

Mis on A-hemofiilia?

Hemofiilia on **raske pärilik veritsushaigus**, mille korral **ei hüübi inimese veri korralikult** ja mis põhjustab kontrollimatuid verejookse, mis tekivad iseenesest või pisitrauma tagajärjel.

See võib **märgatavalt halvendada** nii haigust põdevate inimeste kui ka nende pereliikmete, sõprade ja hooldajate **elukvaliteeti**.¹

Haiguse levinuim vorm on **A-hemofiilia**, mida põeb umbes

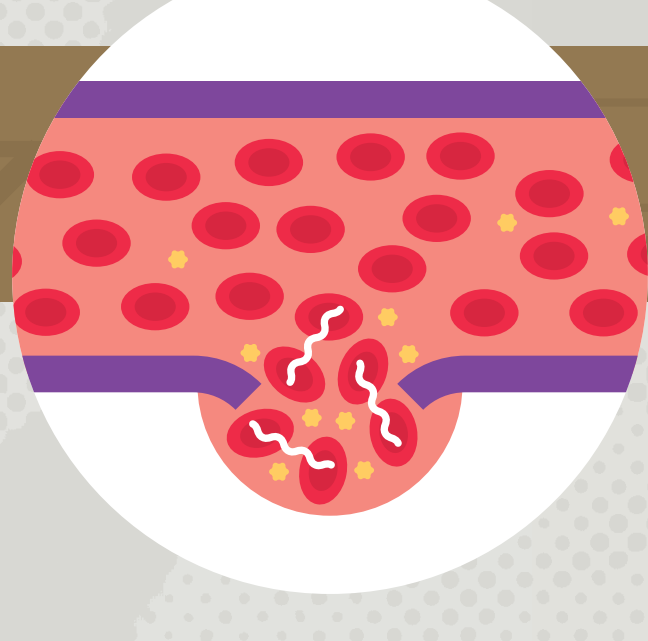
320 000 inimest kogu maailmas.^{2, 3}



50–60%* neist kannatab raskekujulise hemofiilia all.⁴

Mis toimub

A-hemofiiliat põdeva inimese veres?



Terve inimese kehas teevad koostööd sellised valgud nagu **hüübimisfaktorid**, et panna veri hüübima ja peatada veritsus.

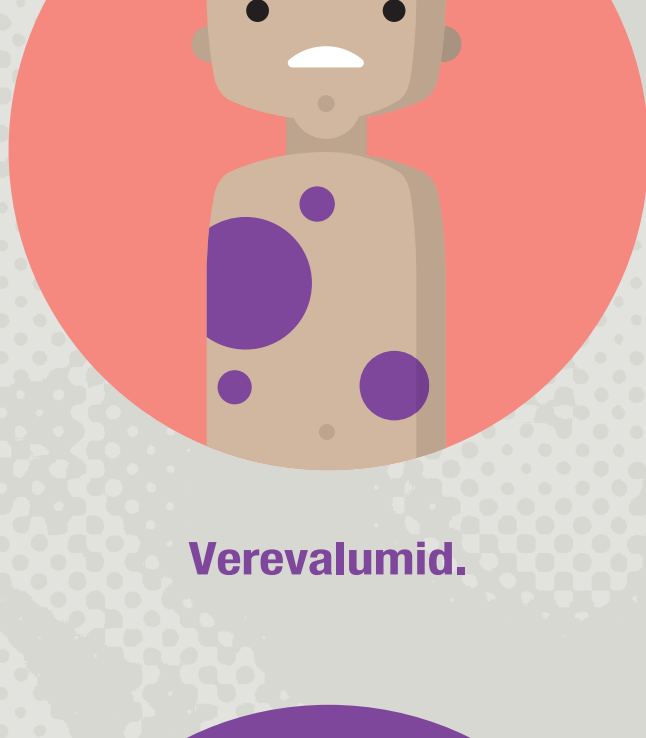
A-hemofiiliat põdevatel inimestel **puudub osaliselt või täielikult**.

hüübimisfaktor VIII,

mille tagajärjel ei hüübi veri korralikult.



Kui **hemofiiliat** ei ravita, võivad seda põdevatel inimestel tekkida:



Verevalumid.



