

# ГЕМ 34 (1) 2022 информ



ИНФОРМАЦИОННОЕ ИЗДАНИЕ ОБЩЕСТВА БОЛЬНЫХ ГЕМОФИЛИЕЙ

## ИНФОРМАЦИОННЫЕ РЕСУРСЫ ВОГ



Бесплатная горячая линия ВОГ 8 (800) 550-4921

ВРЕМЯ РАБОТЫ – с 10:00 до 16:00 по рабочим дням, время московское

## Содержание

Новости Всероссийского общества гемофилии.....	1
Вебинары ВОГ – источник актуальной информации.....	3
Если появляются проблемы с обеспечением препаратами.....	4
Школы гемофилии.....	5
Информационный вестник.....	17
Медицинская страничка.....	24
Семейный альбом.....	32
Читайте хорошие книги.....	40

# Новости Всероссийского общества гемофилии

Начинаем журнал с самого актуального на сегодня для всех нас вопроса – скажутся ли санкции на лекарственном обеспечении. Ситуация очень непростая, никто не может поручиться за то, что не будет проблем, но на сегодняшний момент ни одна компания в сфере лечения гемофилии не ушла с российского рынка, все фармкомпании подтверждают поставки препаратов на 2023 год. Даже, впервые за долгое время, закуплено в 2022 году некоторое количество препаратов на 2023 год, т.е. где-то в среднем на 2-3 месяца формируется сейчас запас в регионах. Несмотря на все обстоятельства, перечень препаратов, доступных для пациентов с гемофилией и болезнью Виллебранда был расширен, появились пролонгированные препараты. Тот факт, что ни один производитель не ушел с рынка, внушает надежду, что ситуация с препаратами не будет критической. Мы понимаем, что усложняется логистика, закрыты привычные авиа и морские пути, в цепочке доставки появляются третьи страны. Однако, поставки пока идут достаточно стабильно и активно начались отгрузки в регионы.

В течение 2022 года фиксировались периодические перебои в обеспечении препаратами, все они были связаны с разными причинами, в том числе с логистическими ошибками. Всероссийское общество гемофилии реагировало на все обращения пациентов, находилось в тесном контакте с Минздравом, с фирмами-производителями, с поставщиками, с врачами и пациентами, помогая оперативно влиять на ситуацию. Проблемы с лекарствами - самые болезненные для нас всех, поэтому мы разместили в этом номере журнала памятку – алгоритм действий пациента в случае возникновения проблем с обеспечением препаратами. Обращаем на нее ваше внимание.

Несмотря на все сложности текущей ситуации, ВОГ не прекращает активных действий. Эффективность работы своих региональных организаций настолько очевидна для пациентов, что ВОГ продолжает расширяться: в нескольких регионах РФ больные гемофилией и Виллебранда решили создать свои новые региональные организации ВОГ. В 2022 году 73-ей по счету стала региональная организация ВОГ республики Хакасия. Для того чтобы организации на местах реально объединяли пациентов, крепили и могли успешно работать, ВОГ в течение этого года устраивало тренинги для руководителей организаций, был проведен очный слет «Крылья Надежды», в отличие от онлайн формата 2020 г., и в отличие от 2021 г., когда мероприятие вообще не состоялось. Такие занятия для начинающих активистов региональных организаций позволяют получить навыки работы во всех сферах: это и взаимодействие с властью, и с пациентами, и выстраивание работы внутри правления региональной организации. Участники слёта проходят не только теоретическую подготовку. В программе практические занятия и командная работа, мастер-классы. Особое внимание уделено проектам региональных программ защиты прав пациентов и планам их реализации, методикам работы по подготовке и проведению региональных мероприятий, по взаимодействию с врачебным и пациентским сообществом. О слёте активистов читайте в этом номере.

Все мы знаем, что проблемы возникают всегда неожиданно, и не только с обеспечением препаратами или снижением дозировок. Если Вам нужна помощь, Вы всегда можете обратиться за ней на бесплатную Горячую линию Всероссийского общества гемофилии. Вам подскажут, как правильно действовать в создавшихся обстоятельствах, что предпринять в первую очередь, как правильно поступить именно в Вашей ситуации.

**Телефон Горячей линии ВОГ: 8 800 550-49-21.**

**График работы – с 10:00 до 16:00 по рабочим дням**, время московское.

Звонок бесплатный со всех телефонов России.

В течение двух прошлых лет, в период пандемии COVID-19, менялись правила прохождения медико-социальной экспертизы (МСЭ). В 2022 году приняты важные изменения в порядке прохождения МСЭ, и мы подготовили материал на эту тему. Уверены, он будет полезен.

Есть еще одно очень важное новшество, на которое мы хотели бы обратить Ваше внимание: обеспечение всех пациентов детского возраста (т.е. до 18 лет) необходимыми препаратами по программе ВЗН (высокозатратных нозологий) передаётся на попечение государственного фонда «Круг добра».

ВОГ не возражает против такого решения, поскольку обеспечение сохраняется в полном объеме. ВОГ внимательно следит за ситуацией, но не ожидает каких-либо проблем здесь. Идут переговоры с Минздравом и фондом «Круг добра», чтобы формирование заявок из регионов проходило в том же режиме, как и по программе ВЗН. Закупать препараты для детей будет то же самое учреждение, что и для ВЗН – Федеральное казенное учреждение **«Федеральный центр планирования и организации лекарственного обеспечения граждан»** Министерства здравоохранения Российской Федерации (ФКУ «ФЦПиЛО» Минздрава России), возглавляемое Еленой Анатольевной Максимкиной. По сути, для пациентов ничего не меняется, кроме источника финансирования. Более того, благодаря такому решению, освободятся более 20 миллиардов рублей, которые смогут быть направлены на финансирование лекарств для взрослых пациентов. То есть ситуация с недофинансированием программы ВЗН, о которой мы рассказывали в прошлом журнале и которую ВОГ и Всероссийский союз пациентов оценивали в 10 млрд рублей, а с учетом потребности в переходящем остатке на три месяца, почти в 20 млрд, как раз может быть выправлена за счет этих средств. И это неплохой выход из положения: объем высвобождаемых средств, который получает программа ВЗН за счет перевода детей (всех 14 нозологий, не только гемофилии) из программы ВЗН на попечение фонда «Круг добра», как раз примерно равен ежегодному недофинансированию программы. Поэтому ВОГ вполне оптимистично оценивает эту ситуацию, но и дальше не будет выпускать её из поля зрения.

ВОГ постоянно мониторит ситуацию во всех сферах, связанных с лечением пациентов, стараясь оперативно рассказывать обо всех значимых событиях. Для этого есть несколько постоянных информационных каналов, среди которых каждый может выбрать те варианты, которые устраивают лично его. Как оказалось, не все знакомы с ними и, главное, со способами обратной связи, потому и возникают ситуации, когда пациенты с острой проблемой не могут оперативно получить ответ на свой вопрос. Чтобы избежать таких ситуаций, предлагаем всем заглянуть на страницу журнала с информационными ресурсами ВОГ, а лучше вырезать её из журнала и сохранить.

Мы продолжаем проводить вебинары по широкому кругу вопросов для разных групп пациентов, привлекая к участию в них опытных специалистов – врачей из наших профильных федеральных медицинских центров. Такая форма онлайн общения позволяет получить наиболее актуальную информацию по лечению и препаратам, дает возможность прямой связи врача и пациента, привлекает не случайных людей, а участников, заинтересованных конкретной темой. В 2022 году прошли шесть вебинаров для больных гемофилией, один вебинар для пациентов с ИТП и проведен VII форум ИТП. Обзор прошедших вебинаров предлагаем Вашему вниманию.

*Как и прежде, во всех регионах Всероссийское общество гемофилии при поддержке фармкомпаний проводит информационные семинары «Школы гемофилии». Лучшие специалисты в лечении гемофилии и болезни Виллебранда делятся своим опытом работы и отвечают на вопросы пациентов. Одной из важных составляющих этих мероприятий является практическое обучение внутривенным, а с появлением новых препаратов ещё и подкожным инъекциям. В 2022 году было проведено 32 «Школы пациентов». На страницах нашего журнала мы разместили информацию о некоторых из них, а более подробно можно прочитать на сайте ВОГ [www.hemophilia.ru](http://www.hemophilia.ru).*



## Вебинары ВОГ – источник актуальной информации

Всероссийское общество гемофилии начало проводить вебинары для пациентов еще в 2019 году, до наступления пандемии COVID19. ВОГ ставило перед собой вполне конкретную цель – с помощью современных технологий дать возможность всем пациентам, вне зависимости от места проживания, получать от лучших специалистов актуальную информацию по широкому кругу вопросов жизни с гемофилией. Благодаря этой работе ВОГ оказалось готово к продолжению активного взаимодействия со своей аудиторией в удаленном формате в период строгих эпидемиологических ограничений, а после их снятия продолжило эту работу.

**Вебинары** – это знакомые нам семинары, которые проводятся онлайн с помощью современных технологий. Это мероприятия, доступные из любой точки мира любому пользователю, имеющему интернет. Для участия в вебинаре не нужно быть каким-то большим знатоком компьютера или, как говорят, продвинутым пользователем. Участвовать в вебинаре можно не только с компьютера, но и с планшета или смартфона. Единственное необходимое условие - наличие интернета. Чтобы стать участником вебинара, необходимо на него зарегистрироваться.

Каждый из вебинаров ВОГ обычно посвящен одной теме, продолжительность его, как правило, от 60 до 90 минут. ВОГ старается проводить вебинары с учетом географии нашей страны, обычно с 10 или 11 часов утра субботы по московскому времени, но бывают и исключения. Ведут вебинары специалисты, хорошо разбирающиеся в теме, а участники, собравшиеся в указанное время эфира у своих мониторов, имеют возможность не только прослушать доклад, но и задать вопросы ведущим, в какой бы точке земного шара те и другие не находились. Вопросы по теме передаются в письменной форме, их можно подготовить заранее, разместив ещё до начала вебинара в разделе «вопросы», а можно задать там же уже в ходе самого мероприятия. Параллельно, в ходе самого вебинара, работает чат, в котором участники могут обмениваться информацией.

В 2022 году при выборе тематики медицинских вебинаров были сделаны акценты на более узкие специализированные темы:

- «Подготовка к операции эндопротезирования и последующая реабилитация», профессор Зоренко В.Ю., «НМИЦ гематологии» Минздрава России, Москва;
- Вебинар для пациентов с гемофилией Московской области с участием заведующей отделением детской гематологии ГБУЗ МО «Одинцовская областная больница» Шиллер Е. Э. и руководителя отделения клинической гематологии и иммунотерапии МОНКИ, д.м.н. Митиной Т.А.;
- «Современное лечение пациентов с гемофилией», Зозуля Н.И., заведующая клинико-диагностическим отделением гематологии и нарушений гемостаза «НМИЦ гематологии» Минздрава России, Москва;
- «Гемофилия Б – особенности течения и лечения», Андреева Т. А., заведующая Городским центром по лечению больных гемофилией, Санкт-Петербург;
- «Что нужно знать о болезни Виллебранда», Яковлева Е. В., научный сотрудник клинико-диагностического отделения гематологии и нарушений гемостаза «НМИЦ гематологии» Минздрава России, Москва.

Два важных вебинара состоялись только в прямом эфире (без записи):

- «Ингибиторная форма гемофилии: ИИТ, ведение ингибиторных пациентов на препаратах нового поколения», Зозуля Н.И., заведующая клинико-диагностическим отделением гематологии и нарушений гемостаза «НМИЦ гематологии» Минздрава России, Москва;
- впервые проведен закрытый «Женский вебинар» для женщин с нарушением свертываемости и женщин-носительниц гена гемофилии.

В рамках проекта ВОГ «Жизнь с ИТП» для пациентов с идиопатической тромбоцитопенической пурпурой проведен вебинар «ИТП. Методы лечения. Образ жизни», ведущая – Козьмина М. Н., главный внештатный гематолог Департамента здравоохранения Орловской области. В онлайн формате был проведен VII Всероссийский форум ИТП.

В марте 2022 года состоялся вебинар о возможностях трудоустройства пациентов с инвалидностью «О рынке труда, поиске работы и управлении карьерой» с участием основателя компании «FutureToday» Дениса Каминского.

Записи вебинаров выкладываются на информационных ресурсах ВОГ:

- на канале ВОГ в YouTube <https://www.youtube.com/c/HEMOPHILIARUSSIA>,
- на одноименном канале ВОГ в Rutube <https://rutube.ru/channel/23818847/>.
- на странице ВОГ «ВКонтакте» <https://vk.com/hemorussia>.

Записи размещаются в открытом доступе только при наличии согласия специалиста, ведущего семинар, поскольку это – интеллектуальная собственность автора. Мы рекомендуем смотреть вебинары в прямом эфире, т.к. это дает возможность задавать вопросы напрямую специалисту.

Конечно, вебинар не может стать полной заменой очному мероприятию, так как при всех своих достоинствах он имеет и недостатки. Однако, такие онлайн мероприятия являются для пациентов актуальным источником информации по всем вопросам лечения гемофилии, болезни Виллебранда и ИТП.

Следите за анонсами мероприятий, не пропустите вебинар по теме, важной именно для Вас!

## Алгоритм действий пациента в случае возникновения проблем с обеспечением препаратами

Если Вам отказывают в выписке очередного рецепта, ссылаясь на отсутствие препарата, в первую очередь необходимо связаться с гематологом для уточнения ситуации. Отказ в выписке рецепта со ссылкой на то, что препарата нет **НЕЗАКОНЕН!**

Если Вам при выписке очередного рецепта занижают дозировку относительно той ежемесячной, которую Вы должны получить, так же в первую очередь необходимо связаться с гематологом для уточнения ситуации. Если есть возможность, то рецепт с заниженной дозировкой лучше на руки не брать, так как получение рецепта будет считаться согласием с выписанной дозировкой.

В обоих случаях нужно предпринять следующие шаги:

– Сообщить руководству медицинского учреждения об отказе в выписке назначенной дозировки и о Вашем несогласии с незаконными действиями.

– Сообщить об инциденте президенту Вашей региональной организации.

Все координаты президентов региональных организаций можно найти на нашем сайте [hemophilia.ru](http://hemophilia.ru) в разделе ВОГ/ региональные организации (<https://hemophilia.ru/regions.html>).

Написать на бумаге своей рукой, от своего имени обращение на имя Президента ВОГ, по образцу, указанному внизу страницы.

Позвонить на Горячую линию ВОГ по телефону 8 800 550-49-21 и сообщить об инциденте и об отправке обращения на имя президента ВОГ Жулёва Ю.А., получить инструкции о возможных дальнейших действиях.

### Образец обращения на имя Президента ВОГ

Заголовок:

*Президенту Всероссийского общества гемофилии  
Жулёву Юрию Александровичу  
от ФИО, адрес, телефон, адрес  
электронной почты.*

В тексте обращения **обязательно** указать:

- форму и тяжесть гемофилии*
- наличие инвалидности, если есть*
- название препарата, который сейчас получаете, дозировку, которую должны получать*
- суть просьбы или повод для обращения*

В конце текста **обязательно** добавить:

*Дано согласие на использование и обработку моих (моего ребёнка) персональных данных и медицинской информации о моем (моего ребёнка) здоровье для защиты прав.*

Написать текст надо от руки на бумаге, затем **сфотографировать или отсканировать** лист с текстом и отправить на электронную почту [office@hemophilia.ru](mailto:office@hemophilia.ru) Жулёву Ю.А.

Писать надо обязательно своими словами. Письма, написанные под копирку, вызывают недоверие и подозрения.

**Дубинина Марина**

## Школы гемофилии

*После длительного перерыва, связанного с пандемией COVID-19, возможность встретиться, пообщаться очно принесла радость как пациентам и их близким, так и специалистам – врачам, медсестрам. Уже с марта 2022 года региональные отделения ВОГ начали проводить информационные семинары «Школы гемофилии» в очном режиме. Пережив сложный период эпидемии, научившись работать в необычных для всех условиях – онлайн, постепенно возвращаемся мы все к привычным формам обмена информации – с личным присутствием, с возможностью проводить такие необходимые практические занятия по обучению внутривенным и подкожным инъекциям.*

*В апреле 2022 года прошли Школы в Кемерово, Белгороде, Чите, Ульяновске и Москве, в мае – в Тамбове, Твери, Екатеринбурге, Пензе, Ставропольском крае, Кургане и Орле, в июне – в Челябинске и Хабаровске, в августе – в Чебоксарах, в сентябре – в Туле. В октябре «Школы гемофилии» проходили в Красноярске, Вологде, Тюмени, Волгограде, Калуге, Абакане и Рязани, в ноябре – в Сыктывкаре и Кызыле, в декабре – в Калининграде, Южно-Сахалинске и Москве.*

*Предлагаем обзор нескольких мероприятий:*

### Школа гемофилии 2022. Рязань

**29 октября 2022 г. в г. Рязани** в конференц-зале конгресс-отеля «Амакс» состоялся информационный семинар для пациентов «Школа гемофилии».

Организаторами Школы выступили Всероссийское общество гемофилии и Рязанская областная благотворительная общественная организация инвалидов «Общество больных гемофилией».

В семинаре приняли участие пациенты с гемофилией и болезнью фон Виллебранда – взрослые пациенты и дети с родителями, которые проживают в Рязани и Рязанской области, также присутствовали специалисты в области гематологии и стоматологии, всего более 30 человек.

Открывала семинар и позднее выступала с докладом «Деятельность Рязанского общества гемофилии» вице-президент Рязанской региональной организации ВОГ Долгова С.Е.

К участникам семинара с приветственной речью (видеообращение) обратился президент Всероссийского общества гемофилии Ю.А. Жулёв.

С докладом о «Деятельности Всероссийского общества гемофилии» выступила Кржеменевская В.П. – ответственный представитель Центрального правления Всероссийского общества гемофилии в Центральном Федеральном округе, президент Белгородской РО ВОГ. Был показан видеофильм о 20-летию Всероссийского общества гемофилии. Выступила с докладом «Особенности оказания стоматологической помощи пациентам с гемофилией» О. В. Комова – стоматолог, имплантолог, стоматолог-хирург, г. Москва.

Врач травматолог-ортопед Мишин Г. В. выступил с докладом «Ортопедическое лечение у больных гемофилией». С докладами «Современные подходы к лечению пациентов с гемофилией» и «Обстановка в регионе, лекарственное обеспечение и маршрутизация пациентов-детей» выступил врач-гематолог Центра детской гематологии, онкологии и иммунологии, к.м.н. Скобин В.Б.

Заведующий инфекционным отделением, врач-инфекционист ГБУ РО «ОКБ им. Н.А. Семашко» Гришин В.Ю. выступил с докладом «Вирусные гепатиты, диагностика, лечение».

