

## A hemofília világnapja

április 17.

### A kezdeményezésről

Április 17-e 1989. óta a hemofília és egyéb vérzési rendellenességek világnapja, amelynek alkalmával a Hemofília Világszövetség, illetve a kezdeményezéshez csatlakozó szervezetek a megfelelő, korszerű ellátás előnyeire kívánják felhívni a szélesebb közvélemény figyelmét.

### A betegségről

A hemofília a második leggyakoribb örökletes véralvadási rendellenesség. (Statisztikák szerint a vérzékenység leggyakoribb formája a von Willebrand szindróma, melyet a von Willebrand nevű alvadási faktor hiánya, illetve csökkent működése okoz. Ilyenkor az érfal sérülése esetén a vérlemezkék kitapadása és összecsapzódása nem megy végbe tökéletesen.)

A hemofília ritka, veleszületett, egész életen át tartó vérzékenység. A betegség lényege a vér alvadékonyságának csökkenése.

A hemofíliának A és B-típusa különíthető el, ám tüneteikben ezek nagyon hasonlóak.

A gyakoribb az A típusú hemofília, mely esetében a VIII-as alvadási faktor hiányzik a vérből, vagy csökkent aktivitású, míg a ritkább B típusúban a IX-es faktor hiányzik, vagy csökkent.

A-típusú hemofíliában különböző súlyossági fokozatokat különítenek el a tekintetben, hogy a VIII:C faktor milyen százalékban található meg, illetve működik a szervezetben. Ha ez az arány >75%, a beteg általában tünetmentes. A faktor 16-50%-os jelenléte esetén erős sérülés után kifejezett vérömleny keletkezik; 5-15% között műtéti utóvérzés lép fel, 2-4%-os működés esetén már kisebb trauma is elég a vérömleny kialakulásához. Ha a faktor kevesebb, mint 1%-ban működik, spontán vérzések jelentkeznek, és állandósul az ízületi vérömleny.

A hemofília ritka betegségnek tekinthető, előfordulási gyakorisága 1:10000, a súlyos fokú hemofíliáé 1:16000. Magyarországon körülbelül 2700 vérzékeny beteg él, hozzávetőlegesen 800 A-hemofíliás, 200 B-hemofíliás, 1300 von Willebrand-beteg, és 400 egyéb vérzési rendellenességben szenvedő beteg.

*A véralvadásról 13 faktor gondoskodik, bármelyik hiánya vérzékenységet okozhat.*



*A férfiak körében súlyosabb kórkép a hemofília A és B (azért a férfiaknál, mert ez a vérzékenység az X kromoszómával öröklődik). Nekik ugyanis a nemi kromoszómájuk XY, míg a nőknél XX, így női beteg X kromoszómáját a másik egészséges X kromoszóma ellensúlyozza.*

*Létezik szerzett hemofília is, amelyet autoimmun betegségek, terhesség, rák, öregedés válthat ki, de van, amikor az ok ismeretlen.*

## Hozzáférés az ellátáshoz

A betegség nem gyógyítható, a kezelés elsődleges célja a vérzések megelőzése, különösen az ízületekben.

A kezelés típusát illetően, a megelőző jellegű, tartós kezelést (az alvadási faktor rendszeres alkalmazása, legfeljebb hetente háromszor = megelőzés) meg kell különböztetni a szükség szerinti kezeléstől (azonnali alkalmazás hirtelen vérzés esetén). A megelőzést gyakran alkalmazzák súlyos hemofíliában, különösen csecsemőknél, gyermekeknél és serdülőknél. A kezelés egyben nagyon fontos védelmet nyújt az ismételt ízületi bevérzésekkel szemben, megakadályozva ezáltal a tartós ízületi károsodást.

A hemofíliás betegeknél bekövetkező vérzések, illetve az egyéb okból szükségessé váló ellátásaik fokozott figyelem mellett a járó- és fekvőbeteg-szakellátás keretében történnek. A vérzéses epizódok ellátására társadalombiztosítási szempontból nincs megkötés, a szükséges beavatkozások finanszírozására bármely, NEAK-kal szerződött intézmény jogosult.

