

Sprawozdanie z 53. Kongresu *American Society of Hematology (ASH)*

Stany Zjednoczone, San Diego, 10–13 grudnia 2011 roku

Report from the 53rd Annual Meeting of the American
Society of Hematology (ASH)

USA, San Diego, December 10–13, 2011

Jerzy Windyga

Zakład Hemostazy i Chorób Metabolicznych Instytutu Hematologii i Transfuzjologii

Jednym z ciekawszych zagadnień poruszonych podczas konferencji *American Society of Hematology (ASH)* w 2011 roku była „Analiza kosztów związanych z profilaktycznym stosowaniem koncentratu aktywowanych czynników zespołu protrombiny (aPCC) u chorych na hemofilię A powikłaną inhibitorem czynnika VIII (FVIII) o wysokim mianie” autorstwa Gringeri A. i wsp. (abstrakt 4187). W niedawno opublikowanym badaniu Pro-FEIBA (Leisinger i wsp. *N. Engl. J. Med.* 2011; 365: 1684–1692) wykazano, że podawanie aPCC w dawce 85 j./kg 3 razy w tygodniu w nienastępujących po sobie dniach, w sposób statystycznie znacząco zmniejsza liczbę wszystkich krwawień oraz krwawień do stawów (w tym *target-joints*) u pacjentów z ciężką hemofilią A, powikłaną inhibitorem FVIII o wysokim mianie, w porównaniu z leczeniem według zasady „na żądanie”. W czasie ostatniej konferencji ASH 2011 roku w San Diego, przedstawiono analizę kosztów związanych z profilaktycznym podawaniem aPCC w powyższym wskazaniu.

Analizie poddano 26 pacjentów włączonych do badania pro-FEIBA. Wiek pacjentów wynosił od 2,8 do 62,8 roku (mediana 28,7), a średnia masa ciała wyniosła 60,8 kg. W okresie leczenia profilaktycznego otrzymywali oni wstrzyknięcia FEIBA w dawce 85 j./kg \pm 15% 3 razy w tygodniu. W okresie leczenia „na żądanie” pacjenci otrzymywali FEIBA także w dawce 85 j./kg \pm 15%. Oba okresy były przedzielone 3-miesięcznym okresem *wash-out*, w trakcie którego pacjenci byli leczeni według zasady „na żądanie”. W 2011 roku cena 1 j. FEIBA w Stanach Zjednoczonych wynosiła 1,56\$, zaś średnia cena 1 j. FEIBA w Europie w tym czasie wynosiła 1,13\$.

Koszt 6-miesięcznej profilaktyki u 1 pacjenta wyniósł 493 633\$ w porównaniu z 205 549\$ wydanych w ciągu 6 miesięcy stosowania aPCC w terapii „na żądanie”. Koszt uniknięcia jednego krwawienia został oszacowany na 35 565\$ (585\$/kg m.c.). W grupie 16 spośród 26 pacjentów (62%), którzy najlepiej odpowiedzieli na leczenie profilaktyczne (redukcja liczby krwawień \geq 50% w porównaniu z okresem stosowania aPCC według zasady „na żądanie”) (*good responders*), koszt uniknięcia jednego krwawienia został oszacowany na 27 282\$ (449\$/kg m.c.). Z kolei w grupie 10 pacjentów, u których redukcja liczby krwawień w okresie leczenia profilaktycznego była mniejsza niż 50% w porównaniu z okresem leczenia „na żądanie”, koszt uniknięcia jednego krwawienia oszacowano na 76 196\$.

Należy podkreślić, że w powyższej analizie nie brano pod uwagę kosztów związanych z hospitalizacją, absencją w pracy lub szkole, wystąpieniem ciężkich krwawień, które mogą prowadzić do szybkiej progresji artropatii, a nawet zgonu (jeden pacjent zmarł w okresie leczenia „na żądanie” z powodu samoistnego krwotoku śródczaszkowego). Ponadto nie wyceniono korzystnego wpływu profilaktyki na zależną od zdrowia jakość życia (HRQoL) pacjentów. Wyniki omawianej pracy wskazują, że profilaktyczne stosowanie aPCC może być najbardziej opłacalne u pacjentów dobrze odpowiadających na taką formę leczenia (redukcja liczby krwawień znacznie powyżej 50% w porównaniu ze stosowaniem aPCC według zasady „na żądanie”), zwłaszcza jeśli liczba krwawień jest u nich bardzo duża, oraz u dzieci (mała masa ciała), u których będzie możliwe zatrzymanie postępu artropatii tak negatywnie wpływającej na życie społeczne i zawodowe pacjentów z ciężką hemofilią.

Adres do korespondencji: dr hab. n. med. prof. nadzw. Jerzy Windyga, Zakład Hemostazy i Chorób Metabolicznych Instytutu Hematologii i Transfuzjologii, 02-776 Warszawa, ul. Indiry Gandhi 14, e-mail: jwindyga@ihit.waw.pl