Пациенты принимали активное участие в семинаре, задавали вопросы специалистам, проявляли большой интерес к новым достижениям медицинской науки в области лечения гемофилии и болезни фон Виллебранда. Каждый желающий смог получить индивидуальную консультацию у присутствующих специалистов.

В завершении «Школы» прошел практический тренинг по внутривенному и подкожному введению лекарственных препаратов. Взрослые пациенты, родители детей, да и сами дети с большим удовольствием и воодушевлением практиковались на современных тренажерах.

Рязанское общество инвалидов «Общество больных гемофилией» выражает благодарность Всероссийскому обществу гемофилии и всем, кто помог провести семинар «Школа гемофилии» в г. Рязани.

*Вице-президент Рязанской региональной организации ВОГ  
Долгова С.Е.*

## Школа гемофилии 2022. Тула

**24 сентября 2022 года в Туле** в конференц-зале отеля «AZIMUT Тула», при поддержке Всероссийского общества гемофилии и Тульской региональной организации ВОГ состоялся медицинский информационный семинар «Школа гемофилии 2022».

Участниками события стали пациенты с гемофилией и болезнью Виллебранда, а также родители детей с установленным диагнозом. В числе докладчиков были специалисты Тульского региона и Федеральных центров г. Москвы: гематологи, инфекционист, травматолог-ортопед, стоматолог. Участвовать в мероприятии также пригласили врачей-гематологов Тульского областного клиничко-диагностического центра и Тульской областной клинической больницы, представителя Совета общественных организаций по защите прав пациентов при Территориальном органе Росздравнадзора по Тульской области, представителей фармацевтических компаний.

Президент Тульской РО ВОГ Андрей Вячеславович Степин открыл информационный семинар приветственным словом. В своем видеообращении президент Всероссийского общества гемофилии Юрий Александрович Жулёв горячо приветствовал участников и подчеркнул исключительную важность и уникальность вновь проводящихся очных семинаров, возможность увидеть и задать свои вопросы многоуважаемым врачам, получить ответы и консультации специалистов. Юрий Александрович особенно отметил взаимопомощь членов организации, тех людей, которые способны прийти на выручку в сложные времена, когда в ряде регионов случаются перебои в лекарственном обеспечении.

### **Всегда мы были сильны помощью друг-другу... Особую роль играет наше единство...**

С докладом об обстановке в регионе «Лекарственное обеспечение и маршрутизация пациентов» выступила главный гематолог Тульской области, заведующая гематологическим отделением Тульской ОКБ, д.м.н. Володичева Елена Михайловна. Были представлены статистические данные, маршрутные карты, руководства к действию, рекомендации пациентам и многое другое. В некоторых вопросах Елена Михайловна очень точно и максимально доступно разъясняла текущую ситуацию. «Школа гемофилии» именно то место, где диалог «врач-пациент» может состояться, а его эффективность вырасти в разы.

### **Системный подход. Врач о Вас должен знать! Регулярный приём врача-гематолога и ведение протокола.**

Продолжая и дополняя тему, с докладом выступила главный детский специалист-гематолог, заведующая отделением онкологии, гематологии и химиотерапии ТДОБ Митрофанова Елена Сергеевна. Особое внимание было уделено теме первичного диагностирования коагулопатий и лечению ингибиторной формы ИИТ или переводом на инновационную нефакторную терапию.

### **У активных пациентов, которые дают о себе знать, находятся в контакте с врачом, проблем нет!**

Еще одну немаловажную для туляков тему осветил врач-инфекционист, заведующая областным гепатологическим центром г. Тулы Любовь Васильевна Драчева.

### **В соответствии с клиническими рекомендациями по «Диагностике и лечению гемофилии» пациенты с гемофилией должны быть вакцинированы от гепатита В.**

В дополнение к обширной лекции о гепатитах, их диагностике и современных методах лечения, участников проинформировали о том, где и как можно пройти обследование и лечение. После короткого перерыва слово взял травматолог-ортопед высшей категории, врач отделения травматологии и реконструктивно-восстановительной ортопедии для больных гемофилией ФГБУ «НМИЦ гематологии» МЗ России Мишин Георгий Владимирович. Доктор считает, что прогрессирование проблем с суставами настолько неизбежно, что при отсутствии должной профилактики при гемофилии оказание высокотехнологичной медицинской помощи (эндопротезирование) – это лишь вопрос времени. Абсолютно незаметными для пациента становятся микрокровоотечения в суставы. Однако, при наличии показаний, стойкого болевого синдрома, ухудшения качества жизни оказание высокотехнологичной медицинской помощи тулякам доступно. О том, как такую помощь получить, Георгий Владимирович подробно объяснил.



**При эндопротезировании у пациентов НЕ должно быть источников хронических инфекций, кариозных зубов...**

Следующим докладчиком был д.м.н., врач-гематолог высшей квалификационной категории из Морозовской ДГКБ Виктор Юрьевич Петров, рассказавший как работает система свертывания крови и объяснивший принципы работы инновационных препаратов, в т.ч. не факторных, которые станут доступны в 2023 году. Помимо традиционного лечения были затронуты темы генной терапии и современных технологий (обучающие игры для детей с гемофилией online и приложения для мобильных устройств). Особенный интерес вызвала тема индивидуализированного профилактического режима.

**Профилактика является золотым стандартом!  
Цель – 0 кровотечений!**

На семинаре многократно говорили о профилактике в лечении гемофилии, о наблюдении у врача-гематолога и инфекциониста, но также следует помнить и еще об одном немаловажном аспекте, о котором упоминал и Георгий Владимирович Мишин – о состоянии зубов. Консультант Всероссийского общества гемофилии Оксана Васильевна Комова - врач стоматолог-хирург, пародонтолог – в своем докладе объяснила, откуда появляются проблемы у маленьких детей и взрослых людей. Показала слайды и рассказала об основах профилактики и особенностях оказания стоматологической помощи пациентам с гемофилией. В завершении доклада ответила на вопросы из зала.

**Чтобы сформировать потребность в стоматологическом здоровье у ребенка, ее необходимо иметь родителям.**

Помимо медицинской части, на информационном семинаре выступали члены ВОГ. Деятельность Всероссийского общества гемофилии освещала Кржеменевская Валентина Павловна. О работе и дальнейших планах Тульской региональной организации рассказал Степин Андрей Вячеславович. Участникам и гостям семинара прислала письмо-приветствие дружественная Калужская региональная организация ВОГ. Почетные грамоты и благодарности получили Володичева Е.М., Митрофанова Е.С., Драчева Л.В., Мишин Г.В., Комова О.В., Петров В.Ю., Кржеменевская В.П., Амелешкин Н.В., Захарова Г.В.

Практическую часть семинара среди детей и вовлеченных волонтеров – традиционный тренинг по внутривенным и подкожным инъекциям – проводил Амелешкин Н.В. Стоит также отметить, что медицинские доклады вызвали неподдельный интерес у волонтеров, ныне учащихся медицинских ВУЗов. Все желающие взрослые пациенты и родители малышей получили консультации специалистов. В информационном семинаре «Школа гемофилии 2022» приняли участие более 40 человек.

Тульская региональная организация ВОГ сердечно благодарит Тульское движение «Волонтеры-медики» за оказанную помощь в проведении мероприятия: Буханцову Анастасию Александровну, Зюкину Дану Максимовну, Струкова Родиона Сергеевича и Чеботарь Анастасию Сергеевну, а также регионального координатора Ульянову Елену Александровну. Фоторепортаж с места события вела Тюняева Марина Владимировна из Тульского волонтерского центра.

«Школа гемофилии 2022» прошла при поддержке волонтеров и активистов Тульской региональной организации ВОГ: Степиной Юлии Игоревны, Леонова Павла Сергеевича, Леоновой Ирины Николаевны, Кожокарь Фелиции Сергеевны.

*Президент Тульской РО ВОГ  
Андрей Вячеславович Степин*



Тренинг



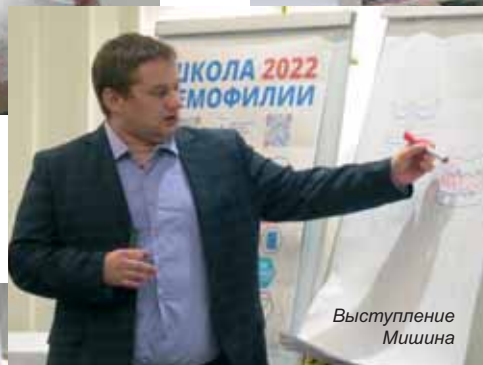
В зале



Выступление Петрова



Выступление Володичевой



Выступление Мишина



Практическая часть



Общее фото

## Школа гемофилии. Вологда

**1 октября 2022 г. в Вологде**, в конференц-зале гостиницы «Спаская» состоялась «Школа гемофилии». Ее участниками стали взрослые пациенты с гемофилией и родители с детьми, проживающие в Вологде и Вологодской области, а также медики – специалисты в области гематологии. Организаторами мероприятия стали Вологодская региональная организация Всероссийского общества гемофилии и гематологическая служба Вологодской области, всего приняли участие в работе «Школы» 40 человек. Открыл «Школу гемофилии» президент Вологодской региональной организации Т.В. Потапкина. Президент Всероссийского общества гемофилии Ю.А. Жулёв обратился с приветственным словом к аудитории (видеообращение). Представитель Всероссийского общества гемофилии в Северо-Западном федеральном округе Березин В.В. в своем онлайн докладе рассказал об основных направлениях работы ВОГ.

Также в онлайн формате выступила к.м.н. Андреева Т. А. – руководитель Санкт-Петербургского Центра по лечению гемофилии, представив доклад «Гемофилия: пролонгированные препараты, эмицизумаб, лечение ингибиторной формы». Ещё один специалист Санкт-Петербургского



Центра по лечению гемофилии – к.м.н., врач-гематолог Константинова В.И. в докладе «Современные тренды в лечении болезни Виллебранда» коснулась актуальных вопросов лечения пациентов. В. Е. Солдатенков, руководитель хирургической клиники ФГБУ РосНИИГиТ ФМБА России (г. Санкт-Петербург) в своем докладе «Актуальные вопросы лечения гемофилических артропатий» рассказал о проблемах, актуальных для каждого пациента с гемофилией. Фролова М.В., главный внештатный гематолог Вологодской области, заведующая гематологическим отделением БУЗ ВО «ВОКБ» выступала с докладом «Опыт лечения, проблемы больных гемофилией и других коагулопатий в Вологодской области».

Потапкина Т.В. – президент Вологодской региональной организации ВОГ – рассказала об основных направлениях работы Вологодской региональной организации, уделив внимание теме, которая волнует всех родителей: «Вопросы поступления инвалидов в средние специальные и высшие учебные заведения». Вице-президент Вологодской региональной организации Хрулева О.С. выступила с докладом-презентацией, актуальным для каждого участника: «Опыт семьи, воспитывающей ребенка больного гемофилией». В заключительной части, традиционно, было проведено практическое занятие по введению концентратов факторов для детей и родителей. Правилам введения препаратов с использованием муляжей обучала участников медицинская сестра Детской областной клинической больницы Клименкова И.А.

В ходе «Школы гемофилии» специалисты из Санкт-Петербурга проконсультировали всех желающих и ответили на массу вопросов, касающихся разных сторон жизни пациентов с гемофилией.

Мероприятие прошло при активном участии пациентов и их близких, все получили актуальную на сегодняшний день информацию, новые теоретические и практические знания.



*Президент Вологодской региональной организации ВОГ  
Потапкина Т.В.*



## Школа гемофилии. Калуга

**1 октября 2022 года** состоялся пятый обучающий семинар «Школа гемофилии» под девизом «Пока мы вместе - мы можем все!». В семинаре приняли участие пациенты, родители, врачи-гематологи, представители региональных организаций Всероссийского общества гемофилии Калужской, Тульской, Белгородской области.

Основные задачи семинара:

1. Обучение самостоятельному введению препаратов для максимально быстрого реагирования на начало кровотечения и его скорейшего прекращения.

2. Ознакомление с последними разработками и медицинскими методами, направленными на решения проблем людей с гемофилией.

3. Информация о современных достижениях в лечении суставов у больных гемофилией и индивидуальные консультации больных гемофилией специалистами из гематологического научного центра Министерства здравоохранения РФ и Центра детской гематологии, онкологии, иммунологии им. Д. Рогачева.

Трудно переоценить значение обучающего семинара «Школа гемофилии». В первую очередь он является доступ-

ным и достоверным источником информации для повышения уровня осведомленности обо всех аспектах заболевания, о новых препаратах, о новых методах лечения и профилактики.

Самым надежным и ценным источником информации в медицинских вопросах являются высококвалифицированные врачи. В нашем обучающем семинаре приняли участие специалисты, профессионалы своего дела: Мишин Георгий Владимирович – травматолог-ортопед отделения реконструктивно-восстановительной ортопедии для больных гемофилией ФГБУ «НИМЦ Гематологии» МЗ РФ г. Москва; Федорова Дарья Викторовна – детский врач-гематолог Центра

детской гематологии, онкологии, иммунологии им. Д. Рогачева; Борисенкова Елена Александровна – главный внештатный гематолог Калужской области, заведующая гематологическим отделением КОКБ; Побережная Ольга Анатольевна – заведующая детским гематологическим отделением КОКБ; Никулина Галина Александровна – врач-гематолог поликлиники КОКБ.

Пятый обучающий семинар «Школа гемофилии» прошел по классической схеме. Президент Всероссийского общества гемофилии Жулёв Юрий Александрович онлайн поздравил всех с открытием «Школы», пожелал плодотворной работы, новых знаний и умений. Кржеменевская Валентина Павловна – представитель Центрального правления ВОГ по Центральному Федеральному Округу, являющаяся Президентом Белгородской региональной организации, приветствовала присутствующих. Президент Калужской региональной благотворительной



общественной организации инвалидов больных гемофилией Шебарова Валентина Ивановна поздравила участников с открытием «Школы» и рассказала о прошлой, настоящей и будущей деятельности организации. Сейчас, благодаря федеральной программе льготного лекарственного обеспечения высокотратных нозологий (программа 14 ВЗН), которая реализуется в соответствии с Федеральным законом 2008 года, лечение больных гемофилией в домашних условиях с применением профилактического лечения позволило в пять и более раз уменьшить число госпитализаций. Проводимое Всероссийским обществом гемофилии исследование качества жизни показало: 96% больных отмечают своевременное предотвращение кровотечений; 59% чувствуют себя психологически защищенными; 62% планируют изменения в работе (поиск работы, переход на полный рабочий день).

Уровень врачей-специалистов, задействованных в работе «Школ гемофилии», очень высок: именитые доктора едут из столицы в регионы читать доклады, обобщая собственную огромную практику, основываясь на главном, и тут же в рамках занятий «Школы гемофилии» проводят очные консультации для всех пациентов. То есть больному гемофилией не надо ехать в ближайший федеральный центр, Москву или Санкт-Петербург, достаточно прийти на «Школу гемофилии», захватив с собой снимки беспокоящих суставов. Во время проведения «Школы» восемь пациентов получили консультации и рекомендации по дальнейшему лечению. Есть уверенность, что все участники «Школы» смогут осознанно и грамотно подходить к своему заболеванию, имея актуальную современную информацию. Родители детей, больных гемофилией, также смогли проконсультироваться и пообщаться с прекрасными детскими врачами-гематологами.

В заключение состоялся тренинг по введению внутривенных и подкожных инъекций с использованием муляжей. В тренинге участвовали как взрослые – пациенты и родители детей, так и подростки. Наши друзья – пациенты из Тулы – очень хорошо справились с задачей. Большая благодарность Амелешкину Николаю и Степину Андрею.

Школа прошла на высоком уровне, программа выполнена полностью, все участники имели возможность пообщаться друг с другом.

Огромная благодарность организаторам и помощникам по проведению Школы: Центральному правлению Всероссийского общества гемофилии и всем фармацевтическим кампаниям-производителям факторов свертывания крови, поддерживающим «Школу гемофилии», медикам-волонтерам и всем участникам. Все получили буклеты, информационные материалы, брошюры о профилактическом лечении и о новых препаратах.

В заключение прозвучали призывы к больным гемофилией не заикливаться на своем диагнозе, стараться жить полной жизнью и помнить, что движение и хорошее расположение духа могут заменить массу лекарств. Тем не менее, калужские гематологи хотели бы напомнить, что пациенты с гемофилией обязательно хотя бы два раза в год должны посещать своего гематолога.

*Президент Калужской региональной организации ВОГ  
Шебарова В.И.*



## Информационный семинар в республике Хакасия «Школа гемофилии: Вместе лучше!»

В городе Абакане, столице республики Хакасия, в конференц-зале гостиницы «Азия» 29 октября 2022 года прошла вторая «Школа гемофилии». В работе приняли участие представители из г. Санкт-Петербурга и республики Хакасия: врачи гематологических и хирургического отделений стационаров, юные и взрослые пациенты с гемофилией, родители маленьких пациентов, представитель ВОГ в Сибирском федеральном округе, а также представители фармацевтических компаний.

Открыла мероприятие представитель Всероссийского общества гемофилии в СФО Людмила Игоревна Громова, которая поблагодарила всех присутствующих за участие в семинаре и предложила вниманию слушателей презентацию «Деятельность ВОГ в СФО».

Участники мероприятия узнали об итогах разносторонней деятельности наших региональных организаций Всероссийского общества гемофилии в Сибирском федеральном округе, познакомились с планом работы по улучшению медицинской помощи пациентам и с уже действующими проектами ВОГ.

Посредством видеосвязи участников семинара поприветствовал Президент ВОГ Юрий Александрович Жулёв, который отметил важность и значимость проводимых мероприятий. Для улучшения качества жизни пациентов с гемофилией и болезнью Виллебранда, он призвал объединить усилия всех заинтересованных лиц – медиков, родственников больных, самих пациентов, пожелал всем плодотворной работы.

Почётный гость «Школы гемофилии» – Виталий Евгеньевич Солдатенков, врач высшей категории, кандидат медицинских наук, руководитель хирургического отделения ФГБУ «Российский НИИ гематологии и трансфузиологии» ФМБА, г. Санкт-Петербург выступал с докладом «Профилактика и лечение полиартропатии у больных гемофилией». Виталий Евгеньевич в своём выступлении проанализировал новые методики лечения болезни, продемонстрировал слушателям последствия неправильного или нерегулярного лечения в виде гемартрозов, типичные осложнения гемофилии. В том числе, были озвучены главные правила профилактики гемофилии с раннего детства. Доктор посоветовал в случае частых спонтанных кровотечений обязательно обратиться к врачу-гематологу для выявления причины и, возможно, корректировки в лечении.