Ugyanakkor a betegek gondozása szakmai alapon centrumokhoz kötött: úgynevezett hemofília-gondozó központokban (Hemofília Centrum) vehető igénybe a betegség kezeléséhez szükséges szakmai feltételekkel rendelkező önálló szakambulanciákon és hematológiai osztályokon. A gondozó központok ellenőrzése mellett, meghatározott szakmai feltételek teljesülése esetén van lehetőség a betegek kontrollált otthoni kezelésére, amely leginkább a gondozó helytől távol lakó betegek számára jelent könnyebb hozzáférhetőséget.

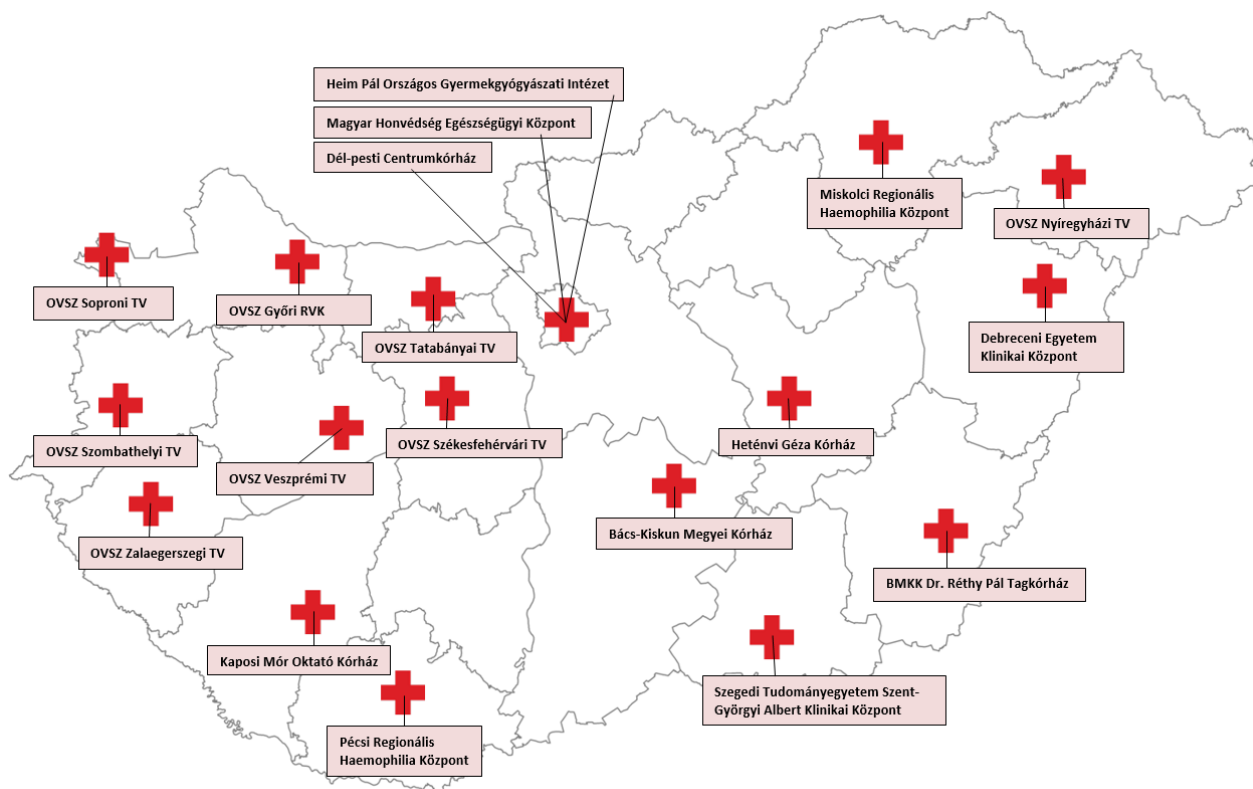
Mielőtt a modern (VIII-as és IX-es) alvadási faktorokkal végzett szubsztitúciós kezelés napjaink standardjává válhatott volna, kiterjedt kutatásokra és fejlesztési munkára volt szükség. A '60-as évek végén jutottak el az első faktorkoncentrátumok a gyógyszerárakba és rendelőkbe. A napjainkban alkalmazott készítmények többségéhez hasonlóan az emberi vérplazmából nyerték őket. Ezzel a történelemben először lehetővé vált a hatékony vérzéscsillapítás.