Korduvad verejooksud lihastesse ja liigestesse, mis võivad põhjustada **pikaajalist puuet või liigeskahjustust**.⁵

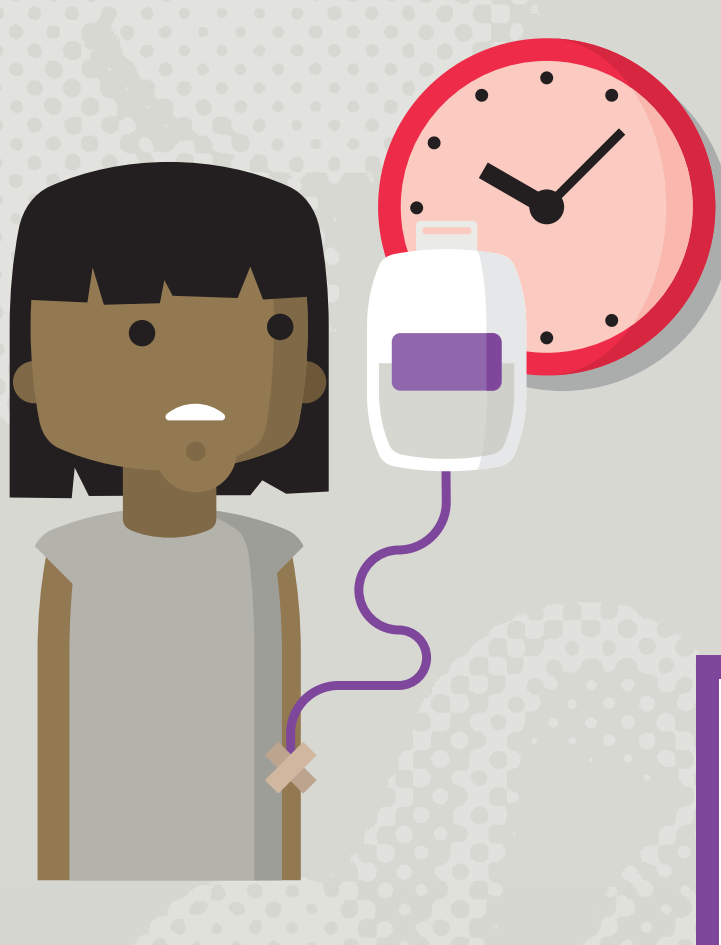


Iseeneslikud verejooksud, mis võivad olla eluohtlikud, kui need tekivad **elutähtsates organites**, näiteks ajus.



Pikaajalised ja kontrollimatud verejooksud pärast vigastust või operatsiooni.^{6, 7}

Elu hemofiiliaga ja ravikoormus



Hemofiiliat põdevate inimeste ja nende hooldajate elu **keerleb tihti infusioonravi ümber**, mis on ajamahukas ning **mõjutab oluliselt nende elu**.⁸

A-hemofiiliat põdevatel inimestel on raskusi **ravi ja igapäevase elu tasakaalustamisega**.^{9, 1}

ning ravisooatumus võib osutada väljakutseks, muutes nad **haavatavaks potentsiaalselt ohtlike verejooksude suhtes**.