Тему «Маршрутизация пациентов с гемофилией и болезнью Виллебранда в республике Хакасия. Приверженность к профилактической терапии» продолжила врач-гематолог ГБУЗ РКБ им. Г.Я. Ремишевской г. Абакана Галина Рудольфовна Вершинина. Содержательная часть доклада включала интересные факты об истории развития заболевания, этиологии и патогенезе. В ходе дискуссии обсуждалась тема лечения и обеспечение факторами свёртывания крови в республике Хакасия, вопросы лечения гепатитов В и С, а также санаторно-курортного лечения. Врач рассказала о том, что в республике Хакасия не все пациенты находятся под наблюдением врача-гематолога, что очень трудно найти контакт с пациентами, проживающими в глубинке, и что даже имеется случай отказа пациента с гемофилией от проведения профилактического лечения.



В свою очередь, слушатели пожаловались, что пациентам старше 18 лет в Хакасии практически невозможно записаться на приём к врачу-гематологу, чтобы получить консультацию.

На семинаре, в целях обучения введению концентратов факторов свертывания в домашних условиях, медсестра Елена Анатольевна Носорова провела практический мастер-класс. Стоит подчеркнуть, что подобное умение значительно улучшает качество жизни больных: пациенты с тяжелой, среднетяжелой и

ингибиторной формой гемофилии после обучения и инструктажа могут не только распознавать ранние признаки кровотечений, но и самостоятельно ввести факторы свертывания крови внутривенно в домашних условиях. На сегодняшний день домашнее лечение является наиболее эффективным, так как значительно сокращается промежуток времени между возникновением кровоизлияния и началом его лечения, что для больного гемофилией играет решающую роль.



В рамках «Школы» все присутствующие получили информационные материалы в виде брошюр, журнал «Геминформ» и альбом «Гемофилия. Как жить и не бояться». В завершении мероприятия состоялось собрание, на котором участниками единогласно было принято решение о создании в республике Хакасия региональной организации Всероссийского общества гемофилии и выборе руководителя.

Мы благодарим спикеров и слушателей за активное участие в работе «Школы гемофилии» и надеемся на совместное участие в решении всех вышеперечисленных проблем. Особая благодарность – доктору и практикующему хирургу Виталию Евгеньевичу Солдатенкову! Желаем всем крепкого здоровья и новых встреч!

*Представитель ВОГ в СФО  
Людмила Игоревна Громова*



## Объединенный VI конгресс гематологов и III конгресс трансфузиологов

23 апреля 2022 г. в Конгресс-центре Центра Международной торговли завершил работу Объединенный VI конгресс гематологов и III конгресс трансфузиологов. В течение трех дней специалисты всех областей гематологии и трансфузиологии обменивались наработанным опытом и результатами исследований. Специалисты со всей страны съехались, чтобы принять участие в конгрессе. Открывали конгресс высокие официальные лица. На сайте ВОГ [www.hemophilia.ru](http://www.hemophilia.ru) подробно рассказано об этом событии, о принимавших участие специалистах и прочитанных докладах, о выступлении Ю.А. Жулёва, который как Президент Всероссийского общества гемофилии был приглашен для выступления на открытие столь представительного медицинского форума. Сейчас, на страницах журнала, мы бы хотели подчеркнуть важность момента: две общественных организации, имеющие непосредственное отношение к тематике конгресса – Всероссийское общество гемофилии и «Всероссийское общество онкогематологии «Содействие» – получили возможность выступить перед медицинским сообществом и обсудить ряд важных вопросов. Это, безусловно, можно считать знаменательным событием, поскольку демонстрирует уровень доверия и уважения к их деятельности. Никогда еще общественные организации не приглашались для участия в столь сугубо медицинском мероприятии. В течение всех трех дней форума работал объединенный стенд приглашенных для участия в конгрессе общественных организаций, в том числе ВОГ, где были представлены информационные печатные издания. Это были как материалы для врачей, подготовленные их коллегами с опытом работы с гемофилией, так и материалы для пациентов, которые вызвали и интерес, и одобрение подходивших к стенду медиков.



Ю.А. Жулёва, который как Президент Всероссийского общества гемофилии был приглашен для выступления на открытие столь представительного медицинского форума. Сейчас, на страницах журнала, мы бы хотели подчеркнуть важность момента: две общественных организации, имеющие непосредственное отношение к тематике конгресса – Всероссийское общество гемофилии и «Всероссийское общество онкогематологии «Содействие» – получили возможность выступить перед медицинским сообществом и обсудить ряд важных вопросов. Это, безусловно, можно считать знаменательным событием, поскольку демонстрирует уровень доверия и уважения к их деятельности. Никогда еще общественные организации не приглашались для участия в столь сугубо медицинском мероприятии. В течение всех трех дней форума работал объединенный стенд приглашенных для участия в конгрессе общественных организаций, в том числе ВОГ, где были представлены информационные печатные издания. Это были как материалы для врачей, подготовленные их коллегами с опытом работы с гемофилией, так и материалы для пациентов, которые вызвали и интерес, и одобрение подходивших к стенду медиков.

*Член московской региональной организации ВОГ  
В. Галдина*

## 9-10 сентября 2022 г. слёт активистов ВОГ «Крылья надежды»

Слёт «Крылья надежды» — это обучающий семинар для активистов региональных организаций Всероссийского общества гемофилии, принять участие в котором приглашаются также представители из стран СНГ. В 2014 году, когда проект «Крылья надежды» только начинался, в ВОГ было 58 региональных организаций, в 2021 году их число выросло до 68, а в 2022 году стало уже 73 региональные организации. За время существования проекта подготовку получили около 200 человек. Из-за всем известной ситуации с ковидом, в 2020 году слёт проводился в онлайн формате. После перерыва в 2021 году он вновь состоялся очно с 9 по 10 сентября 2022 года в Москве. Слёт активистов Всероссийского общества гемофилии «Крылья надежды» собрал 30 участников из разных регионов России, а также представителей Белоруссии, Казахстана и Киргизии.

В течение двух дней с утра и до вечера продолжалась интенсивная программа подготовки, включающая практические занятия и командную работу. Большое внимание было уделено проектам региональных программ защиты прав пациентов и планам их реализации. Особый интерес и заинтересованный отклик со стороны участников вызвала ролевая игра «Встреча с чиновником», ориентированная на решение задач из реальной жизни пациентов и деятельности пациентской организации.





В работе слёта в качестве экспертов приняли участие члены Центрального правления ВОГ. Каждый участник слёта выбрал для себя так называемое «домашнее задание» – проект или мероприятие, которое будет проводить в своем регионе.

Мы все понимаем, насколько важны для каждой региональной организации активисты и волонтеры, усилиями которых постепенно сдвигаются горы. Очень важно, чтобы их действия были максимально эффективными, а этому как раз и призван способствовать слёт.

**ПОТРЕБНОСТЬ В ПОДГОТОВЛЕННЫХ АКТИВИСТАХ И ВОЛОНТЕРАХ ВСЕГДА ОЧЕНЬ ВЫСОКА!** Если Вы горите желанием помогать другим, решать сложные вопросы и менять нашу жизнь к лучшему, вливайтесь и активно участвуйте в деятельности вашей региональной организации, вносите свои идеи и предложения. Возможно, в следующий раз именно Вы станете новым участником слёта «Крылья надежды».

*Руководитель информационных программ ВОГ  
Наталья Полищук*



## Изменения в процедуре Медико-социальной экспертизы

С 1 июля 2022 года вступил в силу новый порядок оформления инвалидности (утвержден Постановлением Правительства Российской Федерации от 5 апреля 2022 года № 588). Одновременно со вступлением в действие новых Правил, с 1 июля 2022 года прекратил свое действие Временный порядок признания лица инвалидом, предусматривавший автоматическое продление инвалидности (ПП РФ от 16 октября 2020 г. № 1697).

Согласно новому постановлению №588 от 05.04.22, обновленный порядок будут вводить в три этапа. У гражданина теперь появилась возможность выбора – проходить экспертизу заочно или лично. Выбирать формат проведения МСЭ гражданин или его представитель сможет при заполнении формы согласия. Ее оформляют после того, как врачебная комиссия медучреждения, где человек наблюдается или проходит лечение, выдала направление на экспертизу. Форматов проведения МСЭ два:

*Очный* — с личным присутствием, в том числе с выездом комиссии.

*Заочный* — без личного присутствия.

**Заочная МСЭ** проходит без опроса, осмотра и обследования человека. Главный источник информации для специалистов — медицинские документы, которые они изучают во время экспертизы. Приносить их не нужно: все данные поступят в бюро из медицинской организации, например поликлиники, автоматически.

Это могут быть:

- записи в медицинских документах;
- данные о состоянии здоровья человека, степени нарушения функций органов и оценка потенциала к их восстановлению из направления на МСЭ;
- результаты пройденной реабилитации;
- результаты медицинских обследований.

**Очная МСЭ** проводится с помощью опроса, осмотра и обследования человека, при необходимости с использованием:

- специального оборудования;
- медицинских документов и всей имеющейся информации о состоянии здоровья пациента; результатов реабилитации.

Очная экспертиза может проходить в нескольких местах:

- Бюро МСЭ по месту жительства или пребывания гражданина. В этом случае он сам приходит на комиссию;
- по месту нахождения гражданина, если человек не может сам прийти в бюро по состоянию здоровья;
- в интернате, если гражданин находится там;
- в исправительном учреждении, если гражданин отбывает в нем наказание;
- в медицинской организации, если гражданин проходит лечение в стационаре.

В ряде случаев присутствие гражданина на МСЭ необходимо, поэтому ее проводят в очном формате *без права выбора*. Решение об этом принимает бюро после знакомства с полученными документами.

Специалисты могут изменить формат МСЭ, если:

- нет возможности убедиться в достоверности сведений из документов;
- данные медицинских исследований не соответствуют заключениям врачей;
- необходимо провести обследование с помощью специального диагностического оборудования;
- пациент проживает в интернате;
- требуется корректировка программы реабилитации или абилитации.

**После экспертизы** гражданину, получившему инвалидность, выдают справку с указанием группы инвалидности и программу реабилитации или абилитации. Эти документы можно получить на руки или через почту.

**Что изменится с 1 июня 2023 года:**

Граждане смогут пройти МСЭ в дистанционном формате — с помощью интернета, в том числе с использованием сайта Госуслуг. Такую возможность получают те, кто не согласен с решением бюро и хочет его обжаловать в вышестоящем органе: главном бюро региона, а после него — в федеральном.

Также МСЭ может проходить дистанционно с целью:

- контроля главного бюро над бюро или федерального бюро над главным бюро;
- консультации с вышестоящим бюро во время дополнительного обследования.

**Что изменится с 1 января 2024 года:**

**Заочная МСЭ** будет проходить по обезличенным документам, т.е. сотрудники МСЭ не получат доступ к персональным данным гражданина или его представителя. Персональные данные человека появятся только в справке об инвалидности с указанием группы и программы реабилитации. Он получит решение через личный кабинет на сайте Госуслуг или бумажным письмом.

Проводить экспертизу и назначать группу инвалидности будет бюро не по месту жительства человека, а случайное: направления распределяют через информационную систему между бюро всех регионов.

Если бюро решит изменить формат экспертизы на очный, то с документов снимут ограниченный доступ и направят их в бюро по месту жительства или пребывания гражданина.

Как и раньше, **инвалидность нельзя получить только по факту заболевания: само по себе наличие тяжелого заболевания, даже такого, как гемофилия, не даёт возможности автоматически получить инвалидность.** Согласно приказу Минтруда России от 27.08.2019 № 585н, учитывается степень выраженности нарушений функций организма и критерии установления инвалидности, как для взрослых, так и для детей, в соответствии с приложениями 1 и 2 к этому приказу. Самое главное для нас, пациентов, это то, что **все нововведения касаются только порядка прохождения МСЭ, но не касаются самих критериев установления инвалидности.** Все они остаются прежними.

Подробнее ознакомиться с текстом Постановления и новыми правилами можно здесь <http://government.ru/docs/all/140380/>

Много полезной информации по этому вопросу можно найти здесь: <https://fbmse.ru/>

Уже действует Горячая линия по новым Правилам признания лица инвалидом  
+7 (499) 550-09-91

## Персонализированный подход в терапии гемофилии А – залог успешного лечения!

*Шиллер Екатерина Эдуардовна – к.м.н., главный внештатный специалист детский гематолог Минздрава Московской области, врач-гематолог высшей квалификационной категории, заведующая отделением гематологии ГБУЗ «Одинцовская областная больница ДЗ МО».*

Основой терапии гемофилии А является усиление гемостаза для предотвращения кровотечений, а стандартом медицинской помощи считается профилактическое лечение, направленное на предотвращение геморрагических эпизодов, проводимое в рамках доступных ресурсов [1]. В настоящее время спектр препаратов для заместительной терапии значительно расширился и включает в себя как старые и хорошо зарекомендовавшие себя концентраты фактора свертывания крови VIII со стандартным периодом полувыведения, так и инновационные препараты фактора свертывания крови VIII с пролонгированным периодом полувыведения, которые обеспечивают более гибкую профилактику с надежной защитой от кровотечений.

Раньше целевым остаточным уровнем активности фактора считался 1%. Сейчас мы все больше получаем свидетельств того, что минимальные остаточные уровни активности фактора в 1%-3% недостаточны для полного предотвращения кровотечений, при таких уровнях случаются клинические и субклинические кровотечения, ведущие к постепенному прогрессированию артропатии и снижению качества жизни [2]. Поэтому большинство врачей предпочитают стремиться к более высоким уровням минимальной остаточной активности >3%-5% и выше. Чем выше постоянный уровень активности фактора, тем меньше кровотечений, а при уровне FVIII свыше 15% спонтанные кровотечения практически не встречаются [3-5]. Для достижения более высоких уровней FVIII требуются более высокие дозы или частые инфузии концентратов фактора свертывания, поэтому целесообразно применение препаратов с пролонгированным периодом полувыведения. С одной стороны, новые препараты с пролонгированным периодом полувыведения помогают закрыть ранее неудовлетворенные потребности в лечении гемофилии А, а с другой, дают возможность персонализировать лечение каждого пациента. Всё больше и больше гематологов во всём мире внедряют индивидуализированное профилактическое лечение гемофилии А в свою практику. Применение препаратов с пролонгированным периодом полувыведения позволяет не только снизить количество инъекций, но и способствует повышению уровня физической активности, качества жизни и максимальному снижению частоты кровотечений.

Всемирная федерация гемофилии с целью подбора оптимального режима терапии и оценки эффективности текущего лечения рекомендует проведение оценки фармакокинетических показателей каждого пациента [6]. Сейчас специалистам здравоохранения доступно несколько сервисов для расчета индивидуальных фармакокинетических параметров, например WAPPS-HEMO. WAPPS-HEMO – международная платформа, которая позволяет построить индивидуальную фармакокинетическую кривую, основанную на 2-3 лабораторных анализах активности фактора свертывания VIII, полученных у пациента при рутинном посещении гематолога. Лабораторная диагностика играет ключевую роль в подборе и управлении терапией пациента с гемофилией А. Основываясь на лабораторных данных, врач может подобрать индивидуальный режим в соответствии с потребностями пациента, например в зависимости от физической активности (работа, занятие спортом). Пиковые концентрации фактора свертывания крови, появляющиеся после введения препарата, необходимы для защиты от кровотечений в период повышенной физической нагрузки, а частота введения может быть скорректирована исходя из образа жизни пациента.

Лечение больше не основано на стандартизированных протоколах внутривенного введения концентратов факторов свертывания. Терапия гемофилии А в настоящее время представляет собой сложный и многогранный процесс определения наиболее подходящего варианта лечения для каждого пациента из множества доступных вариантов. В этом процессе, помимо врачей, должны активно участвовать пациент и его семья. Регулярное посещение гематолога – залог успешного лечения с повышением качества жизни.

[1]. Poonnoose P, Carneiro JDA, Cruickshank AL, et al. Episodic replacement of clotting factor concentrates does not prevent bleeding or musculoskeletal damage—the MUSFIH study. *Haemophilia*. 2017;23(4):538-546

[2]. Oldenburg J. Optimal treatment strategies for hemophilia: achievements and limitations of current prophylactic regimens. *Blood*. 2015;125(13):2038-2044

[3]. Collins PW, Blanchette VS, Fischer K, et al. Break-through bleeding in relation to predicted factor VIII levels in patients receiving prophylactic treatment for severe hemophilia A. *J Thromb Haemost*. 2009;7(3):413-420

[4]. den Uijl IE, Fischer K, Van Der Bom JG, Grobbee DE, Rosendaal FR, Plug I. Analysis of low frequency bleeding data: the association of joint bleeds according to baseline FVIII activity levels. *Haemophilia*. 2011;17(1):41-44

[5]. Soucie JM, Monahan PE, Kulkarni R, Konkle BA, Mazepa MA. The frequency of joint hemorrhages and procedures in nonsevere hemophilia A vs B. *Blood Adv*. 2018;2(16):2136-2144

[6]. Srivastava A, Santagostino E, Dougall A, et al. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. *Haemophilia*. 2020;00: 1–158. <https://doi.org/10.1111/hae.14046>

# Лоноктоког альфа (одноцепочечный рекомбинантный фактор VIII) – расширение возможностей терапии пациентов с гемофилией А

## Зачем необходимы новые препараты для лечения гемофилии?

За последние годы в России были достигнуты значительные успехи в лечении гемофилии: существенно повысились продолжительность и качество жизни пациентов [1]. В то же время, несмотря на эти достижения, в повседневной клинической практике ведения пациентов с гемофилией сохраняется ряд нерешенных проблем. Так, более половины пациентов с гемофилией А отмечают сохранение болей и ограничение подвижности суставов, у 70% пациентов частота кровотечений в суставы составляет 4 и более раз в год. Также остаётся тяжёлым бремя заболевания, связанное с терапией: более 42% пациентов вводят препараты фактора VIII 3 раза в неделю и чаще, при этом около трети пациентов хотели бы уменьшить частоту введения препаратов. Как результат этого, 92% пациентов хотели бы улучшить качество жизни [2]. В связи с этим, остается актуальной потребность в разработке и внедрении в клиническую практику новых препаратов факторов свертывания, которые позволили бы сократить частоту инфузий при сохранении эффективности в профилактике кровотечений [3].

## Особенности препарата лоноктоког альфа

Одним из таких новых препаратов является лоноктоког альфа: одноцепочечный рекомбинантный фактор VIII. При его производстве используется специальная методика: в молекуле препарата тяжелая и легкая пептидные цепи фактора VIII связаны дополнительной прочной связью в один белок. Это позволяет улучшить стабильность молекулы и повысить её способность к связыванию с фактором Виллебранда, что способствует увеличению длительности действия [4]. Такие особенности молекулы лоноктокога позволили увеличить интервал между инфузиями препарата в режиме профилактики: для всех возрастных групп он составляет 2–3 раза в неделю [5]. Таким образом, профилактическая терапия препаратом лоноктоког альфа может быть адаптирована под потребности пациента: режим инфузий 2 раза в неделю позволит сократить количество введений препарата, хотя возможно и сохранение частоты введений для достижения большей активности фактора VIII и, соответственно, большей защиты от кровотечений у тех пациентов, которым она необходима.

## Данные по эффективности и безопасности препарата

Эффективность и безопасность препарата лоноктоког альфа у пациентов с гемофилией А изучались в крупной исследовательской программе AFFINITY, в которую было включено в общей сложности более 250 пациентов с гемофилией разного возраста. По данным этого исследования оба режима введений препарата (и 2, и 3 раза в неделю) продемонстрировали хороший контроль кровотечений: медиана годовой частоты спонтанных кровотечений составила 0,0. Ни у одного из участников исследования не было выявлено ни образования ингибиторов, ни тромботических осложнений [6,7]. В программу клинических исследований препарата были включены и пациенты из России. На данный момент препарат представлен в 50 странах мира, в том числе в 32 странах ЕС.

## Возможные критерии для назначения препарата

Препарат лоноктоког альфа был зарегистрирован в России в апреле 2021 года, а в начале 2022 года профильная комиссия Министерства здравоохранения РФ одобрила включение этого препарата в перечни ЖНВЛП и ВЗН на 2023 год. В соответствии с заключением экспертов, на препарат лоноктоког альфа могут быть переведены пациенты с гемофилией А любого возраста, с любой степенью тяжести заболевания, отвечающие следующим критериям: ранее леченые пациенты, получающие профилактическое лечение рекомбинантным фактором свертывания крови VIII при сохранении более 2-х спонтанных кровотечений на протяжении года, потребовавших дополнительного введения препарата; пациенты с нежелательными реакциями на любые другие препараты фактора свертывания крови VIII.

## Режим дозирования препарата лоноктоког альфа

В соответствии с инструкцией рекомендуется следующий подход к дозированию препарата в режиме профилактики: взрослым и подросткам в возрасте 12 лет и старше рекомендованы дозировки 20–50 МЕ/кг массы тела 2–3 раза в неделю; детям младше 12 лет рекомендованы дозировки 30–50 МЕ/кг массы тела 2–3 раза в неделю [5]. Процесс приготовления раствора препарата лоноктоког альфа и его введения не отличается от других препаратов фактора VIII. В комплектацию упаковки входят флакон с лиофилизатом, флакон с растворителем, устройство для добавления растворителя со встроенным фильтром Mix2Vial, комплект для внутривенного введения препарата (1 одноразовый шприц объемом 5 или 10 мл, 1 игла-бабочка, 2 дезинфицирующих салфетки и нестерильный лейкопластырь).

## Условия хранения и срок годности препарата:

Хранить при температуре от +2 до +8 °С, не замораживать. Допускается единовременное хранение при комнатной температуре до +25 °С в течение 3 месяцев в пределах срока годности, указанного на этикетке флакона и на картонной пачке. Срок годности: 3 года.

### Литература:

1. Воробьев П.А., Краснова Л.С., Воробьев А.П. и соавт. Эпидемиология, экономика и качество жизни больных гемофилией в России в 2007–2017 гг.: результаты применения стандартизации в терапии. Проблемы стандартизации в здравоохранении 2018; 9–10: 15–34.
2. Зозуля Н.И., Дмитриева О.С. Нерешенные вопросы лечения взрослых пациентов с гемофилией А. Терапевтический архив. 2022; 94 (1): 77–82.
3. Srivastava A., Santagostino E., Dougall A. et al on behalf of the WFH Guidelines for the Management of Hemophilia panelists and co-authors. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia. 2020; 26 (Suppl 6): 1–158.
4. R. Klamroth, M. Simpson, M. von Depka-Prondzinski et al. Comparative pharmacokinetics of rVIII-SingleChain and octocog alfa (Advate) in patients with severe haemophilia A. Haemophilia. 2016; 22: 730–738.
5. Инструкция по медицинскому применению лекарственного препарата АФСТИЛА, ЛП-006975, 26.04.2021.
6. Mahlangu J., Kuliczowski K., Karim F. et al. Efficacy and safety of rVIII-SingleChain: results of a phase 1/3 multicenter clinical trial in severe hemophilia A. Blood. 2016; 128 (5): 630–637.
7. Stasyshyn O., Djambas K., Iosava G. et al. Safety, efficacy and pharmacokinetics of rVIII-SingleChain in children with severe hemophilia A: results of a multicenter clinical trial. J Thromb Haemost. 2017; 15 (4): 636–644.

## Клинический случай успешной ИИТ

**Зозуля Надежда Ивановна**, д.м.н., врач-гематолог высшей квалификационной категории, заведующая отделом коагулопатий ФГБУ «НМИЦ гематологии» Минздрава России, г. Москва.

Многие пациенты с гемофилией, получающие заместительную терапию концентратами факторов свертывания крови, опасаются появления ингибиторов, которые делают работу препаратов неэффективной. И действительно, данное осложнение может возникнуть практически у любого пациента, независимо от тяжести заболевания. Хорошо известны факторы риска развития ингибиторов: первые 10–50 введений концентратов факторов; начало терапии по факту кровотечения, а не профилактически; проведение интенсивной терапии, например, для обеспечения гемостаза в периоперационном периоде. Именно такая история случилась и с нашим пациентом.

Взрослый мужчина, 39 лет, наблюдался с 2-летнего возраста по поводу среднетяжелой формы гемофилии А (активность FVIII 2%). На протяжении жизни отмечались гематомы мягких тканей, кровотечения из слизистых оболочек (носовые, десневые, после удаления зубов), гематурии, кровоизлияния в крупные суставы с частотой возникновения геморрагических эпизодов не более 3–4 раз в год. Получал гемостатическую терапию компонентами крови, а затем и концентратами фактора свертывания крови VIII по факту возникновения кровотечений с удовлетворительной эффективностью. Получил высшее образование, работает специалистом, имеет семью.

Драматическое развитие событий – с весны 2020 года, когда возникла спонтанная подслизистая гематома кишечника, потребовавшая проведения оперативного вмешательства, осложнившегося внутрибрюшным кровотечением, развитием инфицированной гематомы брыжейки кишки с последующим выполнением серии последовательных оперативных вмешательств (в общей сложности 12 операций за 15 месяцев) в брюшной полости вследствие развития перитонита, несостоятельности культи кишки, кишечной непроходимости, формирования послеоперационной грыжи. Через 9 месяцев от начала проведения интенсивной гемостатической терапии у пациента впервые был обнаружен ингибитор FVIII в низком титре (1,2 БЕ), произведена смена терапии на препараты шунтирующего действия (антиингибиторный коагулянтный комплекс и рекомбинантный FVIIa). Максимальный титр ингибитора за весь период наблюдения – 10,4 БЕ. Как известно, наличие ингибитора не позволяет вернуться к прежней терапии и значительно повышает вероятность развития спонтанных жизнеугрожающих кровотечений даже при проведении профилактической терапии препаратами шунтирующего действия или эмицизумабом.

Учитывая анамнез заболевания, активный социальный статус пациента, желание сохранить работу и вести привычный образ жизни, летом 2022 года пациенту было начато лечение, направленное на элиминацию ингибитора. Для проведения иммунотолерантной терапии применялся препарат симоктоког альфа (рекомбинантный FVIII, полученный из клеточной линии человека). Режим и стартовая доза препарата соответствовали высокодозному Боннскому протоколу, демонстрирующему наибольшую эффективность в достижении толерантности у пациентов с наличием ингибитора FVIII. Симоктоког альфа вводился пациентом ежедневно, самостоятельно, дома, 1 раз в день. Через 2 недели терапии ингибитор был полностью элиминирован, и активность FVIII не снижалась в течение суток (до следующего введения препарата) ниже 59%, что соответствует нормальным значениям здорового человека без гемофилии. Обоснованно, у нашего пациента полностью отсутствовали эпизоды кровотечений, появилась уверенность в завтрашнем дне, стабильность в работе и семейных отношениях. После подтверждения сохранения лабораторных критериев достижения толерантности через месяц было начато постепенное снижение дозы препарата согласно протоколу. При контроле коагулограммы через 3, 4, 5 месяцев терапии min базовая активность FVIII оставалась высокой (43,5%–30,2%–26,3% соответственно) с тах повышением в пределах допустимых безопасных значений (173,6%–172,6%–150,7%), ингибитор отсутствовал, кровотечений не было. Переносимость терапии удовлетворительная. Тромботических осложнений не отмечалось.

Таким образом, своевременное проведение высокодозной иммунотолерантной терапии позволило пациенту в течение короткого периода времени избавиться от грозного осложнения, значительно уменьшить риски развития повторных жизнеугрожающих кровотечений, приблизить качество собственной жизни к качеству жизни здорового человека и претендовать в будущем на возможность получения генной терапии, недоступной, к сожалению, для ингибиторных пациентов.

По вопросам лечения ингибиторной формы гемофилии Вы можете обратиться за консультацией в клинко-диагностическое отделение гематологии и нарушений гемостаза ФГБУ «НМИЦ гематологии» Минздрава России.

**Контактные данные:** 125167, г. Москва, Новый Зыковский проезд, дом 4

**Телефон отделения:** 8 (495) 612-29-12

**Консультации осуществляются по предварительной записи**

**Запись по тел.:** +7 (495) 612 45-51 или +7 (800) 775-05-82

Для получения консультации и проведения обследования в рамках ОМС необходимо иметь при себе направление с м/ж по форме 057-у, паспорт, СНИЛС, мед. полис.

## «Темофилия мне не мешает заниматься танцами»: История Артёма



Артём Рыжов живет с диагнозом гемофилия всю свою жизнь. Как у всех подростков, у него есть свое увлечение — танцы.

С года до шести лет Артём получал лечение плазматическими препаратами факторов свёртывания крови VIII, затем в течение четырех лет проходил терапию рекомбинантными факторами, но проблемы не уходили. Гематолог рекомендовал перейти на новый препарат, и Артём и его мама Ирина Михайловна решили прислушаться к совету врача. После смены терапии жить и заниматься любимым делом стало проще и комфортнее, так как теперь было необходимо делать только один укол лекарства в неделю.

Пациентам с гемофилией важно помнить, что, если остаются проблемы с кровотечениями, врач может назначить смену терапии. Правильно подобранный препарат позволит жить полноценной жизнью и заниматься любимым делом — спортом, музыкой, учебой. Если используемая схема лечения не даёт стойкого хорошего результата, то желательно как можно

раньше получить консультацию специалистов по смене или изменению в режиме терапии, не дожидаясь не обратимых проблем с суставами.

### **Артём, расскажи про себя: сколько тебе лет, чем занимаешься, какие хобби?**

– Мне 12 лет. С 6 лет занимаюсь спортивно-бальными танцами, участвую в конкурсах и соревнованиях, закончил музыкальную школу по классу гитары. Также занимаюсь на ударной установке и web программированием.

### **Ирина Михайловна, как обнаружили гемофилию у сына? Как проявлялась болезнь, когда начали лечение (профилактику кровотечений)?**

– Про гемофилию начали догадываться ещё в роддоме, когда взяли кровь из пальчика, и у него сутки не останавливалась кровь. Подтвердился диагноз в 2 месяца, а профилактическое лечение начали уже в 1 год.

### **Ирина Михайловна, как протекает болезнь, какие последствия гемофилии? Как повлияло на суставы?**

– На данный момент у Артёма артропатия голеностопных суставов 2 стадии. Был гемартроз коленного сустава, из-за которого Артём не мог продолжать тренировки больше 6 месяцев.

### **Были ли этапы смены лечения?**

– Да, за это время сменили несколько препаратов и последний раз смена терапии была в 2021 году, когда перешли на совсем новый инновационный препарат.



***Почему вы приняли решение о смене терапии? Что сыграло решающую роль в смене терапии?***

– Терапию сменили по рекомендации лечащего врача, он предложил это в связи с тем, что на фоне предыдущей терапии у Артёма был гемартроз колена, и, соответственно, она не обеспечивала защиту от кровотечений.

***Как вы узнали о других вариантах профилактики?***

– О других вариантах профилактического лечения мы узнали от лечащего врача и других пациентов, которые делились своим опытом применения нового подкожного препарата.

***Насколько важно обращаться к врачу во время лечения? И как часто вы видите вашего лечащего врача?***

– К лечащему врачу очень важно обращаться и быть всегда с ним на связи. Необходимо приезжать на обследование и обсуждать с врачом все проблемы, если такие есть, чтобы понимать, правильно ли подобран препарат и дозировка.

***Артём, как гемофилия влияла раньше и влияет сейчас на вашу жизнь, на школу, на занятия, на общение со сверстниками? С какими ограничениями приходится сталкиваться?***

– Раньше мне делали внутривенные уколы через день, сейчас колют подкожно 1 раз в неделю. И это очень удобно и здорово. Тренеру не сразу сказали, что у меня гемофилия, так как боялись, что не допустят до соревнований. И действительно, первый раз мне не разрешили даже сдавать ГТО, когда узнали о диагнозе. Но уже через месяц мне дали возможность участвовать, и я сдал на золотой значок.

***Ирина Михайловна, что вам сейчас дает терапия?***

– Мы стали чаще участвовать в конкурсах и соревнованиях в различных городах России, и в этом году, например, посетили Санкт-Петербург. Это была мечта Артёма и, благодаря его занятиям танцем и новой терапии, мечта осуществилась.

***Что бы вы сказали другим родителям, чтобы те задумались об эффективности текущей терапии и поговорили с врачом о других возможностях лечения?***

– Я посоветовала бы обязательно обсудить со своим лечащим врачом терапию, если имеются проблемы и ограничения на текущей. Так как у нас стало меньше кровотечений, мы сейчас можем позволить сыну дольше тренироваться, заниматься любимым делом и путешествовать без ограничений.

***Артём, что бы ты сказал другим таким же ребятам с гемофилией А, чтобы жить интересно и активно?***

– Я бы сказал: не бойтесь ничего, занимайтесь тем, что вам нравится, и у вас всё получится!

***Рыжов Артём, Варичева И.М.***



## Генотерапевтические препараты для лечения гемофилии А и В

В основе редких наследственных заболеваний лежит мутация (или даже несколько) в одном из генов генома пациента, которая приводит к нарушению функции белка. Существующие подходы к лечению таких заболеваний, как правило, представляют собой пожизненную терапию, а для ряда тяжелых наследственных заболеваний терапия и вовсе отсутствует. Генотерапевтические препараты на основе рекомбинантных аденоассоциированных векторов (rAAV) разрабатываются для того, чтобы изменить подход к терапии наследственных заболеваний. Особенность генотерапевтических препаратов на основе rAAV заключается в том, что однократное введение таких препаратов, как правило, позволяет добиться стабильного терапевтического эффекта на многие годы. Так, например, в случае гемофилии А и В ожидается, что однократное введение препаратов на основе rAAV доставит в организм пациента функциональную версию генов факторов свертываемости FVIII или FIX, соответственно, позволив добиться стабильной многолетней экспрессии соответствующих факторов свертываемости<sup>1, 2, 3</sup>. Применение препаратов на основе rAAV для лечения гемофилии А и В может позволить полностью заменить пожизненную терапию рекомбинантными факторами свертываемости крови, что может обеспечить пациентам принципиально новый уровень качества жизни<sup>4</sup>.

### Почему для генной терапии используют аденоассоциированные вирусы?

Рекомбинантные аденоассоциированные вирусные векторы (rAAV) на данный момент являются одним из наиболее удобных инструментов для *in vivo* генной терапии наследственных заболеваний, что обусловлено целым рядом особенностей. Во-первых, rAAV не связаны с патогенезом каких-либо заболеваний у человека. Во-вторых, rAAV обладают довольно низкой иммуногенностью по сравнению с другими известными вирусными векторами. Кроме того, поскольку rAAV не содержат вирусных генов, необходимых для репликации и сборки вектора, rAAV считается безопасной системой доставки для генной терапии<sup>5</sup> *in vivo*. На данный момент векторы на основе rAAV занимают лидирующее место в технологии генной терапии *in vivo*.

Разработка генотерапевтических препаратов на основе rAAV является высокотехнологичной областью на стыке молекулярной генетики, клеточной биологии, вирусологии и биотехнологии. Ранняя разработка таких препаратов требует привлечения большого количества высококвалифицированных кадров, наличия дорогостоящей RnD-инфраструктуры и комплексного подхода к аналитике на всех этапах от создания технологии наработки и очистки rAAV до тестирования препаратов *in vitro* и контроля качества.

*Аденоассоциированные вирусы были открыты уже более полувека назад, в 1965 году, и уже несколько десятилетий служат объектом фундаментальных исследований по вирусологии. К началу 80-х годов генным инженерам удалось создать искусственный вектор на основе аденоассоциированного вируса.*

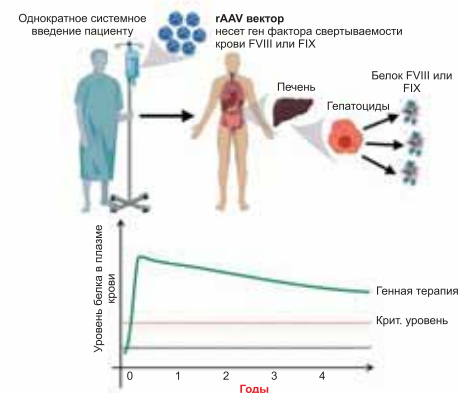
*Спустя еще десятилетия, в начале 90-х, было предложено в терапевтических целях использовать подобные векторы, которые к тому моменту уже были более усовершенствованы по сравнению с природным вирусом. И в первой половине 90-х стали проводить доклинические исследования на животных и клинические исследования уже рекомбинантных векторов на основе аденоассоциированного вируса.*

### Как обстоят дела в мире с генной терапией гемофилии?

До недавних пор не было ни одного зарегистрированного генотерапевтического препарата для лечения гемофилии. Первый такой препарат получил регистрацию в Европе в конце августа 2022 года, на данный момент это лекарственное средство еще не поступило в продажу.

В России ученые из биотехнологической компании BIOCAD завершили раннюю разработку оригинальных генотерапевтических препаратов на основе rAAV для лечения гемофилии А и В. Сейчас это препараты-кандидаты, которые успешно прошли обязательные доклинические исследования с участием животных. В ходе исследований была получена информация о фармакодинамике, токсичности и фармакокинетических свойствах будущего лекарственного препарата. Впереди – клинические исследования.

В основе Гемофилии А и В лежат мутации в генах, кодирующих факторы свертываемости крови FIX (Гемофилия В) и FVIII (Гемофилия А)





## Мы задали несколько вопросов компании BIOCAD о разрабатываемых генотерапевтических препаратах

### Как устроены ваши препараты генной терапии?

Генотерапевтические препараты на основе гAAV, которые мы разработали для терапии гемофилии А и В, являются так называемыми препаратами next-in-class, то есть следующими в поколении. На сегодняшний день в мире зарегистрировано всего три генотерапевтических препарата на основе гAAV для лечения орфанных заболеваний.

Разработанные в компании BIOCAD генотерапевтические препараты для лечения гемофилии А и В представляют собой векторы на основе гAAV, которые несут гены человеческих факторов свертываемости крови: фактора VIII в случае гемофилии А или фактора IX в случае гемофилии В. Механизм действия подразумевает, что при внутривенном введении таких препаратов рекомбинантные вирусные частицы AAV, содержащие экспрессионную кассету, кодирующую ген фактора свертываемости крови, проникают в целевые клетки пациента, что приводит к стабильной экспрессии гена фактора свертываемости крови и продукции соответствующего белка. В результате секретируемый фактор свертывания крови в плазме восстанавливает гемостаз. Предполагается, что препарат будет помогать обрести полноценный ген, кодирующий этот фактор. Ожидается, что одной инъекции должно хватить для достижения стойкого эффекта на долгие годы. На доклиническом уровне нам уже удалось подтвердить ожидаемые результаты. Предстоят клинические исследования.

### Сколько времени ушло на создание российских оригинальных препаратов?

Для завершения разработки и перевода на стадию доклинических исследований генотерапевтических препаратов для лечения гемофилии А и В потребовалось порядка двух лет. Надо отметить, что реализация этих проектов в столь сжатые сроки стала возможна благодаря уникальной технологической платформе, над которой мы начали работать в 2016 году. На момент начала создания технологической платформы для производства генной терапии на основе рекомбинантных AAV, компания уже имела обширный опыт в биотехнологии и генетической инженерии, поскольку занимается выпуском лекарственных препаратов на основе рекомбинантных белков, в первую очередь моноклональных антител.

### На какой стадии разработка препаратов?

Работа над исследуемыми препаратами ведется с начала 2018 года, первые эксперименты по оценке эффективности на животных были начаты в 2019-м. К середине 2019 года был получен первый прототип исследуемых препаратов, которые в дальнейшем совершенствовались.

В 2022 году закончен этап доклинической разработки препарата для гемофилии В, комплект документов для проведения клинических исследований подан в Минздрав России, и после получения разрешения начнется подготовка к клиническим исследованиям с участием пациентов. Доклинические исследования препарата для терапии гемофилии А планируется завершить в 2023 году.

<sup>1</sup> Ozelo MC, Mahlangu J., Pasi KJ, Giermasz A., Leavitt AD, Laffan M., Symington E., Quon DV, Wang JD, Peerlinck K., Pipe SW, Madan B., Key NS, Pierce GF, O'Mahony B., Kaczmarek R., Henshaw J., Lawal A., Jayaram K., Huang M., Yang X., Wong WY, Kim B. GENEr8-1 Trial Group. Valoctocogene Roxaparovec Gene Therapy for Hemophilia A. *N Engl J Med.* 2022 Mar 17;386(11):1013-1025. doi: 10.1056/NEJMoa2113708. PMID: 35294811.

<sup>2</sup> Roctavian. European Medicines Agency // URL: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/roctavian-0>

<sup>3</sup> Thornburg CD. Etranacogene dezaparovec for hemophilia B gene therapy. *Therapeutic Advances in Rare Disease.* 2021;2. doi:10.1177/26330040211058896

<sup>4</sup> Thornburg CD. Etranacogene dezaparovec for hemophilia B gene therapy. *Therapeutic Advances in Rare Disease.* 2021;2. doi:10.1177/26330040211058896

<sup>5</sup> Current Clinical Applications of In Vivo Gene Therapy with AAVs // *Molecular Therapy* // Open AccessPublished: December 09, 2020. DOI: <https://doi.org/10.1016/j.ymthe.2020.12.007>

# Медицинская страничка

*От редакции: Предлагаем Вашему вниманию статью Виталия Евгеньевича Солдатенкова, к.м.н., руководителя хирургической клиники ФГБУ «РосНИИ гематологии и трансфузиологии ФМБА России» города Санкт-Петербурга. Не только не сомневаемся, что каждый пациент найдет в этой статье что-то для себя полезное, но и рассчитываем, что она станет руководством к действию и для взрослых пациентов, и для родителей детей с гемофилией:*

## Поражение суставов у больных гемофилией или гемофилическая полиартропатия

**(история, причины, диагностика, профилактика, лечение и многое другое)**

### ВОПРОСЫ И ОТВЕТЫ, ДИАЛОГИ и ДОВЕРИТЕЛЬНЫЕ РАЗГОВОРЫ ВРАЧЕЙ, ПАЦИЕНТОВ и РОДИТЕЛЕЙ

*В. Е. Солдатенков – к.м.н., руководитель хирургической клиники ФГБУ «РосНИИ гематологии и трансфузиологии ФМБА России», г. Санкт-Петербург*

#### ВВЕДЕНИЕ

Уважаемые дорогие друзья и коллеги!

Идея изложить сложные медицинские проблемы гемофилической артропатии в виде ответов - диалогов на наиболее часто встречающиеся вопросы пациентов, их родственников и родителей возникла давно. В ходе лечения пациентов с гемофилией в клинике, при многочисленных встречах и консультациях на «Школах» пациентов ВОГ для пациентов с гемофилией и их родителей, а также при обмене опытом с коллегами, определялся круг актуальных и злободневных вопросов.

Цель такого максимально конкретного и практически ориентированного информирования (а скорее обмена мнениями – поскольку вопросы задавали Вы – уважаемые пациенты и коллеги!) – достигнуть максимального взаимопонимания пациента или его близкого человека с доктором, медицинским работником или активистом ВОГ! Как ни в одной медицинской отрасли, при лечении гемофилии, ее проявлений и осложнений важно достигнуть единства действий лечащих врачей, пациентского сообщества (ВОГ) и самих пациентов (а в детстве – их родителей) на протяжении всей жизни. Ведь гемофилия – врожденное заболевание, проявления и осложнения полиартропатии закладываются, развиваются и накапливаются постепенно и ПОСТОЯННО – соответственно, только ПОСТОЯННЫЙ контроль заболевания и разумное обеспеченное профилактическое лечение принесут успех! Какие бы самые современные средства лечения гемофилии и её осложнений не применялись, следует помнить: ЗНАНИЕ рождает ВЗАИМОПОНИМАНИЕ, облегчает ВЗАИМОДЕЙСТВИЕ и совместное достижение УСПЕХА ПРЕДОТВРАЩЕНИЯ И ЛЕЧЕНИЯ ГЕМОФИЛИЧЕСКОЙ ПОЛИАРТРОПАТИИ.

***Гемофилия издревле известна своими разнообразными проявлениями кровоточивости – когда же удалось связать воедино множественные поражения суставов и кровотечения?***

История гемофилии как специфического геморрагического заболевания насчитывает сотни лет, но систематическое описание и научное определение гемофилии как самостоятельного геморрагического заболевания было сделано только в начале XIX века. Описание гемофилии как обособленной клинической единицы опубликовал J.C. Otto в 1803 г, указав, что только мужчины страдают гемофилией, а женщины свободны от этого недуга, но способны передавать его своим сыновьям. Более определенное понятие о наследовании гемофилии сформулировал C.F. Nasse в 1820 г.: «Женщины, отцы которых страдали кровоточивостью, передают это свойство своим сыновьям даже в том случае, когда выходят замуж за здоровых мужчин. У самих этих женщин, как и у всех вообще женщин, это свойство никогда не проявляется». Непосредственно термин «гемофилия» как название конкретного геморрагического заболевания стал общепринятым к 1828 году, как укороченная трансформация из первоначального «геморрафилия» (Schonlein, 1820). Изначально в описании гемофилии выделялись именно раневые кровотечения, часто со смертельным исходом. Выделить из страданий и проявлений гемофилии ПОРАЖЕНИЕ СУСТАВОВ, как специфическое (присущее только данному заболеванию!) поражение опорно-двигательного аппарата пациента с гемофилией сумел великий немецкий хирург и клиницист F. König в 1890 году. Он дал ему красноречивое название - «суставная болезнь гемофилика»! Таким образом подчеркивалось значение поражения суставов как практически второй болезни при гемофилии, оказывающей огромное влияние на жизнь пациента. Не следует забывать, что первые действенные средства лечения – переливание донорской крови и ее компонентов – в то время отсутствовали, и болезнь носила фатальный и инвалидизирующий характер.

Хорошо это видно на всем широко известном историческом примере – цесаревича АЛЕКСЕЯ – диагноз гемофилии которому был поставлен практически при рождении! И это – несмотря на тщательное оберегающее окружение



наследника, уход, лечение самими известными светилами официальной и неофициальной медицины (достаточно сказать – привлекались не только скандально известный Распутин Г.Е., но и целая группа врачей во главе с выдающимся русским хирургом профессором Федоровым С.П.)!!! За всю свою короткую жизнь царевичу Алексею пришлось перенести различные проявления гемофилии, значительное место среди которых занимала ГЕМОФИЛИЧЕСКАЯ ПОЛИАРТРОПАТИЯ – многочисленные гемартрозы (кровоизлияния) в локтевые суставы, коленные суставы (больше левый), контрактуры (нару-

шения подвижности) локтевых суставов и особенно левой ноги. Из-за этого наследнику приходилось носить специальные ортопедические аппараты, а часто, что видно на многих фотографиях, его носил на руках специальный конвойный казак! Поэтому история гемофилии – это история ГЕМОФИЛИЧЕСКОЙ ПОЛИАРТРОПАТИИ!

### ***Почему гемофилия и поражение суставов всегда рядом?***

Этот простой с виду вопрос не имеет простого ответа! Казалось бы, суть гемофилии – в нарушении свертывания крови из-за врожденного дефицита факторов свертывания, что вызывает кровотечения при ранениях и кровоизлияния в разные ткани и органы человека. Но чаще всего (до 80%!) кровоизлияния при тяжелой и средней степени гемофилии происходят в полость суставов – так называемый ГЕМАРТРОЗ! Дело в том, что внутренняя оболочка сустава – синовия – насыщена мелкими сосудами, при микротравме которых и гемофилическом нарушении свертывания, кровь начинает свободно изливаться в полость сустава. А микротравмы сустава – обычное дело в человеческой жизни, ведь суставы, как шарниры, двигаются и несут нагрузку 24 часа в сутки! И чем сложнее сустав и чем большую нагрузку движением или весом тела испытывает сустав, тем чаще в него происходит кровоизлияние. Так и распределяется частота поражения суставов – наиболее часто страдает коленный сустав (45%), затем локтевой сустав (30%), голеностопный сустав (15%), далее все остальные.

Но у многих из вас может возникнуть разумный вопрос – кровоизлияния в ткани, многочисленные синяки и гематомы чаще всего бесследно рассасываются, отцветают и бесследно исчезают, почему же именно гемартрозы начинают повторяться в одном и том же суставе, постепенно разрушая его? Тайна сокрыта в составе красной человеческой крови – красный цвет ей придает гемоглобин клеток – эритроцитов, молекула которого содержит атомы железа. При лизировании - рассасывании крови, попавшей в синовиальную полость сустава, развивается воспалительный процесс (каждый, видевший хотя бы раз гемартроз, наблюдал покраснение и горячую кожу, боль, отек, нарушение движения из-за боли). И закончился бы процесс рассасывания гемартроза, но из полости сустава атомы железа не удаляются в кровоток, а остаются, вызывая воспалительную реакцию внутренней оболочки – синовии! Отекшая, воспаленная, насыщенная сосудами синовия легко снова травмируется, новое кровоизлияние, новый воспалительный процесс и начинается круговерть – что получило название ПОРОЧНОГО КРУГА. Повторение более чем 2 гемартрозов в год принято считать за критерий развития хронического поражения сустава с печальным прогнозом... Количество переходит в качество (увы – отрицательное) – синовиальная оболочка начинает разрастаться как опухолевидная ткань, накапливает жидкость – происходит переход от острого синовита в хронический синовит, многочисленные повторные кровоизлияния и воспаление начинают разрушать хрящевые поверхности, что усиливает внутреннюю травму сустава, затем кровоизлияния в костные структуры сустава и изменение качества костных составляющих сустава (стадия остеоартроза) с изменением оси сустава и неотвратимым вовлечением других суставов из-за перегрузки и изменения околосуставных тканей... Один гемартроз влечет за собой другой гемартроз, один пораженный сустав вовлекает другой... В этом смысл латинского термина – ГЕМОФИЛИЧЕСКАЯ ПОЛИ-АРТРО-ПАТИЯ – множественное поражение суставов вследствие гемофилических кровоизлияний!

### ***Как распознается ГЕМОФИЛИЧЕСКАЯ АРТРОПАТИЯ?***

Конечно, прежде всего необходимо обратить внимание на появление СИМПТОМОВ, из которых на начальной стадии особо важны повторяющиеся в одном суставе (так называемый СУСТАВ-МИШЕНЬ) признаки воспалительного процесса – СИНОВИТА (покраснение и горячая кожа, боль, отек, нарушение движения из-за боли). Это следствие повторных кровоизлияний в сустав.

На фоне современного профилактического лечения и раннего домашнего лечения, а также из-за особенностей устройства различных суставов, кровоизлияние – количество крови – может быть минимальным, но уже достаточным, чтобы запустить процесс разрушения сустава. При этом не наблюдаются все симптомы гемартроза, только отдельные неприятные ощущения и симптомы воспаления в суставе: скованность, периодическое ограничение движения, проходящие при введении препаратов фактора свертывания. Сегодня такие гемартрозы называют БЕССИМПТОМНЫМИ

или МАЛОСИМПТОМНЫМИ, чаще всего они развиваются в локтевых и голеностопных суставах. Продолжающийся процесс хронического синовита приводит к появлению в области сустава постоянных опухолевидных образований - это и есть разрастания синовиальной оболочки сустава!

Тип кровоизлияния <sup>1,2</sup>	Симптомы <sup>1</sup>	Влияние на подвижность <sup>1</sup>
Лёгкое	Ощущение распирания, скованность, дискомфорт, боль или покалывание в суставе (похоже на боль при артрите)	Нормальная подвижность
Умеренное	Боль, отечность	Затрудненная подвижность
Значительное	Сильная боль, выраженная отечность	Ограниченная подвижность (кровоизлияния, обездвиживающие сустав)

<sup>1</sup> По материалам: Hanley J, McKernan A, Creagh MD, et al. Guidelines for the management of acute joint bleeds and chronic synovitis in haemophilia: A United Kingdom Haemophilia Centre Doctors' Organisation (UKHCDO) guideline. Haemophilia. 2017 Jul;23(4):511-520.

<sup>2</sup> По материалам WFH – Hemophilia in Pictures 2018

На поздних стадиях разрушения сустав деформируется, теряет подвижность.

Несомненно, для раннего своевременного лечения крайне важно диагностировать РАННИЕ этапы гемофилической артропатии – накопление железа излившейся крови, избыток жидкости и разрастание синовии сустава. В этом могут помочь магниторезонансная томография (МРТ-диагностика), выявляющая даже начальные накопления железа и жидкости в суставе. При разрастании синовиальной оболочки показательна ультразвуковая диагностика (УЗИ).

К сожалению, наиболее часто в практике используется рентгенография суставов, выявляющая только ПОЗДНИЕ стадии артропатии – стадию остеоартроза, разрушения костей, составляющих сустав. ПОЗДНЯЯ диагностика – ОПОЗДАВШЕЕ лечение...

Методика	Система оценки	Выявление изменений в суставах
<b>Физикальное обследование</b> <sup>1,2</sup>	Шкала результатов физикального обследования WFH (шкала Гилберта); HJHS	Выраженные изменения в суставах (шкала Гилберта); менее выраженные / ограниченные изменения в суставах (HJHS)
<b>Ультразвуковое исследование</b> <sup>3</sup>	HEAD-US; Протокол US-US <sup>4</sup>	Повреждения мягких тканей и периферические изменения хрящевой ткани на ранних стадиях артропатии
<b>МРТ</b> <sup>2,3</sup>	Европейская шкала МРТ <sup>5</sup> ; Денверская шкала МРТ <sup>5</sup> ; Шкала IPGS	Изменения мягких тканей и остеохондропатические изменения на ранних стадиях артропатии
<b>Рентгенография</b> <sup>2,3</sup>	Шкала Петтерссона; система Арнольда - Хилгартнера	Поздние остеохондропатические изменения при тяжелой артропатии (не выявляет изменения на ранних стадиях)

**МРТ и ультразвуковая диагностика позволяют выявлять патологические изменения в суставах на ранних стадиях и давать объективную оценку состояния структур сустава<sup>6</sup>**

HEAD-US — раннее выявление артропатии при гемофилии с помощью ультразвука; HJHS — шкала здоровья суставов при гемофилии; IPGS — международная исследовательская группа по профилактике; МРТ — магниторезонансная томография; US-US — универсальное упрощенное ультразвуковое исследование; WFH — Всемирная федерация гемофилии.

### **Почему сегодня приходится говорить об артропатии – ведь новые лекарства решили проблему гемофилии?**

Эту фразу часто приходится слышать от молодых пациентов, выросших в эпоху профилактического лечения и появления новых и новых поколений препаратов для лечения гемофилии. Развитие заместительной терапии, а в последнее время и появление нефакторной терапии (эмицизумаб), во многом действительно решил жизненную задачу лечения смертельно опасных кровотечений (в центральную нервную систему, желудочно-кишечный тракт, мочеполовые пути). Если в начале 20 века средняя продолжительность жизни пациента в Европе составляла 11 лет, в настоящее время она почти достигла среднепопуляционной среди мужчин.

Уменьшилась и частота появления гемофилической полиартропатии, и степень ее тяжести. Но, к сожалению, следует констатировать – **ПРОБЛЕМА ПОРАЖЕНИЯ СУСТАВОВ** при гемофилии сохраняет свою злободневность во всех странах мира! Вновь и вновь выявляются новые пациенты молодого возраста...

