

Otozomal Dominant Polikistik Böbrek Hastalığı ile ilgili Brüksel Deklarasyonu

Otozomal dominant polikistik böbrek hastalığı (ODPBH), böbreklerde ve diğer organlarda kistlerin büyüdüğü kronik, ilerleyici ve kalıtsal bir hastalıktır.¹ ODPBH en sık görülen yaşamı tehdit edici kalıtsal hastalıklardan biridir ve böbrek yetersizliğinin önde gelen nedenlerindedir. Tam bir tedavisi olmayan bu karmaşık hastalık, etkilenen hastalar ve aileler üzerinde çeşitli ve genellikle belirgin fiziksel ve psikolojik etkiler yaratır. Ayrıca özellikle diyaliz ve nakil ihtiyacı nedeniyle yüksek sağlık maliyetleri oluşturur. Hekimler ve diğer paydaşlar arasında ODPBH ve etkilerine ilişkin farkındalık genellikle düşüktür.

ODPBH, hastalara yaşattığı birçok güçlük nedeniyle sağlık politikası oluşturanların ve hekimlerin bu duruma özel çözümler geliştirmesini hak eden bir hastalıktır. Avrupa ODPBH Forumu (EAF) tarafından düzenlenen ODPBH Brüksel Deklarasyonu, bu karşılanmamış gereksinimleri tanımlayan ve Avrupa'daki tüm ODPBH hastalarının yüksek kalitede sağlık hizmetine erişimini destekleyen politika odaklı şu önerileri sunmaktadır:

Öneri 1: Hükümetler; uzmanlar, hasta dernekleri ve diğer paydaşlarla işbirliği halinde ulusal düzeyde koordine ve kademeli bir ODPBH tedavi yaklaşımının geliştirilmesini desteklemelidir.

ODPBH hastaları, hayatları boyunca farklı branşlardan özel tanısallık, tedavi edici ve önleyici sağlık hizmetine ihtiyaç duyar. Tüm hastaların, klinik gereksinime göre multidisipliner hasta odaklı bir bakımın sağlanabileceği bir ODPBH nefroloji merkezine erişimi olmalıdır. Koordine uygulanan uzman bakımı, sunulan sağlık hizmetinin etkinliğini yüksek olasılıkla artırır. Ayrıca sevk sürecinin anlaşılır bir şekilde netleştirilmesi önemli olacaktır.

Öneri 2: Referans ODPBH merkezlerinden Avrupa çapında geniş bir ağ oluşturulması, ileri araştırmalar yapılmasını ve uyumlu, entegre ve hasta odaklı sağlık

hizmeti sunumunun tesis edilmesini kolaylaştıracaktır. Mevcut yapıları dikkate alarak,² referans ODPBH merkezlerinden oluşan ve koordine araştırmaları ve en iyi uygulamaların geliştirilip uygulamaya konmasını kolaylaştıracak Avrupa çapında bir ağın geliştirilmesine ilişkin paydaşlar arası diyalogun sürdürülmesini destekliyoruz.

Öneri 3: Avrupa Komisyonu ve ulusal hükümetler, hastaların yaşam kalitesini koruyarak, böbrek fonksiyonlarındaki bozulmayı geciktirerek ve beklenen yaşam süresini uzatarak hastalık seyrini değiştiren ODPBH tedavilerinin geliştirilmesini ve sağlık sistemleri üzerindeki ekonomik yükü azaltılmasını ele alan araştırmaları desteklemelidir.

Öneri 4: Hükümetler ve hekimler; klinik karar alma, araştırma ve inovasyon alanlarında bilgi vermesi amacıyla, ODPBH hastalarında prognozun rutin olarak değerlendirilmesini sağlayan yöntemlerin uygulamaya konmasını desteklemelidir.

Öneri 5: Avrupa Komisyonu, ulusal hükümetler ve hekimler dahil tüm paydaşlar, ODPBH'nin etkilediği hastaları ve yakınlarını daha iyi bilgilendirme çabalarını desteklemeli ve ODPBH ile ilgili sağlık hizmeti planı ve sunumuna ilişkin politika oluşturma sürecine hasta derneklerini de dahil etmeye çalışmalıdır.