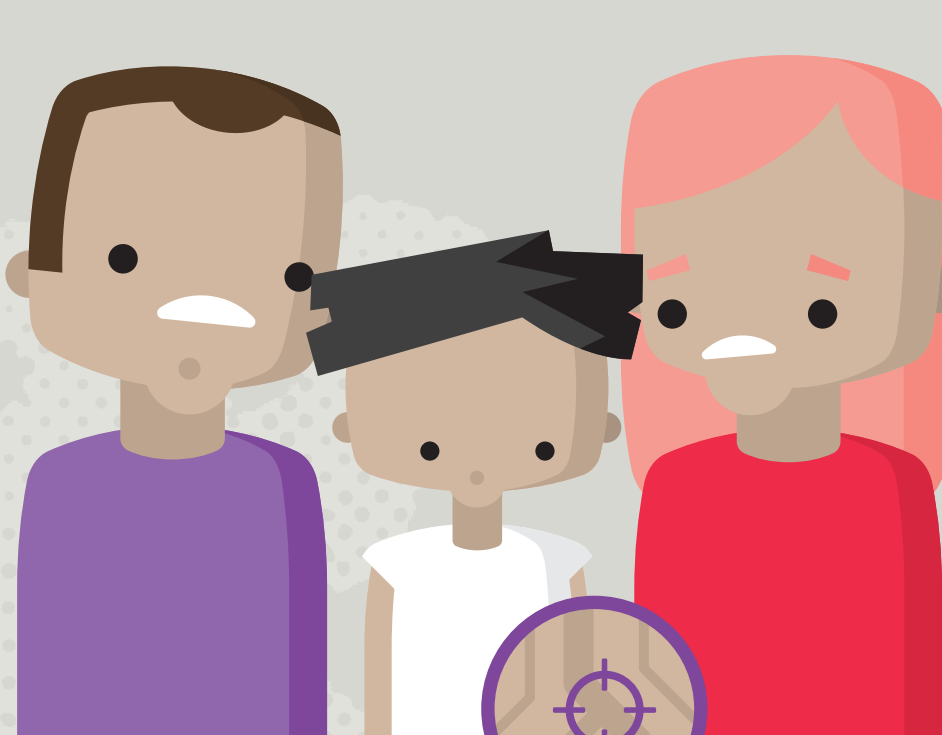


VIII faktori asendusravi



A-hemofiiliat ravitakse tänapäeval peamiselt **VIII faktori asendusravi** abil, mida kasutatakse **vastavalt vajadusele veritsuste raviks** või **pidevalt, et veritsusi ennetada**.

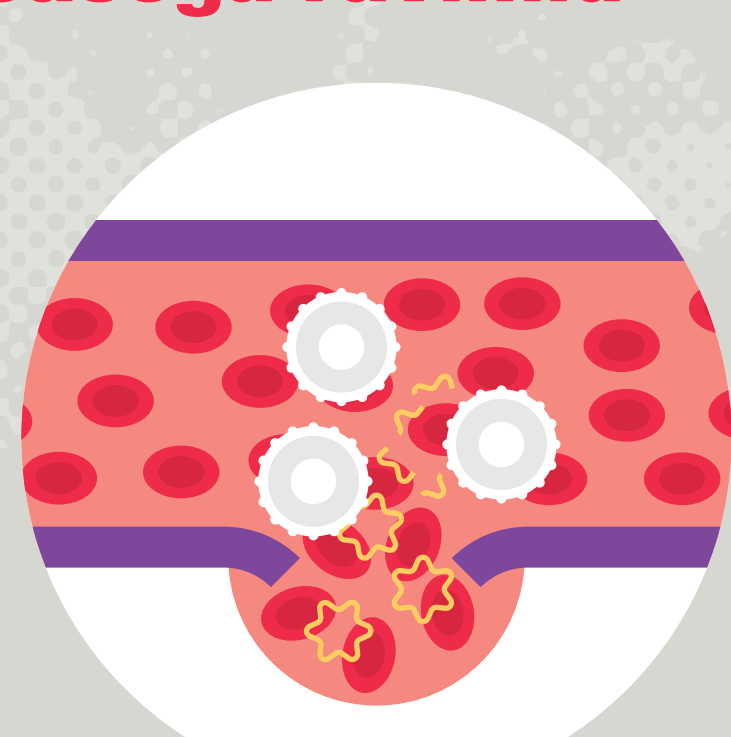
See on **lühiajalise toimega** ja **patsient või tema hooldaja** peab seda **manustama sageli** (vähemalt kaks korda nädalas).² Mõne patsiendi, eriti laste puhul võib ravi jaoks veeni leidmine olla keeruline.¹¹



Inhibiitoritega hemofiilia ravi: ITI ja möödamineva aktiivsusega ravimid



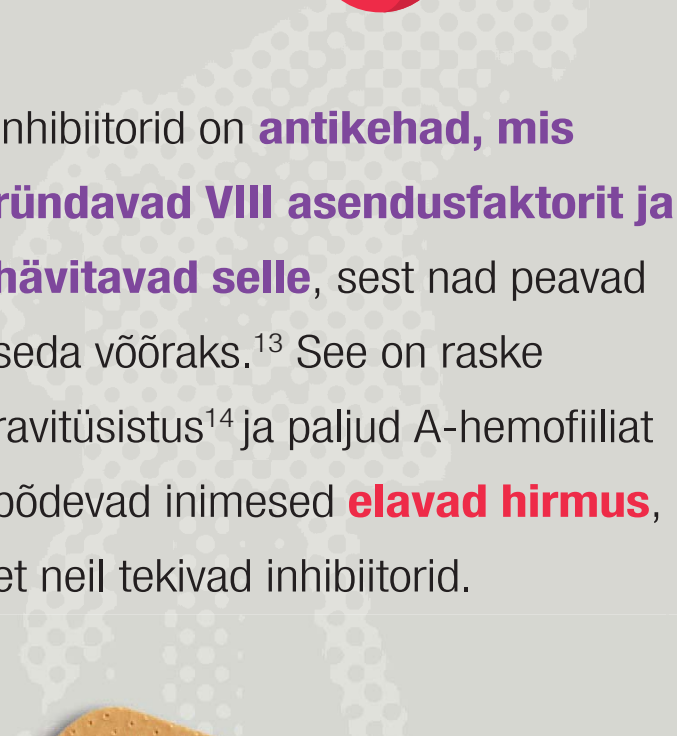
Igal neljandal (25–30%) raskekujulist **A-hemofiiliat põdevat inimestel tekivad VIII faktori asendusravi vastu inhibiitorid**.¹²