Причинами такого состояния «неоправданных надежд» являются:

1. Недооценка ГЕМОФИЛИИ как дополнительного биологического фактора риска разрушения суставов - артропатии. Даже у людей с абсолютно нормальной свертываемостью крови после 50 лет резко нарастают проблемы с суставами, и одной из самых частых операций является тотальное эндопротезирование суставов! Гемартрозы просто ускоряют старение суставов... Даже легкая форма гемофилии, как показали исследования с помощью МРТ пациентов со средним возрастом 43 года, приводит к поражению суставов. Наиболее частые находки в голеностопных суставах: гемосидерин – отложения железа (48%), выпот (42%), дегенерация хряща (39%), гипертрофия синовиоцитов (33%).

2. Эффективность профилактики не достигает 100%, поскольку профилактика проводится пациентам с тяжелой формой гемофилии с целью перевести ее в более легкие формы. Но, как уже было показано, это не гарантирует здоровье суставов. Даже в группах детей с контролируемой профилактической терапией от рождения до школьного возраста при МРТ были выявлены признаки поражения суставов в 7% случаев.

3. Широкое распространение на фоне профилактического лечения БЕССИМПТОМНЫХ или МАЛОСИМПТОМНЫХ гемартрозов, получивших название «субклинические формы поражения суставов». Клиники мало, а вреда много, поскольку часто такие поражения не получают должного внимания и соответственно – должного лечения.

4. И чаще всего субклинические формы полиартропатии развиваются в ЛОКТЕВЫХ и ГОЛЕНОСТОПНЫХ суставах. Сегодня поражение этих суставов у пациентов молодого возраста, ведущих активный образ жизни, выходит на первое место по частоте именно ввиду скрытого течения и значительной нагрузки суставов спортом или ...компьютерным спортом)! Поражению голеностопных суставов способствует и избыточная масса тела – «дитя» фастфуда и гиподинамии...

5. Ингибиторные формы гемофилии всегда являются отягчающим фактором возникновения полиартропатии ;

6. Самая печальная составляющая проблемы современной гемофилической полиартропатии – **Приверженность пациентов соблюдению режимов профилактического лечения!** К глубокому сожалению, в России, по данным опроса ВОГ (2017 г.), среди пациентов с гемофилией А полностью выполняют назначенный режим профилактики 9,1%!!!

**На что надо обратить внимание, чтобы *ВОВРЕМЯ* распознать гемофилическую артропатию? И что делать?**

Заподозрить раннее развитие хронического поражения сустава вследствие гемофилических гемартрозов можно, сопоставляя появление повторяющихся одного или нескольких признаков ГЕМАРТРОЗА и СИНОВИТА (покраснение и горячую кожу, боль, отек, нарушение движения из-за боли или скованности) в одном и том же суставе, называемом СУСТАВ-МИШЕНЬ! Таких суставов может быть несколько! Но, даже если только один и повторяющиеся симптомы непостоянны, необходимо обратиться к Вашему гематологу! Он сможет определить как возможные системные проблемы (наличие ингибитора, необходимость корректировки режима и дозы профилактического лечения), так и дополнительные способы диагностики (МРТ, УЗИ, рентгенография, КТ).

**Что прежде всего необходимо для предотвращения или уменьшения поражения суставов?**

Несомненно, основное достижение в современном лечении гемофилии – ПРОФИЛАКТИКА! Да, профилактическое лечение не гарантирует отсутствие поражения суставов, но:

– значительно и радикально снижает частоту возникновения и степень тяжести артропатии;

– затормаживает ее развитие;

– обеспечивает восстановление суставов и предупреждает рецидивы после хирургического лечения.

Именно поэтому без дисциплинированного и сознательного соблюдения ГЛАВНЫХ ПРАВИЛ ПРОФИЛАКТИКИ достигнуть успеха в предотвращении и лечении гемофилической полиартропатии НЕВОЗМОЖНО! Какие бы новейшие или проверенные многолетней практикой препараты Вы не получали, ОБЯЗАТЕЛЬНО без отклонений соблюдать 4 ПРАВИЛА ПРОФИЛАКТИКИ:

**Первое:**

Введение фактора надо делать регулярно, **как предписано гематологом! Нельзя пропускать ИНЪЕКЦИИ.** Если пропустить даже одно введение – может развиваться гемартроз или другое кровотечение!

**Второе:**

Нужно **строго соблюдать** назначенную врачом однократную дозу, способ и режим введения препарата! Не надо ориентироваться на интернет – мнения, советы родителей или коллег - пациентов, поскольку различные препараты различно применяются для индивидуализированного профилактического лечения. Ваше объективное мнение о профилактике лучше всего покажет часто пренебрегаемый ДНЕВНИК ПАЦИЕНТА! (Да-да, как в школе – ибо жизнь как школа, либо научит нас, либо мы повторим ошибки и не выучим уроки!) Поэтому:

**Третье:**

Нужно **вести дневник**, где указываются дозы, время и даты введения препарата на профилактике; дата развития ГЕМАРТРОЗА, другого кровотечения, причина – если есть, его локализация и лечение (введение препаратов), ответ на

## Медицинская страничка

введение лекарства (это важно!). Получив эту бесценную честную информацию, самое время (а оно должно наступать 2 раза в год минимум) - **ОБЯЗАТЕЛЬНО** надо побывать на приеме гематолога и выполнить:

### Четвертое правило:

При возникновении частых или повторяющихся кровотечений/ГЕМАРТРОЗОВ (синовитов) на профилактике необходимо **активно обратиться к врачу** и выяснить причину!!! Спонтанные они или спровоцированные – это имеет второстепенное значение, лучше обсудить детали с доктором!

### *Для родителей – на что надо обратить внимание для предотвращения развития артропатии?*

Нижеизложенные советы не претендуют на всесторонний охват, это лишь попытка выделить отдельные важные моменты в семье ребенка с гемофилией, в зависимости от этапа его взросления:

#### МЛАДЕНЧЕСТВО (0-1 год)

Малыш будет учиться вставать и ходить – это связано с частыми падениями. У ребенка с гемофилией эти этапы связаны с появлением большого количества синяков. Не стоит сильно тревожиться из-за синяков, до тех пор, пока они не причиняют малышу боль и не ограничивают его движения – это может быть признаком кровоизлияния в мышцу или сустав.

#### РАННИЙ ДЕТСКИЙ ВОЗРАСТ (1-3 года)

Постарайтесь снабдить ребенка защитным снаряжением (например, шлемом, налокотниками, наколенниками, ОБУВЬ!!!). Используйте защитные уголки для столов, ковры на пол. Подумайте о помещении «ворот» вверх и вниз лестницы. Научите своего ребенка безопасно играть и хорошо взаимодействовать с другими детьми!

#### ДОШКОЛЬНЫЙ ВОЗРАСТ (4-7 лет)

Наблюдайте за ребенком во время игр, чтобы предотвратить серьезные повреждения. Постепенно и безопасно развивайте у ребенка новые моторные навыки (например, броски, ловля, подскоки). Убедитесь, что у ребенка есть защитное снаряжение. ПЛАВАНИЕ и БАССЕЙН – ЛУЧШИЕ ДРУЗЬЯ наших пациентов!!! И очень важно в этом возрасте – дошкольник должен научиться определять, когда у него кровотечение, и говорить об этом!!! Ложная стыдливость, свойственная детям, может приводить к позднему введению фактора при гемартрозе (нарушение «правила золотого часа!») ... А чем больше крови попадает в сустав, тем сильнее и скорее наступают печальные хронические последствия!

#### ШКОЛЬНЫЙ ВОЗРАСТ

Это тяжелое время индивидуализации программы физического развития с одной стороны, и втягивания в увлечения школьного сообщества – с другой.

Необходимо оценивать риск кровотечения при разных видах активности: перед началом нового вида спорта – обсудите возможность участия с лечащим врачом! Обдумайте, стоит ли продолжать занятия, при которых развиваются повторные кровотечения и гемартрозы!

Несомненно, у детей с регулярной разумной физической активностью наблюдается меньше кровотечений!!! И вновь повторим: ПЛАВАНИЕ и БАССЕЙН – ЛУЧШИЕ ДРУЗЬЯ наших пациентов!!!

#### ВНЕВРЕМЕННОЕ: ПОДРОСТКОВЫЙ ВОЗРАСТ – НАША (РОДИТЕЛЕЙ И ВРАЧЕЙ) ГОЛОВНАЯ БОЛЬ!!!

К глубокому сожалению, во многом проблемы здоровья суставов новых поколений взрослых пациентов сегодня формируются в подростковом возрасте. Этому способствуют следующие особенности современного подростка:

— Юношеский нигилизм и низкая самодисциплина – рекомендации врачей и уж тем более родителей часто не выполняются, что сводит эффект профилактического и раннего домашнего лечения на нет!

— Компьютеризация жизни молодого поколения превышает зачастую все разумные пределы, как следствие - перегрузка локтевых суставов и гиподинамия!

— Дополнительным фактором риска является увлечение так называемым фастфудом и газированными сладкими напитками. Результат этого - лишней вес и несбалансированное питание, ускоряющее развитие остеопороза (ослабления костной ткани)! Для суставов подростков, страдающих гемофилией, это повышает риск развития малых гемартрозов и ускорения развития артропатии.

— Ну и как избежать стремящимся к общению молодым людям модных групповых увлечений (включающих зачастую чрезвычайно травмоопасные занятия), таких как паркур, маунтбайк, бокс и силовые единоборства, бодибилдинг и т.д. и т.п.!

Поэтому крайне важно создание при региональных пациентских организациях специализированных групп для подростков и молодежи, воспитывающих понимание особенностей поведения и физической активности, сочетания образа жизни и профилактического лечения, сохраняющих здоровье суставов!!!!

**На что необходимо обратить внимание ВЗРОСЛОМУ ПАЦИЕНТУ: профилактика и лечение или... ОБРАЗ ЖИЗНИ?**

Взрослые самостоятельные пациенты сами определяют свой жизненный путь – и разумно в нем осознавать риски хронического поражения суставов, стараясь предотвратить или минимизировать возникающие проблемы. Немаловажны детали, позволяющие сформировать оптимальные жизненные привычки и навыки – ведь гемофилия – это не только заболевание, во многом это – ОБРАЗ ЖИЗНИ!

Как показывает опыт практической работы, для сохранения здоровья суставов взрослых пациентов имеют значение следующие моменты:

— соблюдение правил ПРОФИЛАКТИКИ (на этом мы уже подробно останавливались, но «повторение – мать учения!»);

— быстрое и эффективное домашнее лечение возникающих гемартрозов (ведь активно работающий человек более травмоопасен своим суставам!) - для этого должно выполняться правило «золотого часа» – вводить быстро и много (не уменьшая полную лечебную дозу, оговоренную врачом)

— режим движения и спорта должен быть активным, но безопасным в плане подъема тяжестей и ударных нагрузок, включая интенсивное движение по лестницам (!). Помним об этом при выборе профессий и спорта! И вновь повторим: ПЛАВАНИЕ и БАССЕЙН – ЛУЧШИЕ ДРУЗЬЯ наших пациентов всех возрастов!!!

— контроль массы тела и, соответственно, контроль пищевых (в том числе питейных) пристрастий ОБЯЗАТЕЛЕН! Каждые лишние 10 кг веса примерно на 7% повышают риск артропатии, особенно это касается состояния голеностопных суставов – нижнего опорного шарнира человеческого тела.

— огромное значение имеют защитные и корректирующие приспособления, предотвращающие перегрузку, микро-травму сустава и, соответственно, кровоизлияния в сустав: разнообразные ортезы, эластическое бинтование, ортопедическая или спортивная с высокой шнуровкой обувь, индивидуальные стельки или полустельки.

— часто необоснованные надежды на обновление суставов возлагаются на лекарственные препараты. Наиболее часто это — широко рекламируемые пищевые добавки или лекарства, содержащие глюкозамин, хондроитин сульфат. Эти снадобья, как и витаминные препараты, помогают «подкормить» слабеющие ткани суставов, но не выращивают новые суставы! Противовоспалительные и обезболивающие лекарства во многом скрашивают и облегчают жизнь пациента с хроническими суставными болями, НО! при постоянном и широком бесконтрольном применении дают отрицательный эффект на свертывание крови, блокируя тромбоциты – важнейшее звено образования сгустка! Замена введения фактора свертывания при малом гемартрозе таблеткой обезболивающего лекарства недопустимо! Обсудите вопросы обезболивания с Вашим лечащим врачом!

**Хирургическое лечение гемофилической полиартропатии: когда надо решиться?**

Принять решение обратиться за хирургической помощью для лечения гемофилической полиартропатии пациенту желательно совместно с лечащим врачом – гематологом. Даже при наличии признаков хронического синовита необходимо сначала принять все возможные лечебные меры терапевтического характера: определить наличие ингибитора, проверить эффективность, дозу и кратность введения препарата дефицитного фактора. Проводится соответствующая коррекция лечения.

В случае выявления выраженных анатомических нарушений (изменений формы и подвижности сустава) или отсутствия эффекта от скорректированных назначений профилактической терапии, ПОКАЗАНО дообследование И ХИРУРГИЧЕСКОЕ ЛЕЧЕНИЕ!!!!

**Хирургическое лечение гемофилической полиартропатии: непереносимые условия?**

Обязательным условием и ключом к хирургической помощи у пациента с гемофилией (не только операций на суставах, но ЛЮБОГО ВИДА хирургических вмешательств) является СПЕЦИФИЧЕСКАЯ ЗАМЕСТИТЕЛЬНАЯ ТЕРАПИЯ ПРЕПАРАТАМИ ФАКТОРОВ СВЕРТЫВАНИЯ!!!

Расчет доз и схемы введения конкретных препаратов для конкретного пациента проводится гематологом или врачом-хирургом специализированных центров по лечению гемофилии. Очень важен лабораторный контроль с определением активности и ингибиторов факторов свертывания крови! Для плановой хирургии (а операции на суставах в абсолютном большинстве планируются заранее) обязателен предоперационный контроль лабораторных показателей свертывания. Рекомендуется проведение пробного введения полной расчетной дозы препарата фактора свертывания, с контролем восстановления гемостаза у пациента через 30–60 минут (так называемый тест восстановления).

И крайне важно – тщательное соблюдение рекомендованного режима введения факторов свертывания в ПОСЛЕОПЕРАЦИОННОМ периоде реабилитации (при больших операциях он длится до двух месяцев)!

**Хирургическое лечение гемофилической полиартропатии: какие виды хирургических вмешательств применяются наиболее часто при гемофилической полиартропатии?**

При оперативном лечении сегодня наиболее часто выполняются:

1. Малоинвазивные вмешательства (пункции суставов с удалением жидкости и введением лекарств в полость сустава; артроскопические операции для ревизии-осмотра сустава, удаления фрагментов измененных и омертвевших тканей)
2. Тотальное эндопротезирование сустава (полная замена сустава искусственным суставом).

### **Бывают еще какие-то операции при полиартропатии?**

Гораздо реже, по особым показаниям, сегодня проводятся следующие варианты оперативного лечения:

- **артродез** – полное уничтожение сустава для достижения сращения костных составляющих, что позволяет восстановить опороспособность ноги, чаще всего применяется при разрушении голеностопного сустава;
- **корригирующие остеотомии** – пересечение костей конечностей с их фиксацией и сращиванием в более выгодном положении для функционирования;
- **открытые синовэктомии** – удаление разросшейся синовиальной оболочки через большой разрез сустава, самостоятельно используется редко, чаще это – элемент операции эндопротезирования;
- **закрытые редрессации** – под общим обезболиванием опытный хирург пытается преодолеть сопротивление рубцовых тканей и увеличить подвижность сустава. После этого накладываются фиксирующие повязки и требуется настойчивая, терпеливая разработка сустава пациентом;
- **все остальные хирургические операции (пластики)** на периартикулярных (окружающих сустав) тканях, устраняющие препятствия для движения. Длительное ограничение в движении, кровоизлияния и воспаление приводят к рубцовому перерождению тканей.

### **Можно ли затормозить развитие гемофилической артропатии хирургическим малоинвазивным лечением?**

Сегодня можно с достаточной уверенностью сказать, что это возможно при правильном построении этапов лечения – пункций суставов, удаления жидкостей (крови и воспалительной синовиальной жидкости) и введения лекарственных средств в полость сустава в СООТВЕТСТВИИ с этапом и степенью развития изменений в суставе (о них мы говорили ранее!).

В соответствии со степенью изменений в суставе все лекарственные средства для внутрисуставного введения можно условно разделить на следующие группы:

Изменения в суставе	Лечебное средство для введения в сустав и возможные осложнения
Гемартроз, острый синовит	Противовоспалительные гормональные средства-глюкокортикоиды (гидрокортизон, дипроспан и т.д.)- облегчают все симптомы воспаления. <b>НО</b> - при длительном и частом применении могут ускорить разрушение хрящевых структур, остается гормональное воздействие на организм.
Хронический синовит	Средства для склерозирования синовиальной оболочки (рифампицин, радионуклиды - м. б. заменены прицельной рентгенотерапией)- требуют точного применения в зону разрастания синови!
Остеоартроз	Протезы синовиальной жидкости-препараты гиалуроновой кислоты (синвиск, остенил и др.) - обладают противовоспалительным, стимулирующим и трофическим (питательным) действием на ткани сустава.

Сочетание и показания для применения средств для внутрисуставного введения определяет **лечащий врач**, поскольку одновременно у нашего пациента бывает поражение нескольких суставов (на то она и ПОЛИ-артропатия!) в разных стадиях развития! Поэтому УНИВЕРСАЛЬНОГО лекарства для введения в сустав не существует!

### **Для чего необходимо ультразвуковое исследование при лечении гемофилической полиартропатии?**

Современное ультразвуковое исследование позволяет значительно повысить эффективность первичной диагностики ранних форм поражения суставов (об этом мы говорили ранее). Но оно же позволяет повысить и качество малоинвазивного пункционного вмешательства:

- перед пункцией выявить особенности изменения анатомии сустава (особенно локализации разрастаний синовиальной оболочки);
- при необходимости провести контроль доступа – проникновения иглой в сустав, а затем и распределения вводимого препарата в полости сустава, что особо важно для применения рифампицина.

### **Когда необходимо задуматься о возможности эндопротезирования суставов при гемофилической полиартропатии?**

Эндопротезирование суставов, получившее широчайшее распространение в наше время и среди пациентов без нарушения свертывания крови, дало и дает шанс ощутить свободу движения миллионам людей в самом прямом смысле! В конечных стадиях разрушения сустава это, действительно, единственный шанс восстановить нормальную функцию сустава.