A '90-es évek végétől az alvadási faktorokat géntechnológiával is előállítják. Ezek az úgynevezett „rekombináns” készítmények.

Az emberi vérplazmából származó modern faktorkoncentrátumok előállításakor különös figyelmet fordítanak a nagyfokú tisztaságra és biztonságra. Mindkettőt a gyártás alatt és után végzett számos ellenőrzési lépés révén biztosítják.

A veleszületett vérzékenység kezelésére alkalmazható faktorkészítmények társadalombiztosítási támogatással hozzáférhetőek a gyógyszeres kezelést végző egészségügyi intézményeken, a Hemofília Centrumokon keresztül:



## Mennyibe kerül a hemofiliás betegek ellátása?

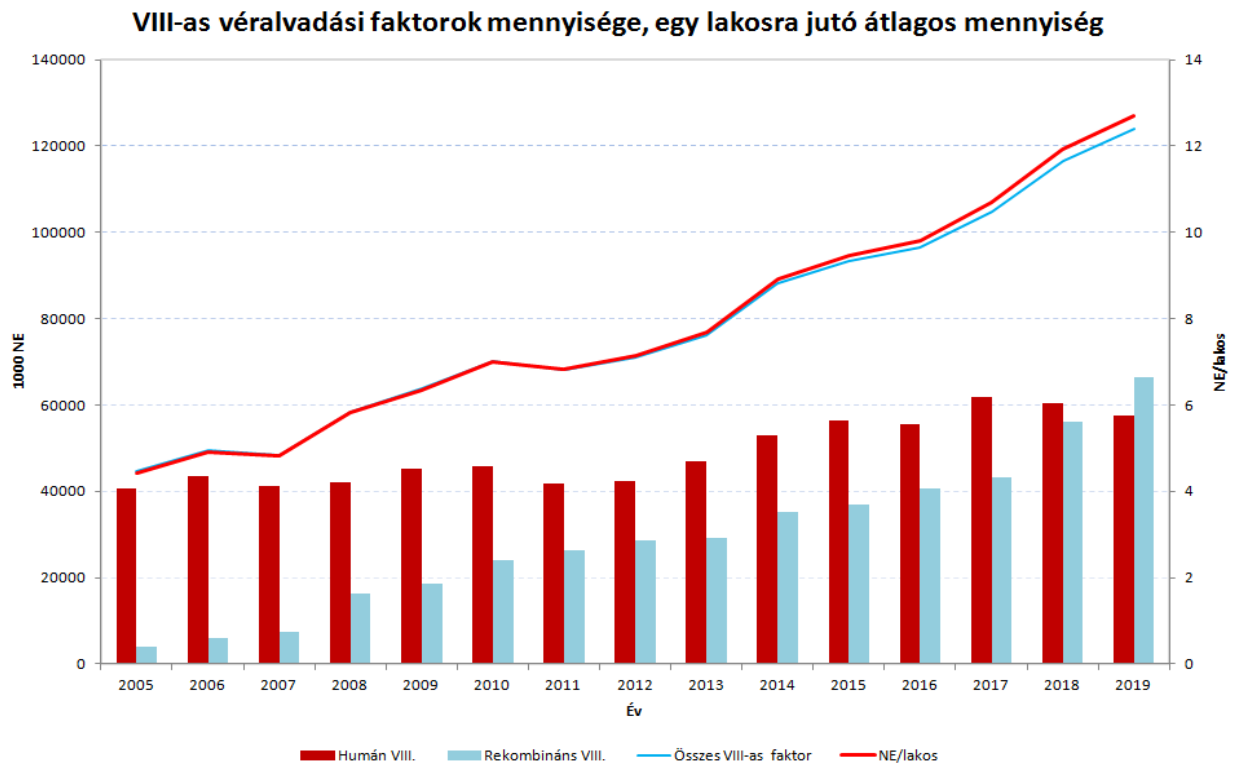
A hemofiliás betegek járó- és fekvőbeteg-szakellátásáról általánosságban elmondható, hogy – különösen a súlyos fokú – vérzékeny páciensek esetében bármely beavatkozás nagyobb terhet jelent az ellátó intézmény számára az előkészítő munka, a kivitelezés és az utókövetés lépéseinek összetettsége, fokozott szakemberigénye miatt.