Inhibiitorid on **antikehad, mis ründavad VIII asendusfaktorit ja hävitavad selle**, sest nad peavad seda võõraks.¹³ See on raske ravitüsistus¹⁴ ja paljud A-hemofiiliat põdevad inimesed **elavad hirmus**, et neil tekivad inhibiitorid.



Hemofiiliahaiged, kellel on tekkinud inhibiitorid, vajavad **sagedasemat ravi** ja **immuuntolerantsuse esilekutsumist** (ITI), mille puhul antakse patsiendile pikema aja jooksul väga suuri VIII faktori annuseid.



ITI võib võtta aega aastaid, see on väga kallis ega **toimi umbes 30% inimestel**.^{15, 16}

Teine viis inhibiitoritega inimeste raviks on **inhibiitorist mööda mineva aktiivsusega hüübimisfaktorid**, mida kasutatakse tihti siis, kui ITI nurjub. Neid tuleb aga **tihti manustada, need on lühiajalise toimega ja kontrollivad veritsust erineval määral**.¹⁷

A-hemofiiliat põdevate inimeste jaoks **on vaja rohkem tõhusaid ja ohutuid ravivõimalusi**, et võimaldada neil oma haigusega paremini toime tulla ning elada **liigse ravikoormuseta**.

Viited

1. Flood E, et al. Illustrating the impact of mild/moderate and severe haemophilia on health-related quality of life: hypothesised conceptual models. European Journal of Haematology 2014; 93: Suppl. 75: 9-18. 2. WFH. Guidelines for the management of hemophilia. 2012. Last accessed 29 April 2020: <http://www1.wfh.org/publications/files/pdf-1472.pdf>. 3. Bertorp E, Shapiro AD. Modern haemophilia care. The Lancet 2012; 370:1447-1456. 4. Marder VJ, et al. Hemostasis and Thrombosis. Basic Principles and Clinical Practice. 6th Edition, 2013. Milwaukee, Wisconsin. Lippincott Williams and Wilkin. 5. Franchini M, Mannucci PM. Hemophilia A in the third millennium. Blood Rev 2013;179-84. 6. Young G. New challenges in hemophilia: long-term outcomes and complications. Hematology Am Soc Hematol Educ Program 2012; 2012: 362-8. 7. Zanon E, Iorio A, Rocino A, et al. Intracranial haemorrhage in the Italian population of haemophilia patients with and without inhibitors. Haemophilia 2012; 18: 39-45. 8. Elder-Lissai A, Hou Q, Krishnan S. The Changing Costs of Caring for Hemophilia Patients in the U.S.: Insurers' and Patients' Perspectives. Presented at: American Society of Hematology Annual Meeting; December 6-9, 2014; San Francisco, CA. Abstract # 199. 9. Remor E. Predictors of treatment difficulties and satisfaction with haemophilia therapy in adult patients. Haemophilia 2011; 17: e901-e905. 10. Hacker MR, et al. Barriers to compliance with prophylaxis therapy in haemophilia. Haemophilia 2001; 7: 392-6. 11. Ljung R. The risk associated with indwelling catheters in children with haemophilia. British Journal of Haematology 2007; 138: 580-586. 12. Gomez K, et al. Key issues in inhibitor management in patients with haemophilia. Blood Transfus. 2014; 12: s319-s329. 13. Whelan SF, et al. Distinct characteristics of antibody responses against factor VIII in healthy individuals and in different cohorts of hemophilia A patients. Blood 2013; 121: 1039-48. 14. Astermark J. Overview of Inhibitors. Semin Hematol 2006; 43 (suppl 4):S3-S7. 15. Rocino A, et al. Immune tolerance induction in patients with haemophilia A and inhibitors: effectiveness and cost analysis in an European Cohort (The ITER Study). Haemophilia 2015; 21: 559-67. 16. Valentino LA, et al. US Guidelines for immune tolerance induction in patients with haemophilia A and inhibitors. Haemophilia 2015; 21: 559-67. 17. Bertorp, E. Differential response to bypassing agents complicates treatment in patients with haemophilia and inhibitors. Haemophilia. 2009; 15: 3-10.