Показания к эндопротезированию сустава ставятся, когда:

- развивается **необратимая деформация сустава, затруднение движения и боль, затрудняющая функционирование сустава;**
- **отсутствует эффект от консервативного и малоинвазивного лечения.**



**Решает ли тотальное эндопротезирование все проблемы гемофилической полиартропатии – заменил сустав и нет проблем?**

Казалось бы, проблема гемофилической артропатии близка к решению! Но, есть некоторые ОСОБЕННОСТИ ЭНДОПРОТЕЗИРОВАНИЯ СУСТАВОВ ПРИ гемофилии, ограничивающие его применение:

— детально в ортопедической практике разработано эндопротезирование коленного и тазобедренного суставов. К сожалению, при гемофилической полиартропатии часто поражаются локтевые и голеностопные суставы - а их эндопротезирование пока не достигло таких успехов!

— проведение эндопротезирования коленного и тазобедренного сустава у пациентов с гемофилией значительно осложняется существенными изменениями мягких тканей вокруг сустава вследствие хронического воспалительного процесса; сама структура костных составляющих значительно страдает от кровоизлияний, развиваются кисты и остеопороз.

Поэтому операция тотального эндопротезирования у пациентов с гемофилией остается операцией риска большего, чем у пациентов без гемофилии. А проведение операций РЕЭНДОПРОТЕЗИРОВАНИЯ (повторного эндопротезирования с удалением первичного протеза сустава), как и любая повторная операция, несет все большие риски и затраты ...

Частота осложнений ТЭП суставов у пациентов с неингибиторной и ингибиторной формами гемофилии:

Осложнение	Пациенты с неингибиторной формой гемофилии	Пациенты с ингибиторной формой гемофилии
Нестабильность	5,5% (n=32)	0%
Тугоподвижность	1% (n=6)	3% (n=1)
Перипротезит	3% (n=18)	11% (n=3)
Перипротезный перелом	1,3% (n=8)	3% (n=1)

Источник: Зоренко В.Ю., Полянская Т.Ю., Карпов Е.Е., Садыкова Н.В., Васильев Д.В., Мишин Г.В., Сампиев М.С., Голобоков А.В., Петровский Д.Ю. Опыт эндопротезирования в лечении гемофилической артропатии. Гематология и трансфузиология. 2017; 62(2): 70-74. DOI: <http://dx.doi.org/10.18821/0234-5730/2017-62-2-70-74>

**Какие виды хирургического лечения гемофилической полиартропатии в рамках высокотехнологической медицинской помощи можно получить в специализированных стационарах?**

По направлению региональных органов здравоохранения на основании заключения главного гематолога, пациенты в возрасте **18+** (ранее этого возраста активное хирургическое лечение суставов нежелательно) могут направляться в специализированные центры по двум видам ВМП:

- **тотальное эндопротезирование суставов для пациентов с дефицитом факторов свертывания крови.**
- **комплексное лечение, включающее различные технологии лечения, в том числе малоинвазивные методики (кроме эндопротезирования).**



# Космическое путешествие

*13 августа дюжина отважных туляков отправилась в однодневное «межзвездное» путешествие на двух «шаттлах» в Калугу – колыбель космонавтики! Пилоты первого класса сделали его комфортным и безопасным. Сразу необходимо отметить, что Калуга – это место скопления большого множества созвездий – людей, связавших в какой-то мере свою жизнь с этим местом, повлиявших на историю в различные времена.*



По прибытию нас встречали наши Друзья – коллеги из Калужской региональной организации ВОГ, а с ними экскурсовод Екатерина Комарова. Тульская РО ВОГ и, в частности, отважные путешественники выражают искреннюю благодарность Екатерине за интересное повествование и увлекательное путешествие по Калуге. Самых маленьких, но не менее отважных, Екатерина одарила призами и подарками за внимательность на экскурсии и участие в викторинах. Путешествуя

по маршруту Екатерины, мы затронули Историю проектирования города и утверждения регулярного плана, Историю участия в войнах и восстаниях, Исторические факты культурной и литературной Калуги, исторически фундаментальные вехи торгово-промышленного развития, Историю науки и космонавтики. По мере движения все больше становилось понятным, что Калугу хочется посетить еще и еще. Глубже проникнуться Историей, погулять по городу и паркам, пройтись по «гантельке».

Завершая свою часть экскурсии, Екатерина передала нас в руки музея Истории Космонавтики им. К.Э. Циолковского. Когда-то давно, на заре становления программы межрегионального культурного обмена, туляки уже посещали музей Истории Космонавтики в его прежнем облике. Сейчас, уже новому молодому поколению, посчастливилось побывать в обновленном, современном музее. Экскурс по нему для нас провела Надежда Павлишак, заведующая сектором творческих проектов. Вторая очередь музея Космонавтики пополнилась очень большим количеством экспонатов, обновленным планетарием, выставочным комплексом под открытым небом. За один день все и не обойти, всем не насладиться. Надежда рассказала про новые экспонаты, провела нас внутрь космической станции и тренировочной кабины. Здесь, в музее, нам рассказали о созвездии таких людей, как Циолковский, Королев, Гагарин, Беляев, Леонов, Терешкова и других. Вклад этих людей, ученых и космонавтов, неоценим.

После Музея Космонавтики наша группа направилась к Дому-музею К.Э. Циолковского. Это простой, небольшой дом, где жил и работал великий ученый. Сотрудники музея рассказали о том, как это было, о предметах и инструментах, об Истории. Во дворе дома установлен памятник Константину Эдуардовичу. В завершении нашей совместной одиссеи, участникам была предоставлена возможность насытиться гостинцами и запастись сувенирами из Калуги, а наши друзья из Калужской РО ВОГ одарили нас памятными презентами.

Общий эмоциональный фон был крайне позитивным. Отважным путешественникам понравились все части этой незабываемой космической одиссеи. Большое количество воспоминаний останется в памяти очень надолго. Напомню,



что в самом начале программы межрегионального культурного обмена маленькие дети калужской и тульской земли уже ездили в гости друг к другу. Ныне повзрослевшие мужчины и женщины, имеющие собственные семьи и детей, с теплом вспоминают те поездки и желают программе развития и новых свершений.

Руководителями Тульской и Калужской региональных организаций ВОГ подведены итоги. Итоги промежуточные, поскольку достигнуты соглашения о необходимости развития программы, продолжения на 2022–2023 годы. Безусловно, в реализации межрегиональной программы культурного обмена необходимо отметить благодарностью спонсоров и меценатов, деятелей культуры и социальной сферы, представителей фармкомпаний и здравоохранения, администрации муниципальных образований и многих других. От лица Тульской РО ВОГ выражаю искреннюю благодарность за организацию этого приключения, за комплексный подход и готовность поделиться многолетним опытом Калужскую РО ВОГ и ее руководителей – президента Валентину Шебарову и вице-президента Ларису Самохину.

Опираясь на Историю, Мы пишем Историю.

*Президент Тульской РО ВОГ  
Андрей Степин*



## «На шаг мы стали ближе и роднее»



В рамках межрегиональной программы по культурно-историческому обмену для детей, подростков и взрослых больных гемофилией Калужской и Тульской областей состоялось два замечательных мероприятия.

17 июля члены Калужского общества больных гемофилией совершили поездку в город-герой Тулу, которую помогала нам организовать менеджер компании «РОШ» Е.В. Ашарина. В 2000 году последний российский император Николай II и его семья были канонизированы Русской Православной Церковью в лике святых страстотерпцев, а 17 июля стал днем памяти Страстотерпцев Императора Николая II, Императрицы Александры, царевича Алексея и четырех его сестер – великих княжон – Ольги, Татьяны, Марии и Анастасии. По случаю этого дня памяти Святых Страстотерпцев в Храме Рождества Христова был Крестный ход, на который успели попасть путешественники. Ещё по дороге, направляясь в Тулу, у ребят было время ознакомиться с материалами и фотографиями каждого члена семьи Романовых, увидеть в них реальных людей, просто любящую семью, попавшую в водоворот исторических событий.

Далее день пошёл по намеченному плану. Первый музей, который очень хотелось посетить нашим ребятам – это Государственный Тульский музей оружия, тем более что ему в следующем году исполнится 155 лет! Наш гид провёл замечательную экскурсию, увлекая детей новой для них информацией, особенно завораживали их рассказы о разных видах оружия. Ну, мальчишки есть мальчишки! Мы увидели уникальные экспонаты: ружья Екатерины II, императрицы Марии Фёдоровны, Александра II и его жены, первый пулемёт в России, трёхлинейную винтовку Мосина, трёхствольный автомат Коробова и многое, многое другое. А боевые машины вызвали у мальчишек неподдельный восторг. Такой насыщенный поток информации необходимо было «переварить» не только в переносном смысле, так как незаметно подошло время обеда. В кафе ребята наперебой делились своими впечатлениями. А впереди было еще много интересного.

Следующим по нашему списку был «Музей Тульских Самоваров», который является визитной карточкой города. Экспозиция тульских самоваров сверкала и переливалась в лучах солнечного света и подсветок витрин. Равнодушных не было: и дети, и взрослые с удовольствием слушали экскурсовода, рассматривая блистающие самовары и самоварчики. В музее представлен весь путь развития самоварного производства от конца XVIII века до наших времён. Впечатляли экспонаты, необычные по форме и материалу, разной величины – от огромного на 70 литров до крошечного, всего на три капельки. Познакомившись с самоварными династиями, мы встретились с друзьями, туляками, с которыми нас связывает давняя дружба.



Члены Тульского регионального общества больных гемофилией, которое возглавляет Андрей Стёпин, преподнесли нам запоминающийся подарок – экскурсию «Пять веков» по Тульскому кремлю и музею. Экскурсовод так заинтересовал наших мальчишек-сорванцов, что они слушали, не шелохнувшись. Такие встречи много дают нам, в тесном личном общении происходит обмен опытом жизни с гемофилией. Здесь, на свежем воздухе в Кремле, мы обсудили дальнейшие планы взаимодействия двух общественных организаций по реализации Межрегиональной программы по культурно-историческому обмену для детей, подростков и взрослых больных гемофилией Калужской и Тульской областей, которая рассчитана на 2022–2023 г.

Прощаясь, наши тульские друзья подарили калужанам сладкие подарки – пряники «Тульский рубль», дети и взрослые были в восторге.

И уже через месяц, 13 августа, туляки нанесли ответный визит к нам в Калугу. В сжатые сроки правлению ОБГ Калужской области удалось организовать экскурсионную программу. Мы хотим поблагодарить всех, кто не остался равнодушным и помог нам провести это мероприятие на достойном уровне, особенно депутата Городского собрания и исполнительного директора ООО «Центр реабилитации» г. Обнинска Гурова З.Р., который постоянно поддерживает все наши мероприятия.

С. В. Жаравина, директор туристического агентства «Мир вокруг нас», порекомендовала нам замечательного экскурсовода – Екатерину Комарову, которая провела потрясающую обзорную экскурсию по Калуге, сумев всех захватить интересными фактами и историями о нашем городе. Ребята разгадывали её каверзные загадки и получали в награду от Екатерины памятные призы. Хоть программа была довольно насыщена, прогулка по городу Калуге прошла на одном дыхании. Наши тульские гости увидели Гостиные ряды, Присутственные места, дом дворянского Соборания, дом губернатора, Каменный мост, купеческие палаты Макарова и Коробовых, усадьбу Золотарёва, Троицкий собор, Георгиевский собор, дом Шамиля, парк Циолковского. Следуя предложенному маршруту, мы пришли в музей истории космонавтики им. К.Э. Циолковского, руководство которого оказало благотворительную помощь в проведении экскурсий по обновлённому музею и дому-музею К.Э. Циолковского, а также помогло организовать комплексный обед для всей нашей группы. Мы очень благодарны за оказанную помощь и поддержку директору Абакумовой Н.А. и заместителю директора Кузиной Е.В. Огромное спасибо заведующей сектором музея Павлишак Надежде, которая провела космически интересную экскурсию. А в доме-музее К.Э. Циолковского нас встретила его правнучка, Елена Тимошенко! Мы увидели, в каком доме жил знаменитый ученый и какие вещи его окружали.



На память о маленьком путешествии по Калуге мы подарили нашим гостям из Тулы сладкие подарки, которые любезно предоставил генеральный директор ООО «Яблочко» Желнаков В. В., и значки с изображениями исторически значимых мест нашего города. В завершении наши тульские друзья побывали во вкусной сувенирной лавке «Калужское тесто», где приобрели уникальную одноименную продукцию, ведь Калуга тоже славится своими сладостями.

Хочется сказать сердечное спасибо всем, кто помог сделать эти дни интересными и незабываемыми, за ваше доброе и внимательное отношение к нам!

*Вице-президент Калужской региональной организации ВОГ  
Лариса Самохина*



## Семейный альбом

**От редакции:** Должны признать, что этот материал сначала вызвал некоторое недоумение: после его прочтения первым делом хотелось подсчитать, сколько лет его автору и сколько раз после его совершеннолетия выходили статьи о наследовании гемофилии и путях решения этой проблемы для родителей, не желающих плыть по течению и не боящихся приложить усилия к тому, чтобы их дети были здоровы. Получалось, что кроме последнего номера, ни один из журналов в руки автору письма, которое напечатано ниже, не попал... Почему? Родители прячут их от взрослых детей? Не в каждую семью попадает журнал?

Это письмо собрало в себе много классических ошибок и заблуждений, с которыми, видимо, не очень успешно получается бороться, хотя из журнала в журнал мы возвращаемся к схеме наследования гена гемофилии, разъясняя возможные варианты для мужчин и женщин, постоянно печатаем в журнале статьи не просто врачей, а самых грамотных докторов, имеющих огромный собственный опыт работы именно с гемофилией, размещаем в журнале статьи не просто генетиков, а лучших специалистов, имеющих успешный опыт работы именно в нашем направлении. Да, согласны – эти материалы не просто читать, часто они требуют дополнительных знаний и объяснений, за которыми приходится лезть в интернет или в книгу, но без попыток разобраться в вопросе, без усилий и шевеления мозгами никогда не сделаешь тот вывод и тот выбор, о котором потом не будешь жалеть.

Очень многие родители и пациенты с гемофилией занимаются ненужным копанием в себе и поиском виноватых: почему я, почему именно мне, почему именно мой или именно моя. Ответ – «нипочему». Так случилось, и причинно-следственная связь здесь только одна – генетическая. Вот и решать эту проблему надо не поиском ведьм, сглазливших бабок, потусторонних темных сил и тайн реинкарнации, а на генетическом уровне.

Очень многие **взрослые гемофилики** заблуждаются в оценке вероятности рождения здоровых детей у своих дочерей, указывая им с детства неверные ориентиры. А некоторые даже не понимают, что их дочери однозначно рождаются носительницами.

Очень многие молодые люди, вступая в партнерские отношения, неважно насколько глубоко эти отношения заходят, не решаются признаться в своей генетической проблеме. И если для мужчин с тяжелой формой гемофилии скрывать заболевание практически невозможно, то скрыть девушкам носительство, а мужчинам среднюю и легкую форму, если о ней известно, не составляет труда. И именно боязнь потерять свою найденную половинку является причиной большинства умалчиваний подробностей о своем здоровье. Только вот надо ли?

Итак, в редакцию пришло письмо, адресованное всем девушкам-носительницам гена гемофилии:

*Здравствуй, моя дорогая девочка! Я знаю, какой непростой путь тебе предстоит, понимаю твои мысли, чувства, страхи и переживания. Понимаю, так как сама являюсь носителем гена гемофилии и всю сознательную жизнь я не навидела эту болезнь. Я не могла о ней говорить, не то что писать, а полтора года назад произошло событие, благодаря которому поменялось моё состояние и отношение к гемофилии. Возможно, мой опыт будет для тебя полезным и поможет стать счастливее.*

*Я помню этот день. Мне тридцать два года, я одеваю ребёнка, и меня вновь простреливает чувство вины. Я смотрю в её голубые глаза и вижу в них боль, боль, которую я причиню ей в будущем, если она родилась носителем, так же, как и я. Сдерживая себя, я отвожу ребёнка в садик, сажусь в машину и начинаю рыдать. Эти приступы у меня не впервые, вот только раньше они происходили редко, а сейчас практически каждую неделю и самое страшное, что меня пугало, я больше не справлялась с этим состоянием. Нужен был человек, с которым я могла бы поговорить на тему гемофилии, что, возможно, помогло бы мне избавиться от чувства вины.*

*В моей семье разговаривать о болезни отца было неприято. С раннего детства я не понимала, что со мной не так, и почему родители твердят, что нельзя никому ничего рассказывать об этом. В детстве всё видится по-другому, а когда я повзрослела, у меня не было желания вникать в подробности болезни, так как сложилось убеждение, что гемофилия – наказание, это боль, а я родилась девочкой, которая передаст эту боль дальше. Отец редко говорил со мной на эту тему, изредка произносил пару фраз, что замужем важно родить дочь, мальчика нельзя.*

*С этими чувствами и убеждениями я жила, училась, дружила, работала. Муж, подруги, знакомые, никто ничего не знал, я молчала. К слову, о моём муже: он увлекался бизнесом, его устраивало наличие одного ребёнка, больше детей он не хотел. Мне это подходило. До момента, когда однажды он не произнёс, что хочет ещё одного ребёнка...*

*В эту минуту я поняла, что придётся рассказать мужу о риске рождения больного ребёнка, особенно мальчика. Ведь вероятность рождения здорового мальчика 25%, здоровой девочки 25%, такой же процент вероятности рождения девочки носителя и больного мальчика. Раньше я этого не знала, даже когда родилась моя дочь, я не подозревала, что она может быть здорова. Несмотря на высокий процент рождения здоровых детей, морально я была не готова пройти путь беременности одна, наедине со своими страхами. Единственным решением, которое я видела, было обратиться к психологу.*

*С А.Б. мы знакомы давно. Психологом она стала несколько лет назад, но, когда мы работали впервые и прорабатывали одну проблему, А.Б. только начинала практику. Дрожащими руками я отправила ей сообщение, она назначила время. Сеанс был долгим. Мне было сложно произнести хоть что-то о гемофилии, слова застревали в гортани, а если и выходили, то с тяжёлым грузом чувства вины. А.Б. объясняла, что в наличии гена гемофилии у меня никто не виноват, но для меня это было неважно. Пустые слова. Мне нужен был ответ либо кто в этом виноват, либо за что мне это. За какую ошибку меня наказали, что я родилась носителем? Где я только раньше не искала ответ, куда не обращалась: к астрологам, гадалкам, гороскопам... Я везде искала ответ и вот однажды мне прислали психоматрицу – описание возможных прошлых жизней человека, какой профессией обладал, кем был, какие поступки совершал. В этой психоматрице я нашла фразу, что в одной из жизней я плохо обращалась с детьми, за что, возможно, меня казнили. Это единственное предположение стало тем ответом, который меня устроил, так как я не верила, что в жизни может происходить что-то просто так. В конце сессии с А.Б. мы пришли к выводу, что дальше есть два пути: рассказать всё мужу, возможно, после*

этого он захочет развод, либо скрывать дальше, с риском разрушить себя как личность. Я выбрала первый вариант.