A 2019. év során járó- illetve fekvőbeteg-szakellátásban részesült, veleszületett betegséggel élők száma (2 145 fő) megközelíti a szakmai becslés szerinti hazai betegszámot. Ez egyfelől azt jelzi, hogy az ismert betegek esetében ténylegesen felmerül az igény rendszeres ellátásra, másfelől, hogy azt a szükséges ellátási szinten meg is kapták. 2019. évben az Egészségbiztosítási Alapból e betegek járó- illetve fekvőbeteg-szakellátásaira 83,1 millió Ft kifizetés történt.

A hemofiliás betegek ellátásának jelentős részét a gyógyszeres terápia jelenti. A magyar hemofiliások gyógyszeres ellátásának megszervezése a NEAK kompetenciája, a készítményeket közbeszerzési eljárás útján, természetben biztosítja a Hemofília Centrumok részére, ahol a biztosítottak hozzájuthatnak a kezelésükhöz szükséges faktorkészítményekhez. A NEAK elkötelezett a hemofiliás betegek folyamatos és biztonságos ellátásában, így évről évre a meghirdetett tendereken igyekszik, valamennyi rendelkezésre álló – így a leginnovatívabb terápiákat is jelentő – készítmény megvásárlására. A 2017. évben indított versenyztetési eljárásnak köszönhetően, jelentősen csökkentek a faktor árak. Az árak változásával a mennyiségi összetétel is megváltozott, az árak csökkenésével eltolódott a felhasználás a rekombináns irányba.

Az elmúlt 15 évben a gyógyszerkiváltási adatok alapján a faktorpótló gyógyszeres kezeléseknél részesülők száma enyhe emelkedést mutat. E kezelések legnagyobb része a VIII-as faktor hiányos betegek ellátásához kapcsolódik. A korszerűbb, rekombináns

készítmények elterjedésével és a támogatott kör bővülésével a felhasznált mennyiségük 2019. évben meghaladta a humán plazma eredetű készítményekét. Az egy lakosra jutó, nemzetközi egységben (NE) kifejezett mennyiség növekvő tendenciája és 10 NE/lakos értéket meghaladó szintje szakmai szempontból pozitív eredményként reprezentálható.



A rendelkezésre álló termékkört illetően elmondható, hogy Magyarországon valamennyi – az Európa Unió országaiban is elérhető - fejlett rekombináns készítmény hozzáférhető a szakmailag arra rászoruló beteg részére. 2019. évben a legújabb fejlesztésű készítmények közé tartozó, két hosszított hatású készítmény is elérhetővé vált.

A gyógyszeres készítmények kapcsán az Egészségbiztosítási Alapból 2019. évben 11,2 milliárd Ft kifizetés történt.

## Kitekintés



Közös érdekünk a nemzetközi szinten elérhető legkorszerűbb ellátások, leginkább pedig a biztonságosan, a lehető legkevesebb kockázat és mellékhatás mellett alkalmazható, ritkább beadást lehetővé tévő gyógyszerkészítmények biztosítása, amely a gyártók, forgalmazók, a NEAK és a szakma képviselői közti szoros együttműködésben, új készítmények támogatásba történő befogadásával, a megfelelő gyógyszer-támogatási lehetőségek alkalmazása mellett valósítható meg.

A NEAK hemofília kezelésében alkalmazott szerek támogatásának elbírálására 2019. évben összesen 14 gyógyszer-befogadási eljárást indított, és ugyanebben az évben lezárult eljárások alapján 4 készítmény támogatásba vételéről született határozat.

A hemofília terápiaiban jelenleg a legnagyobb áttörést a szubkután injekció alkalmazása jelenti, melyet a betegeknek nem kell a vénába adagolni. Az idei évben már ez is elérhető lesz inhibitoros betegek részére. (Az inhibitor a hemofília kezelésére szolgáló biológiai készítmény beadására adott rendellenes autoimmun válasz. Az inhibitor képződés előre nem kiszámítható, VIII. faktor hiányban szenvedő betegeknek a betegek 10-15%-nál is előfordulhat.)