

Skriftligt bidrag til RADS fagudvalg om behandling af blødersygdomme

Med dette bidrag ønsker Danmarks Bløderforening at uddybe de emner, som foreningen fik mulighed for at tage op og kommentere på møde med fagudvalget d. 30. november 2015. Ud over baggrundsinformation om blødernes livskvalitet berører nærværende notat også emner som sikkerhed, egenmestring, effekt og adhærens.

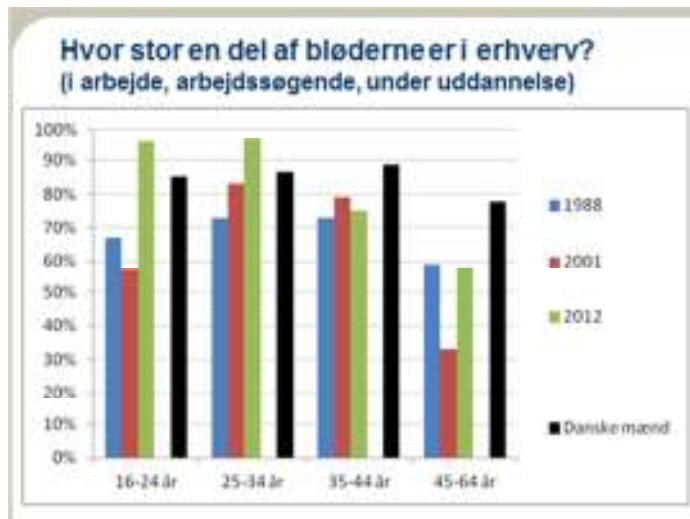
Baggrund

Omkring 500 danskere har hæmofili og knap 400 har von Willebrands sygdom. Knap 100 danskere har en anden arvelig blødersygdom. Der er forskel på, hvor stor indvirkning sygdommen har på hverdagslivet afhængig af sygdommens sværhedsgrad, tilstedeværelsen af andre kroniske sygdomme og personens alder.

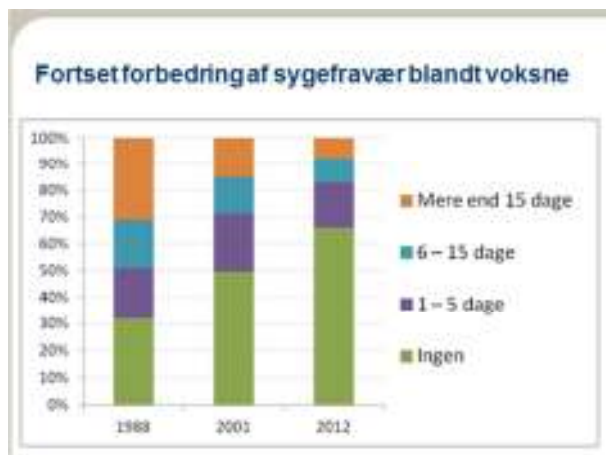
Den største landvinding for bløderne kom i slutningen af 1960erne, da faktorkoncentratet blev udviklet. Faktorkoncentratet åbnede op for hjemmebehandling og for forebyggende behandling, som har givet bløderne langt større livskvalitet. I dag kan de fleste blødere behandles med faktormedicin hvilket betyder, at personer med adgang til forebyggende og tilstrækkelig behandling kan leve et forholdsvis normalt liv med blødersygdom.

Danmarks Bløderforenings seneste livskvalitetsundersøgelsen fra 2012 bidrager med et langtidsstudie af danske bløderes livskvalitet over tre årtier. Undersøgelsen viser blandt andet, at der for første gang i Danmarkshistorien ses en ældre generation af blødere, hvis gennemsnitsalder nærmer sig almenbefolkningens. I takt med at bløderne bliver ældre, begynder gruppen dog også at få livsstils- og aldersrelaterede sygdomme, hvis behandling kræver nøje koordinering i forhold til blødersygdommens altomsiggribende implikationer.

Den sikre medicin og den effektive hjemmebehandling har betydet, at både erhvervs- og uddannelsesfrekvensen blandt bløderne er steget støt over de sidste 20 år. Livskvalitetsundersøgelsen fra 2012 viser også, at flere blødere i dag står til rådighed for arbejdsmarkedet, og for de yngre generationer svarer erhvervsfrekvensen til almenbefolkningens.