Öneri 6: Sağlık teknolojisi değerlendirme (Health technology assessment [HTA]) kuruluşları, HTA'ya Hasta Katılımına ilişkin Uluslararası HTA Kalite Standartları uyarınca, değerlendirme süreçlerine hastaların ODPBH ile yaşamının etkilerine ilişkin eşsiz bilgilerini ve yeni tedaviler konusundaki isteklerini öğrenmek üzere hastaları ve hasta derneklerini de dahil etmeye çalışmalıdır.

ODPBH nedir?

ODPBH, böbrekler ve özellikle karaciğer olmak üzere diğer organlarda kist denilen sıvı dolu keselerin çoğalıp büyüdüğü karmaşık bir hastalıktır.¹ Böbrek, sağlıklı kişilerdekinin birkaç katı daha büyük hale gelebilir ve hastalarda ağrı, kanama ve kist içinde enfeksiyon başta olmak üzere birçok belirti ve bulguya neden olur. Zamanla hastaların çoğunda böbrek yetersizliği gelişir. Ayrıca ODPBH hastalarının kan basıncı yüksekliği ve kardiyovasküler hastalıklara yatkın olması önemli bir durumdur.³ Hastalığa hem yetişkin dönemde hem de çocukluk çağında tanı konabilir.

ODPBH'ye özel, onaylanmış bir tedavi yoktur. Genellikle kistlerin büyümesini yavaşlatmak üzere bazı önlemler alınır ama hiçbirinin işe yaradığı kanıtlanmamıştır. Hastalar sıklıkla ağrı ve hastalığın diğer belirtileri ve komplikasyonları için tedaviye¹ ve ayrıca kardiyovasküler hastalığı önlemeye yardımcı ilaçlara ihtiyaç duyar.³ Ancak Avrupa'da herhangi bir kanıta dayalı tedavi kılavuzu yoktur. Hastaların çoğunda ortalama 60 yaşından önce böbrek nakli veya diyaliz gereksinimi doğar.^{4,5}

ODPBH hastaları nasıl etkiler?

ODPBH'nin yaşam kalitesini ve genel iyilik halini olumsuz etkileyebilecek, ömür boyu süren fiziksel ve psikolojik etkileri vardır. Erken dönemlerde bile çoğu hasta iş yaşamına ve fiziksel aktiviteye engel olan belirtiler yaşar.⁶ ODPBH; kayıp, belirsizlik ve korku gibi derin duygusal etkiler oluşturabilir⁶ ve bu durum kaygı bozukluğu veya depresyon yaratabilir. ODPBH yaşamın çalışma, sağlık veya yaşam sigortası veya ev kredisi alma ya da aile planlaması gibi farklı yönünü olumsuz etkileyebilir.

Paydaşlar ve hekimler düzeyinde ODPBH'nin hastalar ve aileleri üzerindeki etkilerine ilişkin farkındalık genellikle düşüktür.

ODPBH'nin maliyeti nedir?

ODPBH hastaları yaşamları boyunca ayakta tedavi ve hastanede yatış nedeniyle sağlık masraflarıyla karşılaşır. Hastalara diyaliz veya nakil gerektiğinde bu maliyetler daha da artar.⁷ Bu tedavilerin gerektiği 10 hastadan yaklaşık birinin nedeni ODPBH'dir. Bu durum, Avrupa çapında yaklaşık 50.000 hasta ve yılda 1,5 milyar avro maliyete karşılık gelmektedir.⁸ ODPBH ile ilişkili komplikasyonların önlenmesi üzerine araştırmalar 'çok iyi bir yatırım verimliliği' sağlayabilir.² Nakil, diyalize göre yüksek ölçüde maliyet etkindir⁸ ve nakil oranlarını

"En korktuğum şey kızım için bir gün diyaliz gerekmesi. Diyaliz bana göre bir şekilde ölümü temsil ediyor çünkü babam diyalizdeyken öldü ve açıkçası bu tüm ODPBH hastalarında olan bir korku."
Corinne, Fransa

