

Budoucnost léčby hemofilie

- Ve světě trpí hemofilií 400-500 tisíc mužů
- V Česku je nemocných 800 mužů
- Na Slovensku všech vrozených koagulopatií je okolo 1000 pacientů

- V současné době neumíme onemocnění vyléčit, umíme jej pouze léčit
- Opakovaně podáním koncentrátu chybějícího faktoru uděláme z nemocného na 8-12 hodin téměř zdravého zdravého člověka

Léčba

- Při krvácení
- Preventivní profylaxe /dnes u všech dětí/
- Možnost domácí aplikace
- Léky mají pacienti stále u sebe a moho zahájit aplikaci při prvních příznacích krvácení

Léky

- Krevní deriváty-vyrábějí se z lidské krve
- Krevní deriváty-vyrobeny genovým inženýrstvím-rekombinantní preparáty
- Ze současného pohledu nejvyšší stupeň
- bezpečnosti stran možnosti přenosu infekce

- Obě cesty stejně účinné

Přípravky z lidské krve

- V 80. letech byly přeneseny patogeny způsobující AIDS
- V současné době se bezpečnost krevních derivátů zásadně zvýšila a žádný další přenos nebyl zaznamenán

Rekombinantní preparáty

- V ČR se používají od roku 2006
- Nyní je jimi léčeno asi 10% dětských pacientů

Budoucnost

- Blízká- léčba preparáty s delší dobou účinku
- Možnost podávat ne 2-3x za týden, ale 1x za 10 dní
- Daleká- genetická úprava- klinická studie- zavést zdravý gen pro F VIII do organismu hemofilika /nejčastěji do jatrení bb./ Játra by začala vytvářet chybějící faktor
- Nemocný by se uzdravil