Bløderne har færre sygedage i dag sammenlignet med de tidligere analyser. Voksne blødere har færre smerter, og smertebilledet begynder at ligne almenbefolkningens. Det fortsatte fald i sygefravær blandt voksne er en væsentlig indikator for, at hjemmebehandlingen er effektiv. Hjemmebehandling gør det muligt for bløderen at tage sin behandling, så snart en blødning mærkes (on demand). På den måde forebygges det, at blødningen udvikler sig og kræver længere behandling og eventuelt sengeleje.



Hæmofilibehandlingen er således et godt eksempel på, hvordan nye muligheder ændrer organiseringen i sundhedssystemet. Da blødersygdom er en sjælden sygdom, er der ikke mange læger, der har erfaring eller viden om korrekt behandling – eller risikoen ved forkert behandling. Derfor var det en landvinding for bløderne, da behandlingen og dermed også erfaring og ekspertise i 1987 blev samlet på to højt specialiserede centre i hhv. Aarhus og København.

Sikkerhed

Det er med baggrund i Blødersagen, der i Danmark betød, at 91 blødere blev smittet med hiv og endnu flere med hepatitis C, at næsten alle danske blødere i dag modtager gensplejset faktor (rekombinant), der er uden risiko for smitte. I dag er kun 26 af de 91 hiv-smittede blødere i live.

Patienter med von Willebrand behandles med plasma-baserede produkter, der i dag vurderes at have høj sikkerhed.

Behandlingen med faktorkoncentrat har dog også medført risici for bløderne. Faktorbehandlingen medfører risiko for dannelse af antistoffer (inhibitor). Dannelsen af inhibitor forekommer hos omkring 10-20 pct. af patienter med svær hæmofili A og hos ca. 2 pct. med svær hæmofili B. Inhibitor rammer oftest børn. For de blødere, der danner inhibitor er omkostningerne store – både personligt og samfundsøkonomisk. Ikke mindst for de børn, hvor inhibitor bliver en kronisk tilstand kan der opstå ledskader i en alt for tidlig alder. Yderligere kan det have store personlige omkostninger ikke at kunne følge skolegang og have et fritidsliv med sine venner.

Danmarks Bløderforening er opmærksom på et nyt studie (Survey of Inhibitors in Plasma-Products Exposed Toddlers), hvis resultater netop er offentliggjort. Resultaterne af studiet peger på en næsten dobbelt så høj risiko for inhibitor ved brug af rekombinant factor end ved at bruge plasma baseret factor til behandling af PUPs med (previously untreated patients) med svær hæmofili A. Foreningen antager, at dette opsigtsvækkende studie vil blive genstand for en grundig diskussion blandt hæmofili eksperter i de kommende måneder, og at dets eventuelle betydning for valg af behandlingsstrategi og præparatvalg i forhold til behandling af PUPs bør bero på en kritisk vurdering af denne diskussion.

I forhold til de nye langtidsvirkende produkter, der er i pipeline, er det foreningens vurdering, at den længere virkning kan være gavnlige for eksempelvis børn og deres familier, så børnene kan opnå et højere faktorniveau i en længere periode jf. den længere halveringstid. Yderligere vil det være en fordel, at børn ikke skal stikkes så ofte. Det er dog foreningens holdning, at anvendelse må bero på en klinisk vurdering og at de nye produkter må forventes at blive indført gradvist samtidig med, at effekt og sikkerhed monitoreres tæt.

Sikkerhed handler dog ikke kun om den medicinske behandling, men i høj grad også om den sundhedsfaglige ekspertise og organisation, der har ansvar for at kvalitetssikre og monitorere den medicinske behandling. Fra undersøgelser i USA ved man, at overlevelsesraten hos blødere er markant højere, når behandlingen finder sted på højtspecialiserede centre (Soucie et al. 2000). Et højtspecialiseret team er nødvendigt for at sikre kontrol, korrekt behandling og koordinering med en lang række andre specialer, som indgår i behandlingen af blødere. Samspillet mellem behandling af blødersygdomme og aldersrelaterede sygdomme aktualiseres også i lyset af, at der kommer flere ældre blødere.

Udgifterne til faktormedicin løber årligt op i ca. 300 millioner kr. og er en betragtelig udgift patientgruppens størrelse taget i betragtning. Udgifterne til de højtspecialiserede centre er således kun en mindre omkostning i forhold til udgifterne til den medicinske behandling og bør derfor i princippet betragtes som en omkostningsbesparende del af den samlede udgift. Derfor er det paradoksalt, at der ikke er mere fokus på at sikre de rammer og den ekspertise, det kræver at kvalitetssikre og monitorere behandlingen for at opnå en rationel anvendelse, herunder også patientrapporterede oplysninger om blødningshyppighed, smerter og faktorforbrug.

Egenmestring

Bløderne er et godt eksempel på, at udgifter til behandling ikke kun handler om medicinprisen. I regnestykket skal medregnes de udgifter og besparelser, der er ved at kunne klare sig selv via hjemmebehandling og ikke i det daglige være afhængig af hjælp fra sundhedsprofessionelle og kun lægge minimal belastning på det almene sundhedsvæsen.

Med mindre en lægefaglig vurdering tilsiger andet, så får danske blødere i dag årelang behandling med samme præparat. Derved opbygger patienten en fortrolighed med produktet, fx hvordan medicinen skal blandes, som muliggør hjemmebehandling og som i mange situationer er nødvendig, da sundhedspersonale i det almindelige sundhedsvæsen generelt ikke har erfaring med præparaterne.

Hvis man vælger, som det er praksis i andre lande, at skifte produkt hvert eller hvert andet år, bør transaktionsomkostningerne estimeres.

Skift i medicin vil for patienten betyde, at der ud over de ambulante halvårslige kontroller og eventuelle akutte hospitalsbesøg også skal afsættes tid – også til transport – til ekstra besøg på de to hæmofilcentre i forbindelse med overgang til nyt præparat. Desuden vil det alt andet lige tage tid for den enkelte patient at opbygge fortrolighed med håndtering af et nyt produkt.

For hæmofilcentrene vil det betyde, at der skal afsættes ressourcer til ekstra blodprøvetagning, genfindingsanalyser og udarbejdelse af nye behandlingsplaner for alle patienter, der skal skifte, samt sygeplejefaglige ressourcer til uddannelse af patienter i håndtering af nye produkter.

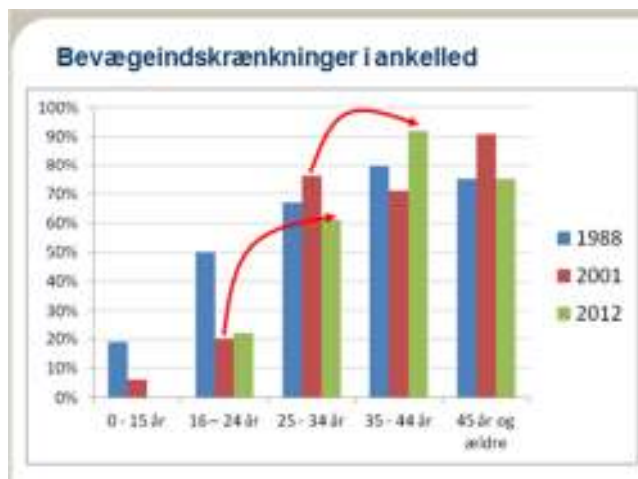
Ved skift til nyt faktorkoncentrat bør transaktionsomkostninger, både for hæmofilcentrene og for den enkelte patient, derfor modregnes den forventede besparelse på medicinen.

Effekt

Desværre indikerer den seneste livskvalitetsundersøgelse fra 2012, at profylaktisk behandling ikke eliminerer ledskader fuldstændigt, men mindsker og udskyder indtræden. Det betyder, at den fysiske funktionsevne nedsættes hurtigere med alderen hos blødere end hos almenbefolkningen.

Effekten af behandlingen kan også ses ved, at andelen af blødere med bevægelsesindskrænkninger ligger på niveau med 2001, med en svag tendens til forbedringer blandt de yngre grupper. Bevægelsesproblemerne starter typisk i ankelleddene og dernæst i knæ og albuer. Stort set alle, som er 45 år eller ældre, har ledproblemer – særligt med ankel-, knæ- og albueled.

Tidligere var forventningen, at faktorbehandling helt kunne forhindre ledskader. Det ser dog ikke ud til at være tilfældet. I stedet udskydes tidspunktet for, hvornår ledskaderne opstår. Det kan bl.a. ses ved at følge en gruppe af blødere som har modtaget behandling hele deres liv: gruppen som var under 16 år i 1988, 16-24 år i 2001, og 25-34 år i 2012.



Adhærens

Fra et patientperspektiv er der et stort og vigtigt potentiale i at fremme blødernes adhærens, da bedre adhærens alt andet lige må forventes at give en bedre effekt af behandlingen. Nonadhærens vil til gengæld over tid i mange tilfælde medføre sygdomskomplikationer, der ikke kun påvirker den enkelte patient og de nærmeste pårørende, men også fører til en stigning i de samfundsøkonomiske udgifter.

Bløderne opfordres til at bogføre deres blødninger og faktorforbrug. I dag registreres blødninger og faktorforbrug i et papirskema, der afleveres ved ambulant kontrol. Data indtastes efterfølgende manuelt i et lokalt register. Det er således i dag ikke muligt at trække og sammenligne data som grundlag for samtale om behandlingen.

Livskvalitetsundersøgelsen viser, at knapt halvdelen af børnene og 1/3 af de voksne altid registrerer deres blødninger. Jo flere blødninger man oplever, jo større andel registrerer fast deres blødninger og omvendt. Personer, der aldrig registrerer deres blødninger, er blevet spurgt om årsagen hertil. I fritekst er de hyppigst nævnte grunde, at man ikke oplever at have så mange blødninger, at man ikke føler, at det er nødvendigt, at man glemmer det, at det er besværligt og tidskrævende, at der ikke findes et optimalt system at registrere i, at man ikke er blevet bedt om at registrere, at lægerne ikke interesserer sig for registreringerne og på grund af manglende rutine.

Der er således et stort potentiale i at understøtte patienterne i mere systematisk og rettidig registrering af blødninger og faktorforbrug, da patientrapporterede oplysninger vil kunne give både læger og patienter mulighed for at følge patientens adhærens. Blandt andet derfor har foreningen taget initiativ til et projekt med fokus på mulighederne for telemedicinske løsninger i bløderbehandlingen og hvordan telemedicin kan fungere som dialogværktøj og fremme systematisk registrering af blødninger og faktorforbrug.

For patienter, der livet igennem selv er ansvarlige for medicinadministrationen, har convenience også betydning for adhærens. Ikke i betydningen bekvemmelighed, men i betydningen håndterbar.

Takket være den effektive behandling skal medicinen integreres i et ganske almindeligt liv med arbejde, uddannelse, sport, rejser, børn, travlhed og hvad hverdagen ellers byder på. Særligt for yngre blødere kan det være en udfordring at passe sin behandling, hvis man i faser af livet ikke mærker konsekvenserne af blødersygdommen og ikke oplever sig selv som patient. Håndterbarhed og doseringshyppighed har derfor både betydning for adhærens og livskvalitet.

Et eksempel, som risikerer at have negativ betydning for adhærens, er ændret administration af Octostim. Octostim er hidtil anvendt som næsespray, men flere bløderpatienter oplever nu at skulle tage behandlingen som subcutan injektion, der skal opbevares på køl. Fra et patientperspektiv er denne ændring kritisabel. Dels strider ændringen mod princippet om, at man så vidt muligt skal undgå, at patienter skal stikke sig selv, dels er håndteringen blevet meget vanskeligere.

Når behandlingen er personligt tilpasset og medicinadministration er håndterbar og så smertefri som mulig, er det med til at fremme både adhærens og livskvaliteten hos den kroniske patient.

Det er der blandt andet belæg for i Sundhedsstyrelsens MTV-rapport om patientinddragelse fra 2008, der blandt andet konkluderer at bedre informerede patienter udviser større kompliance, større tilfredshed med behandlingen og bedre behandlingsresultater, bl.a. fordi de har en opfattelse af at have en vis kontrol. Valg af medicin bør derfor så vidt muligt altid understøtte patienternes egenmestring.

Sammenfatning

Behandlingen bør således tilstræbe at sikre, at den enkelte bløder og dennes familie og pårørende i videst muligt omfang får mulighed for at leve et normalt liv, som andre borgere, på trods af den kroniske sygdom. Dette indebærer, at den enkelte bløder, også inhibitorpatienter, har adgang til sikker, effektiv og individualiseret behandling, der både forebygger livstruende blødninger og blødninger, der på sigt kan føre til varige invaliderende skader som fx ledsårer, og understøtter patientens egenmestring.

Referencer:

Danmarks Bløderforening: "Det gode liv - Livskvalitetsundersøgelse blandt danske blødere 2012" (2013),

<http://www.bloderforeningen.dk/log/userfiles/pdf/bl%C3%B8dernes%20livskvalitet%20181213.pdf>

Soucie et al.: Mortality among males with hemophilia: relations with source of medical care" Blood, 15 July 2000, Volume 96, Number 2

Sundhedsstyrelsen: "Patientinddragelse mellem ideal og virkelighed – En empirisk undersøgelse af fælles beslutningstagning og dagligdagens møder mellem patient og behandler" (2008)

Survey of Inhibitors in Plasma-Products Exposed Toddlers (SIPPET),

<https://ash.confex.com/ash/2015/webprogram/Paper82866.html>

<http://www.sippet.org/Source/SippetStudy.aspx>