

***Kreuth V iniciatīva: Eiropas vienprātības priekšlikumi hemofilijas ārstēšanai, izmantojot standarta un ilgas iedarbības faktoru koncentrātus, un neaizstājošās terapijas***

- 1. rekomendācija:** visiem cilvēkiem ar hemofiliju, ar vai bez inhibitoriem, jānodrošina profilaktiskā ārstēšana un pieeja fizioterapijai.
- 2. rekomendācija:** palielinoties medikamentu daudzveidībai, nepieciešams attīstīt instrumentus, ar kuru palīdzību var nodrošināt personalizētu ārstēšanas režīmu visiem pacientiem ar hemofiliju A un B.
- 3. rekomendācija:** lai saglabātu locītavu veselību, ar ilgas iedarbības medikamentiem jāsasniedz minimālais faktora līmenis asinīs 3-5% apmērā.
- 4. rekomendācija:** lai mērītu ilgas iedarbības medikamentu efektu pēc injekcijas jāizmanto hromogēnie laboratorijas testi.
- 5. rekomendācija:** izmantojot neaizstājošās terapijas, kā piemēram emicizumab, jānodrošina laboratoriju iespējas precīzi izmērīt prokoagulantu aktivitāti, FVIII līmeni pēc FVIII faktora koncentrāta lietošanas un FVIII inhibitoru novērtēšanu.
- 6. rekomendācija:** cilvēku ar hemofiliju, īpaši to, kuru ārstēšanai izmanto neaizstājošās un gēnu terapijas, uzraudzība jānodrošina visaptverošiem ārstniecības centriem (Comprehensive Care Centers), kā tādiem, kas saņēmuši Eiropas sertifikātu (European Haemophilia Comprehensive Care Centres (EHCCC)).
- 7. rekomendācija:** obligāti jānodrošina ilgtermiņa drošības un efektivitātes datu vākšana visu produktu lietošanai. Katrai valstij jāizveido nacionālais pacientu reģistrs hemofilijas un citu asins recēšanas traucējumu ārstēšanas rezultātu un pacientiem svarīgu rezultātu uzskaitīšanai.
- 8. rekomendācija:** ar sabiedrības kontroli jāveic pietiekami finansēta mērķtiecīga datu pārvaldība, izvērtēšana un ziņošana. Pamatdati ietver Eiropas Medicīnas aģentūras (EMA) rekomendētos elementus un minimālie pēc-reģistrācijas novērošanas dati jāietver atbilstoši Starptautiskās Trombozes un Hemostāzes biedrības (International Society on Thrombosis and Haemostasis (ISTH)) Zinātniskās un standartizācijas apakškomitejas rekomendācijām par VIII faktoru, IX faktoru un retiem asins recēšanas traucējumiem.
- 9. rekomendācija:** nepieciešams veicināt Eiropas līmeņa sadarbību, stiprinot un harmonizējot esošo reģistru datus, lai uzlabotu datu ievākšanu un visaptverošu novērtēšanu.
- 10. rekomendācija:** datu vākšanai jāietver tiešu pacientu iesaisti datu sniegšanā ar atbilstošiem elektroniskiem, no industrijas neatkarīgiem risinājumiem. To lietošana jāveicina ar izglītošanu, lietotājam draudzīgu risinājumu lietošanu un pozitīvām atsauksmēm pacientiem.
- 11. rekomendācija:** lai nodrošinātu labākos iespējamus pierādījumus, kas nepieciešami iestādēm, veselības tehnoloģiju novērtēšanai (HTA), zinātniekiem un veselības aprūpes sniedzējiem, jāveic klīniskā izpēte.
- 12. rekomendācija:** lai vienotos par atbilstošiem indikatoriem un metodēm, nepieciešams uzsākt sarunas starp iestādēm, veselības tehnoloģiju novērtēšanai (HTA), zinātniekiem un veselības aprūpes sniedzējiem, kam ir dažādi fokusi, atbildības un prasības.
- 13. rekomendācija:** nepieciešams uzsākt dialogu ar aģentūrām un zinātniekiem, lai vienotos par atbilstošiem veselības iznākumiem un nodrošinātu to visaptverošu un konsekventu ziņošānu.

Flora Peyvandi, Karin Berger, Rainer Seitz, Anneliese Hilger, Marie-Laure Hecquet, Michael Wierer, Karl-Heinz Buchheit, Brian O'Mahony, Amanda Bok, Mike Makris, Ulrich Mansmann, Wolfgang Schramm, Pier Mannuccio Mannucci

Haematologica May 2020 : haematol.2019.242735; Doi:10.3324/haematol.2019.242735

<http://www.haematologica.org/content/early/2020/05/27/haematol.2019.242735.full.pdf+html>