"ODPBH işverenlerimin anlamadığı bir durum sanki. Kendilerine durumu ve benim üzerimdeki etkilerini açıklamak çok zor oluyor... yorgunluğu ve özellikle ne kadar şiddetli ağrı yaşadığımı. Acil serviste doktorlarla konuşmak bile zor... birçoğu tıp fakültesinden beri polikistik böbrek hastalığı konusunda bir şey duymamış."
Justin, Birleşik Krallık

artırmak ve bekleme sürelerini azaltmak için yapılan yatırımların maliyet tasarrufu sağlaması beklenmektedir.

Karşılanmamış ihtiyaçlar: Neden Brüksel Deklarasyonu'na ihtiyaç var?

Yakın zamanlı KDIGO (Böbrek Hastalıkları: Küresel Sonuçların İyileştirilmesi) ODPBH Tartışmalı Durumlar Konferans Raporu⁹ ve EAF tarafından tanımlanan karşılanmamış ihtiyaçlar şunlardır:

- Tüm ODPBH hastalarının bu hastalık konusunda donanımlı bir nefroloji uzmanına erişimi olmalıdır. ODPBH klinik uygulama biçimleri Avrupa'da ülke içi ve ülkeler arası farklılıklar gösterir ve bu nedenle tedavi politikaları ve hizmetlerinin daha fazla koordine edilmesi gereklidir.
- Kanıta dayalı kılavuzların ve standart tedavi algoritmalarının olmaması ODPBH tedavisinin Avrupa'da optimizasyonu ve standardizasyonunu olumsuz bir biçimde etkilemektedir.
- Şu anda prognozu öngörmenin ideal yoluna ilişkin bir görüş birliği yoktur. Mevcut araştırmalar, hastalığının hızla ilerlemesi muhtemel hastaları tanımlamaya yardımcı olmak üzere en iyi modelleri oluşturmayı ve böylece tedavinin bireyselleştirilmesini amaçlamaktadır.
- ODPBH'nin böbrek fonksiyonlarında yarattığı azalmayı geciktiren ve böylece yaşam kalitesini koruyan ve hastaların beklenen yaşam süresini artırıp Avrupa'daki sağlık sistemleri üzerindeki etkiyi azaltan yeni ilaçlara acil ihtiyaç vardır.
- Böbrek yetersizliği olan hastalarda nakil oranlarını artıracak ilave girişimlere gereksinim vardır.
- ODPBH'den etkilenen hastalar ve ailelerine, hastalıkları hakkındaki kararlara tam olarak dahil olabilmeleri açısından hastalıkları hakkında özel, kapsamlı ve erişilebilir bilgi gereklidir. Ayrıca hastaların hekimler, araştırmacılar, sağlık yöneticileri ve sağlık bakanlıkları ile ortaklık halinde, ODPBH tanı ve tedavisindeki gelişmelere yön verecek önemli roller üstlenmeleri için desteklenmeleri gerekmektedir.

Böbrek nakline ve diyalize ihtiyaç duyan 10 hastadan 1'inde sorumlu etken ODPBH'dir.



= Avrupa'da 50.000 kişi → 1,5 milyar avro/yıl

Sonraki Adımlar: ODPBH Brüksel Deklarasyonu

Brüksel Deklarasyonu, bu karşılanmamış gereksinimlerin üstesinden gelmeye yardımcı olacak stratejiler sunar. Bu değişikliklerin uygulanması ODPBH tedavisine ilişkin tüm paydaşlar arasında aşağıdakileri içeren ulusal ve uluslararası işbirliğini gerektirecektir:

- Hastalar ve temsil ettikleri dernekler
- Nefrologlar ve ODPBH tedavisine ilişkin diğer uzman hekimler ve bilim insanları
- Sağlık sistemi yöneticileri
- Sağlık bakanlıkları
- İlaç düzenleme ve sağlık hizmeti teknolojisi değerlendirmesinden sorumlu kurumlar

Bu kurumlar arasında diyalog ve işbirliğini kolaylaştırmayı amaçlayan EAF, ODPBH hastalarının yaşamlarını iyileştirmek ve yaşam sürelerini uzatmak için tüm kurumlarla birlikte çalışmaktan mutlu olacaktır.

