na péči.

Díky dostupným datům bude pak možné nastavit systém hodnocení a monitoring kvality center, požadovaný EÚD, a sledovat i ekonomickou stránku věci, jak ještě upozorňuje Birute Tumiene. „Ano, pacienti se vzácným onemocněním jsou velmi drazí. Ale také pro to, že se během jejich dlouhé diagnostické odyssey a putování za vhodnou terapií jednoduše plýtvá penězi,“ uvedla.

Česká centra řeší financování

Česko si se 46 centry ve třinácti nemocnicích, která jsou zapojená do 22 z 24 ERN, rozhodně nevede špatně. Fakultní nemocnice v pražském Motole dokonce se svými patnácti pracovišti patří mezi poskytovatele s nejvyšším počtem plnohodnotně zapojených center. Pro srovnání: nejvíce – 24 – jich má Univerzitní zdravotní centrum Erasmus v nizozemském v Rotterdamu.

Od ledna loňského roku mají navíc česká pracoviště zapojená do ERN díky novele zákona o veřejném zdravotním pojištění oficiální status vysoce specializovaných center. Ale jak jsme již ve Zdravotnickém deníku psali dříve, žádné další „výhody“ z toho pro ně nevyplývají. Také se tedy potýkají s nedostatkem financí, personálu a obavami z udržitelnosti do budoucna (k tomu více též v rozhovoru ZD s profesorem Mackem).

V Česku teď běží nebo se rozbíhá několik projektů, které by měly pomoci jak s financováním, tak vytvořením vhodného a uživatelsky příjemného registru vzácných onemocnění. Na konkrétní výsledky si však ještě budeme muset chvíli počkat. Stále není dokončen ani pilotní projekt Všeobecné zdravotní pojišťovny ČR (VZP) a ÚZIS, jehož cílem je zmapovat nákladovost péče o pacienty se vzácným onemocněním a navrhnout optimální úhradový model. Na jeho výstupy se čekalo již vloni. „VZP v tuto chvíli čeká na vyhodnocení a dodání podkladů od ÚZIS a dotčených poskytovatelů,“ sdělil však Zdravotnickému deníku náměstek ředitele VZP Jan Bodnár.

Milan Macek upozorňuje, že vzácná onemocnění je třeba vnímat jako předchůdce personalizované medicíny. „Čím lépe se připravíme na ně, tím lépe pak budeme připraveni i na vývoj v oblasti nevzácných onemocnění,“ dodává profesor.

Zdroj: zdravotnickýdenik.cz

Laciné léky, nebo inovace. Evropa stojí na křižovatce

Evropští politici se musí rozhodnout, zda chtějí mít ze starého kontinentu výzkumného lídra v oblasti life sciences, nebo zda upřednostní nízké výdaje na léky na úkor všeho ostatního. Před takovou volbou prý Evropa stojí. Pokud se rozhodne pro laciné léky, světový výzkum se bude přesouvat tam, kde pro něho bude atraktivnější prostředí. Tedy regiony, kde cenová regulace nevytěsňuje tržní incentivy pro investice do výzkumu a vývoje nových léků, jak ve své analýze upozorňuje britský deník Financial Times.

Jestliže během pandemie koronaviru nastalo jakési příměří mezi velkými farmaceutickými firmami a vládami jednotlivých států, pak jistojistě skončilo před několika málo dny. Zdá se, že nedávné spektakulární vypovězení účasti na úhradovém schématu britské Národní zdravotní služby (NHS) hned dvěma americkými farmaceutickými společnostmi Eli Lilly a AbbVie je jen začátek něčeho většího.

Britský deník Financial Times upozorňuje, že krok obou zmíněných společností byl jen vyústěním širší nespokojenosti farmaceutického sektoru s tím, jak se Evropa začíná stavět k cenové politice na trhu s léky, jež jsou hrazeny z veřejných výdajů. „Výrobci léků rovněž zvažují, že odstoupí od podobného schématu ve Francii,“ uvedl deník Financial Times s odkazem na dobře informované zdroje.

Farmaceutický byznys se prý domníval, že úspěch, s jakým se mu podařilo vyvinout a dodat účinné a bezpečné vakcíny proti koronaviru, a tím pomoci k uvolnění protiepidemických opatření, která měla své obrovské národohospodářské náklady, povede k tomu, že politici si uvědomí, jak cenné farmaceutické společnosti jsou.

Politici si protiřečí

„Vlády jako by úplně zapoměly, jak obrovský přínos mají rychlé inovace ve farmaceutickém sektoru. Politici teď na výrobce léků tlačí, protože potřebují najít úspory ve veřejných rozpočtech, a je jim jedno, kde,“ uvedl pro Financial Times Thomas Cueni, generální ředitel Mezinárodní federace asociací farmaceutických firem.

Podle něho je celý sektor frustrovaný z toho, jak rozporuplně politici nyní k farmaceutickým firmám přistupují. Na jedné straně se prý snaží přilákat investice, na straně druhé vytvářejí mnohem tvrdší podmínky pro tento sektor na trhu. A to v podobě výdajových stropů, které jdou ale zcela proti myšlence zatraktivnit Evropu pro investice do výzkumu a vývoje nových léků.

Deník Financial Times ale upozorňuje na to, že za nárůstem výdajů na léky není jen zvýšení poptávky během pandemie covidu, ale například i souhlas s proplácením nákladné léčby skrze úhradu drahých léků. To se týká třeba přípravku Zolgensma švýcarské farmaceutické skupiny Novartis, jímž se léčí spinální svalová atrofie, nebo léku Orkambi americké biotechnologické společnosti Vertex pro léčbu cystické fibrózy. Ale i mnoha dalších.

Regulaci zpřísní i Německo či Francie

„Ve skutečnosti už před pandemií covidu britská vláda předpovídala výrazný nárůst výdajů Národní zdravotní služby v letech 2022 a 2023. Částečně i kvůli tomu, že doufala v rozšíření přístupu k novým lékům,“ píše deník Financial Times. Podle Richarda Torbetta, šéfa Britské asociace farmaceutického průmyslu však tyto původní plány nebyly realistické. „Nakonec se naplnily jen díky pandemii,“ řekl deníku Financial Times.

Velká Británie ale není jedinou zemí v Evropě, kde se vlády snaží regulovat výdaje na léky podobnými metodami. Tedy prostřednictvím zpětných plateb v případě, že skutečné výdaje převýší svůj předem stanovený strop. Německo například nedávno zvýšilo povinné slevy ve výši kolem 12 procent pro rok 2023, Francie chce snížit veřejné výdaje na léky zhruba o 13 procent.

Stranou snahy dostat pod kontrolu výdaje na léky ale nestojí ani Spojené státy. Ceny léků byly jedním z témat prezidentských voleb v roce 2020. Od příštího roku federální vláda bude moci poprvé donutit farmaceutické firmy zasednout k jednacímu stolu a dohodnout se na cenách léků u těch nejdražších přípravků, které jsou hrazeny v rámci systému Medicare.

Cenové pobídky investic jsou v USA silnější

Spojené státy totiž vydávají na značkové léky na předpis až 2,5krát více v přepočtu na osobu, než je průměr 32 porovnávaných zemí, upozorňuje deník Financial Times. Naopak u generických léků jsou pak výdaje USA podprůměrné a například v porovnání se Švýcarskem zhruba čtvrtinové, oproti Česku či Itálii asi poloviční.

Právě tento nepoměr vyznívá lépe pro Spojené státy, pokud výdaje na značkové a neznačkové léky použijeme jako jedno z měřítek atraktivity pro investice do vývoje nových léků. Podle Thomase Cueniho by evropští lídři neměli brát varování zaznívající ze strany farmaceutického sektoru jako „pouhou rétoriku“.

Investice do farmaceutického sektoru mají totiž vliv i na investice do dalších odvětví. „Vždycky máte na výběr. Nejen že ve Spojených státech máte skvělé vědce, které nikdo nepřekoná, ale navíc se vám investice v tak náročném prostředí vrátí,“ řekl Cueni.

Zdroj: zdravotnickýdeník.cz

Technologie z filmu Avatar by mohla pomoci v boji proti vzácným onemocněním

Vědci využívají technologii umělé inteligence, která oživuje postavy ve filmech jako Avatar: Vodní tvor, ke sledování raných stádií vzácných onemocnění.

Nový systém slouží k analýze pohybů těla a dokáže diagnostikovat poruchy dvakrát rychleji než lékaři, jak píše server Interesting Engineering

V mnoha případech umožňuje rychlé odhalení vzácného onemocnění pacientům rychleji a lépe získat odpovídající podporu a léčbu. V nedávné studii britští odborníci změřili pomocí umělé inteligence dvě závažné genetické poruchy a zjistili, že je dokážou odhalit dvakrát rychleji než pomocí standardních lékařských metod.

Pomůže lékařům umělá inteligence?

Podle vědců by umělá inteligence mohla také výrazně snížit náklady na vývoj nových léků v klinických studiích. Výsledky studie v tomto ohledu byly nedávno zveřejněny v časopise Nature Medicine

Doktorka Valeria Ricottiová z institutu Great Ormond Street přiznala, že je výsledky „naprosto nadšená“. „Dopad na diagnostiku a vývoj nových léků proti široké škále nemocí by mohl být naprosto obrovský,“ řekla.

Novou technologii vyvíjela deset let skupina vědců z Imperial College a z londýnské College univerzity. Odborníci jej testovali ve dvou samostatných studiích na pacientech se vzácnými genetickými onemocněními Friedreichovou ataxií a Duchennovou svalovou dystrofií.

Podle odborníků by se technologie s umělou inteligencí dala využít také ke sledování pacientů, kteří se zotavují z jiných onemocnění způsobujících poruchy pohybu. Patří sem všechny nemoci související s mozkem a nervovým systémem, srdcem, plícemi, svaly, kostmi a řada psychiatrických poruch.

„Náš nový přístup detekuje jemné pohyby, které člověk není schopen rozpoznat. Má potenciál změnit klinický výzkum a zlepšit diagnostiku a sledování pacientů,“ zdůraznil profesor Aldo Faisal z Imperial College, jeden z výzkumníků, kteří se na projektu podíleli.

Zdroj: techsvet.cz