Рассказав всё мужу, я готовилась к тому, что он больше не захочет со мной жить, ведь я столько лет его обманывала. Я ожидала любой отрицательной реакции, но только не смеха. Он рассмеялся, крепко меня обнял и сказал, что не бросит из-за этой ерунды, а если есть проблема с планированием новой беременности, значит, у нас будет один ребёнок. До сих пор не понимаю, как я могла столько лет держать всё в себе, зачем мучила себя и страдала? Насколько же сильны установки, заложенные в раннем детстве, и как больно они могут проявляться во взрослой жизни! Если бы не А.Б., я не решилась бы на откровенный разговор с мужем, и боюсь даже представить, чем могло всё закончиться.

Прошло два месяца после разговора. Я ходила на приём к нескольким врачам-генетикам. Цель визита – узнать, как родить здорового ребёнка. К сожалению, точного ответа мне не дали, лишь предположения. Я изучала предложения на московском рынке и нашла информацию, что в Центре Молекулярной Генетики делают предварительный анализ плода во время беременности на поиск мутации, которую хочется избежать, гемофилия входила в список. Это было хоть что-то. Однако, спустя время, я столкнулась с несколькими проблемами: компетентность врачей на тему гемофилии, стоимость анализов, география местонахождения данных центров и т.д. Всё это казалось мне непреодолимой стеной преград. Я решила взять паузу и не мучить себя мыслями о новой беременности.

Жить стало легче. Панические приступы отступили, за год ни одной атаки. Знакомые чувства вернулись после одного случая. Осенью мне сделали пластическую операцию, после которой начались сильные боли. Я не могла дышать, вставать, сидеть, шевелиться, лекарства не помогали. Врачи говорили – это отёк, но через пятнадцать часов выяснилось, что произошло кровотечение, нужна повторная операция. Такой сильной физической боли я не испытывала никогда, даже когда рожала. Было ощущение, что меня переехал автобус, и я до сих пор нахожусь под ним. Но время лечит. Через три месяца после операции прошли последние синяки, моё тело реабилитировалось, но общее состояние было подавленным. В голове постоянно мелькали мысли: кровотечение после выкидыша, родов, после простой операции. Не слишком ли много случайных кровотечений? Всё ли я знаю о себе? Интуиция подсказывала, что ответ кроется в гемофилии.

Я не буду описывать место и ситуацию, но через отца я договорилась о приёме к гематологу, заведующему отделением и опытному специалисту в области гемофилии. Я прилетела на приём, у меня взяли кровь на анализы. На листочке была надпись Ф. И. О. и вопрос: носитель гемофилии?

Как риторично, подумала я, завтра буду знать правду. Утром мне сообщили, что у меня нарушение восьмого фактора, а точнее, снижение на двадцать процентов от нормы. Это означало, что кровотечения, которые происходили в моей жизни, неслучайны. Мне дали описание и расшифровку анализа. При хирургических вмешательствах рекомендовано ставить фактор восемь, вот только фактор был мне не положен, а купить в аптеке невозможно. Оставался только один вариант, взять резерв у отца, в случае необходимости использовать. Морально я была не согласна с этим поступком – взять лекарство у человека, который в нём нуждается постоянно... Но другого варианта не было.

К моей радости, мне удалось уговорить гематолога обследовать мою дочь и прояснить ситуацию: она здоровый ребёнок или носитель гена гемофилии. Врач не хотел за неё братья, он говорил, что ребёнок ещё маленький и результаты анализов могут быть неточными, а если и будут, то это вероятность семьдесят процентов. Но семьдесят процентов – это лучше, чем ничего. Я настояла, он согласился. На следующий день я узнала, что у моего ребёнка нет тех нарушений в крови, что есть у меня и отца... Это означало, что, если бы ей сейчас удаляли зуб, у неё не было бы кровотечения, в отличие от меня. В этот миг я поняла, что о большем не смела мечтать...

Всю жизнь я воспринимала свои ограничения в плане детей как некое наказание, всю жизнь я искала ответ: «За что?», но никогда не допускала мысль о том, что болезнь дана мне как награда, как способ достижения тех результатов в жизни, которые у меня есть сейчас. Если бы не постоянная борьба за право обыкновенной жизни, за попытки доказать этой болезни, что я могу ЖИТЬ по правилам здоровой женщины, а не по тем, что диктует она, у меня не было бы сейчас материальных и семейных благ, к которым так стремится человек. Возможно, будучи душой и планируя эту жизнь, я сама выбрала путь – быть носителем гена гемофилии, как способ прийти в точку изобилия, где сейчас и нахожусь. Эта мысль освободила меня от оков ненависти, дав ощущение, будто я проснулась, а все негативные чувства, страх и обида были плохим сном. Я перестала ненавидеть эту болезнь, искать виноватых. Ненависть прошла, чувство вины утихло, но и любви не появилось к гемофилии. Видимо, именно эту стадию психологи называют принятием...

Пока я гостила у родителей, отцу прислали журнал о гемофилии с мотивирующей надписью: «Невозможно – это не факт. Это лишь чьё-то мнение». В этом журнале была статья о том, как родить здорового ребёнка, если мама – носитель гена гемофилии. Ответ оказался прост – ЭКО. Экстракорпоральное оплодотворение, которое применяют при бесплодии и при наследственных заболеваниях. Для начала надо иметь на руках заключение гематолога, где будет написано, что один из родителей имеет генетическое нарушение, к которому как раз и относится гемофилия. Потом уже обратиться к гинекологу, который скажет, что делать дальше. На данное время таких обращений меньше десяти процентов, но это вариант, которым, возможно, я воспользуюсь в будущем.

Напоследок хочу сказать: я верю, что наступит время, в котором лекарство будет положено всем, кто в нём нуждается. Я верю, что мы создадим мир, в котором врачи не будут нас бояться, не будут молчать и искать причину отказать в помощи, лишь бы не брать на себя ответственность за нашу жизнь. Работодатели не будут увольнять с работы, а будут ценить в первую очередь профессиональные навыки и компетенции, а не состояние здоровья. Близкие будут любить и принимать нас такими, какие мы есть.

Моя дорогая девочка, пока этот мир строится, хочу пожелать тебе стойкости, уверенности в себе и верных друзей, способных поддержать тебя. Помни: солнце всегда встаёт по утрам. Люби себя, заботься о себе и своём теле, развивайся, учись, ухаживай за собой. Пусть тебе достались не самые лучшие карты, но только тебе решать, как сложится твоя игра под названием жизнь. Выбор за тобой.

Осмелюсь дать совет родителям, имеющим дочерей-носителей: любите нас и говорите нам об этом, обнимайте нас. Рассказывайте о гемофилии в подходящем возрасте, указывайте пути решения, связанные с будущим материнством. Не бросайте нас наедине с этой болезнью. Помните, что любая проблема решаема.

Виктория...

## Семейный альбом

*От редакции: продолжаем знакомить читателей с теми, с кого можно и нужно брать пример нашим мальчишкам. Сегодня мы представляем Вам молодого человека с гемофилией средней тяжести (VIII фактор 4%, на профилактике). Наверное, если бы не обстоятельства, он узнал бы о своем заболевании гораздо позже, а узнав, мог спокойно смириться с ним и полностью отказаться от своих увлечений. Главное же в том, что он сумел справиться с ситуацией, смог определить для себя приоритеты и расставить их в правильном порядке. Сегодняшней публикацией мы хотели бы обратить Ваше внимание ещё на то, что фактор — это не просто препарат, позволяющий снизить тяжесть кровотечений по факту и количеству кровотечений при профилактике. Это - наш помощник в стремлении к полноценной активной жизни, и важно сознавать, что очень много зависит в первую очередь от твердости характера и настойчивости. Но это должна быть разумная настойчивость, в помощь своему организму, а не во вред.*



Меня зовут Евгений Смирнов, мне 33 года, живу в Москве, работаю в компании Совтрансавто. Волею судьбы болею гемофилией А средней тяжести. До 12-летнего возраста мой недуг практически не проявлялся, семья находилась в неведении. Были травмы, переломы, даже играл в футбол во дворе, был активным ребенком, занимался спортом. Так продолжалось до поры до времени. Около 8 лет получил сильную травму ноги, с трудом передвигался несколько месяцев, но последствий травма не оставила, восстановился. В 10 лет случился серьезный перелом руки, врачи говорили, что, скорее всего, рука не восстановится и я стану инвалидом, но, благодаря заботе семьи и физкультуре, сумел восстановить руку. В целом, слава Богу, несмотря на все травмы, всё прошло благополучно.

В 12 лет в стоматологической клинике вырвали зуб, кровь не останавливалась довольно долго, отвезли в детскую больницу Святого Владимира, где мне зашили десну. Этим вопрос не решился, положили в Морозовскую больницу, где мне еще несколько раз делали операцию, кровь все равно не останавливалась. Врачи взяли анализ на свертываемость крови и у меня нашли гемофилию А. После того, как мне поставили диагноз, было назначено профилактическое лечение факторами свертывания крови.

Спорт всегда был и остается в моей жизни. Любил бег на 100 метров и бегал эту дистанцию за 13 секунд. Когда были травмы и не мог ходить, занимался дома фитнесом, поднимал гантели. С друзьями гонял мяч на улице, на даче активно катался на велосипеде. Был период, когда увлекался настольным теннисом. В юности была мечта стать гонщиком Формулы 1 или теннисистом.

Значимое влияние активного образа жизни, думаю, пришло от отца и дедов. Один служил на подводной лодке, настоящий моряк, сильный и харизматичный. Второй дедушка был спортсменом, играл за «Спартак», все были высокими, дородными. Влияние пришло и от фотографий дедов-фронтовиков, к сожалению, некоторых я не застал, но их облик и взгляд со старой фотографии по сей день вызывает у меня уважение и служит примером для подражания. Отец в молодости занимался мотокроссом, потом служил в Советской армии в центральной группе войск в Чехословакии в спортивной роте. Все это послужило моему воспитанию, становлению, привило любовь к спорту.

Что дают мне занятия спортом? В первую очередь, получается сохранять баланс между моим недугом и комфортным образом жизни. Я считаю, что спорт — это одно из лучших лекарств. Замечаю, что после тренировки однозначно чувствую себя лучше, а если не тренируюсь, начинает все болеть. «Движение – жизнь» - очень верные слова. Не важно, какое у тебя здоровье, если есть мотивация и сила воли, можно восстановиться после травмы, превзойти себя, добиться результата. Тем более в наше время при наличии необходимых лекарственных препаратов.

Сейчас занимаюсь велоспортом уже 8 лет, проехал больше 5000км. 23 июля 2022 года участвовал в веломарафоне «La strada race». Это была первая подобная гонка для меня, было несколько тысяч участников разного уровня подготовки, разного телосложения, возраста, с разными велосипедами. Данный марафон является любительской гонкой, которая проводится несколько раз в год в крупных городах России, принять участие в ней может практически любой человек. Готовился к этому марафону около года, качал пресс, занимался домашним фитнесом, делал зарядку, целенаправленно проезжал три тренировки в неделю. Ждал этого события с предвкушением, мне действительно хотелось испытать себя. В своих желаниях хотел проехать за 28 минут, узнал, что это результат кандидата в мастера спорта для велоспорта. В итоге проехал 20 км за 47 минут, вошел в топ 30. Лучшее время гонки 34 минуты. С учетом того, что у меня, к сожалению, не шоссейный велосипед, а горный, попасть в топ 10 не удалось. Чувствовал я себя на гонке превосходно, результатом доволен. Максимальная скорость была больше 40 км/ч. Трасса была проложена в центре Москвы, старт – от Москва-Сити, финиш – в парке Крылатское. Было много перепадов высоты и сложных обстановок на дороге, некоторые падали, на скорости их надо было объезжать, один мужчина потерял сознание на повороте. На финише был небольшой завал. Так как было много перепадов высоты, признаюсь, что старался беречь колени, осознавая, что любое падение для меня может закончиться печально, но всё прошло хорошо.

Хочу заметить, что все тренировки, гонка и спортивный образ жизни не обходятся без лекарственной профилактики, об этом не нужно забывать. Обязательно переливайтесь.



Планирую дальше продолжать в том же духе свои тренировки. Спорт и еще раз спорт!

Есть ли у меня мечта? Когда речь идет о спорте, мечтаю о новом шоссейном велосипеде и о своём участии в крупных соревнованиях подобного рода.

От себя хочу пожелать вам, дорогие друзья, никогда не сдаваться и идти вперед. Здоровье в ваших руках. Гемофилия сегодня с современными лекарствами — это не приговор. Утренняя зарядка, правильное питание, легкие тренировки укрепят ваше тело и дух, правильный образ жизни будет ковать характер и тело. В итоге здоровые ребята (без гемофилии) будут брать с вас пример. Всем успехов!

Евгений Смирнов, 25 июля 2022,  
Москва

км	Скорость	Δ Высота
1.0	1,9 км/ч	2,4 м
2.0	33,3 км/ч	0,8 м
3.0	30,9 км/ч	-0,3 м
4.0	32,3 км/ч	-0,4 м
5.0	32,2 км/ч	-0,3 м
6.0	33,0 км/ч	0,2 м
7.0	28,9 км/ч	0,3 м
8.0	27,7 км/ч	-0,2 м
9.0	27,1 км/ч	0,3 м
10.0	26,5 км/ч	2,4 м
11.0	25,3 км/ч	15,7 м
12.0	19,7 км/ч	2,9 м

Расстояние 1 км

ДЛИТЕЛЬНОСТЬ	3:57:24
РАССТОЯНИЕ	31,04 км
СРЕДНЯЯ СКОРОСТЬ	7,8 км/ч
МАКС СКОРОСТЬ	64,3 км/ч
КАЛОРИИ	778,0 ккал
СНИЖ. ВЫСОТЫ	81,8 м
УВЕЛ. ВЫСОТЫ	109,8 м
СРЕДНИЙ ТЕМП	07:38 мин/км



## Читайте хорошие книги

Мы уже много раз говорили о том, что для того, чтобы писать стихи для детей, нужен особый талант. Обладателей этого редкого дара можно пересчитать по пальцам. И вот, кажется, я нашла автора, чтобы загнать на один палец больше: Алексей Ерошин. Не скажу, что мне его книжка попала в руки случайно, совсем нет. Я о нем где-то прочитала, и, чтобы познакомиться с его стихами, выбирала книжку в интернет-магазине. Название «Шел по городу скелет» меня не очень обрадовало, как, впрочем, и «Я гулял на облаках». Но второе показалось более безобидным, и я остановилась на этом сборнике. Книжка меня просто порадовала. Какие же прекрасные стихи! Не все мне одинаково понравились, но это и не обязательно – стихи должны быть разными.

Помните стихотворение Маршака «Жил человек рассеянный на улице Бассейной...». У Алексея Ерошина есть замечательное стихотворение, которое переключается эхом, но, при этом, совершенно другое – «Разиня». Написано легко, прекрасно запоминается и очень хорошо передает настроение. Оно непременно Вам понравится!

Или вот: « Хотите, ребята, открою секрет, как мыши готовят себе винегрет?» – такое интригующее начало у другого сюжета, не менее забавного и необычного.

Прекрасное стихотворение про щенка – «Трудяга», которое с удовольствием можно читать подряд много раз и удивляться, с какой точностью подмечено и с каким юмором написано.

Легкий юмор присутствует практически в каждом из стихов Алексея Ерошина. Вот, например, я не сразу догадалась, что это за КОТОстрофа случилась в стихотворении с таким же названием – «КОТОстрофа» – и поняла только к последним строчкам. Но стихотворение – просто восхитительное:

*«...Котострофа случилась в двенадцать часов,  
завопила на 150 голосов,  
а в двенадцать часов и четыре минуты  
все столбы во дворе оказались погнуты!..»*

И там много чего очень быстро случилось, о чем рассказано легкой рифмой и с прекрасным чувством юмора. Я бы с огромным удовольствием процитировала стихотворение полностью, но... как же будет интересно Вам самим прочесть это со своими детьми или внуками!

Отдельно надо сказать о том, что книжка, которую я выбрала, иллюстрирована художницей Екатериной Бауман, рисунки её очень органично подходят к тексту.

Случайно узнала, что один известный книжный магазин проводил конкурс среди читателей на самые интересные вопросы писателям. Задавшие пять самых интересных вопросов получали персонально ответ автора и приз – книжку с автографом. Вопросы оценивали сами авторы. Алексей Ерошин участвовал в этом конкурсе, но не стал выбирать пять, по его мнению, лучших, а ответил на все. Был среди прочих вот такой вопрос: ... если бы у вас было всего 7 слов для того, чтобы убедить родителей познакомить своих детей с вашей поэзией, какие это были бы слова? А как бы вы заинтересовали детей с помощью только 7 слов?

И вот какой получил автор вопроса ответ: «...Для детей на обложке я бы оставил такую надпись:



*Дверь в страну чудес и лета.  
Дети входят без билета!*

И ниже надпись для взрослых:

*Быть ребенком очень просто:  
Станьте маленького роста!... »*

Читайте хорошие книги!

**Валентина Галдина**



**ГОРЯЧАЯ ЛИНИЯ:  
8 (800) 550-49-21**

[www.hemophilia.ru](http://www.hemophilia.ru)  
**гем<sup>о</sup>филия.орг**

Журнал выпущен при благотворительной поддержке  
СиЭсЭл Беринг ГмбХ Германия,  
ООО «Октафарма Нордик АБ», АО «Рош-Москва»,  
ООО «Такеда Фармасьютикалс», АО «Фармимэкс»,  
ООО «Сведиш Орфан Бивитрум», ЗАО «БИОКАД», АО «Санофи»

Название зарегистрировано в Министерстве печати и массовой информации Российской Федерации  
Рег. № 012378

Учредитель - Общество больных гемофилией  
При перепечатке материалов ссылка на "Геминформ" обязательна

Наш адрес: 125167, г. Москва,  
Нарышкинская аллея, д. 5,  
стр. 2, комн. 317, 320  
тел./факс: (495) 612-2053, 748-0510  
e-mail: [office@hemophilia.ru](mailto:office@hemophilia.ru)  
web-site: <http://www.hemophilia.ru>

Над выпуском работали:  
Жулёв Ю.А.  
Дубинина М.В.  
Галдина В.А.  
Полищук Н.Г.

Наш журнал издаётся для  
некоммерческого распространения.  
Тираж 2000 экз.