Referanslar

1. Torres V et al. Lancet 2007;369:1287–301.
2. Petzold K, et al. Nephrol Dial Transplant 2014;29 (Suppl 4):iv26–32.
3. Ecker T. Curr Hypertens Rev 2013;9:2–11.
4. Shaw C, et al. Nephrol Dial Transplant 2014;29:1910–8.
5. Spithoven EM, et al. Kidney Int 2014;86:1244–52.
6. Carr A, et al. 51st ERA-EDTA Congress, Amsterdam, 31 May–3 June 2014: Abstract SP020.
7. Knight TG, et al. Am J Kidney Dis 2013;61(4):A55.
8. Spithoven EM, et al. Nephrol Dial Transplant 2014;29 (Suppl 4):iv15–iv25.
9. Chapman AB, et al. Kidney Int 2015;88:17–27

"ODPBH bıçak sırtında yaşamak gibi, uçurum kenarında yürümek gibi, ona doğru yürüyorsunuz ve bir gün aşağı düşeceğinizi biliyorsunuz. Hekimler ve kamuoyu ODPBH hakkında yeterince bilgili değil ve bunun hızla ele alınması gerekiyor."
Tess, Birleşik Krallık

EAF, ODPBH hastalarının sağlık ve yaşam kalitesini artırmaya adanmış uluslararası multidisipliner bir uzmanlar grubudur.

Daha fazla bilgi için www.pkdinternational.org/EAF_ADPKD_Policy_Report_2015 adresinden “Avrupa’da Otozomal Dominant Polikistik Böbrek Hastalığının Tedavisini İyileştirmek Üzere Bilimin Politikaya Dönüştürülmesi” başlıklı EAF raporunu inceleyebilirsiniz.

ODPBH Brüksel Deklarasyonu ve EAF raporunun basılı kopyaları için Laure.Sonnier@interelgroup.com ile temasa geçiniz.

EAF'nin başlatıcısı ve finansal olarak tek destekleyicisi Otsuka Pharmaceutical Europe Ltd.'dir. Kurul üyeleri inisiyatifteki rolleri için bir ücret almamaktadır. EAF Raporu ve ODPBH Brüksel Deklarasyonu'nun içeriği EAF grubunun fikirleridir; Otsuka'nın fikirlerini temsil ettiği anlamını taşımaz.

Eş Başkanlar

Dr. Richard Sandford
ve **Tess Harris**

Nefroloji

Prof. Dr. Olivier Devuyst
Zürih, İsviçre
Prof. Dr. Tevfik Ecder
İstanbul, Türkiye
Dr. Ron T. Gansevoort
Groningen, Hollanda
Dr. José Luis Górriz
Valencia, İspanya
Prof. Dr. Albert Ong
Sheffield, Birleşik Krallık
Prof. Dr. Yves Pirson
Brüksel, Belçika
Prof. Dr. Vicente E. Torres
Rochester, MN, A.B.D.
Prof. Dr. Gerd Walz
Freiburg, Almanya

Hepatoloji

Prof. Dr. Joost P.H. Drenth
Nijmegen, Hollanda

Genetik

Dr. Richard Sandford,
Cambridge, Birleşik Krallık

Hasta Hakları Savunuculuğu

Brenda de Coninck,
Bussum, Hollanda
Tess Harris,
Londra, Birleşik Krallık
Alastair Kent,
Londra, Birleşik Krallık

EAF “Avrupa’da Otozomal Dominant Polikistik Böbrek Hastalığının Tedavisini İyileştirmek Üzere Bilimin Politikaya Dönüştürülmesi” Raporu resmi olarak şu kurumlar tarafından desteklenmektedir:



ODPBH Brüksel Deklarasyonu şu kurum tarafından desteklenmektedir:

