



فدراسیون جهانی هموفیلی امسال با شعار به اشتراک گذاشتن دانش به استقبال گرمی داشت روز جهانی هموفیلی رفته است. فدراسیون بر این اعتقاد است که جامعه هموفیلی جهانی سرشار از دانش و تجارب است که به اشتراک گذاشتن آنها می تواند نقش مهمی در بهبود شرایط زندگی بیماران ایفا نماید. فدراسیون در جهت کمک به عملی شدن این شعار در اقدامی تحسین برانگیز کلیه اطلاعات موجود در این حوزه را تجمیع نموده و به اشتراک گذاشته است. در این لینک eLearning.wfh.org بیش از ۵۰۰ منبع مختلف به چند زبان در حوزه های مختلف درمانی و پژوهشی، اختلالات انعقادی در زنان و انواع کتابچه های راهنما وجود دارد. فدراسیون از انجمن های عضو در خواست نموده فعالیت های خود را به صورت مطلب و عکس با این مرجع بین المللی به اشتراک بگذارند. فدراسیون جهانی هموفیلی معتقد است روز جهانی هموفیلی یک فرصت شگفت انگیز است برای اینکه مردم و دولت به این بیماران توجه کنند. آلن ویل رئیس فدراسیون جهانی هموفیلی در اظهار نظری درباره موقعیت این فدراسیون گفته است: فدراسیون جهانی هموفیلی با داشتن دانش و تجربه کافی در این حوزه می تواند نقش راهبردی خود را در حوزه بهبود شرایط زندگی بیماران ایفا نماید. وی در ادامه افزوده دانش کلید اصلی بهبود شرایط است و فدراسیون به همین دلیل به اشتراک گذاشتن دانش را شعار محوری خود در سال جاری قرار داده است.



مقدمه: طی پنج سال گذشته هر روز شاهد انتشار اخبار امیدوار کننده در حوزه هموفیلی بوده ایم که نوید دهنده درمان های نوین و زندگی بهتر و با کیفیت تر برای بیماران هموفیلی هستند. افزایش امید به زندگی در بیماران هموفیلی و نزدیک شدن آنها به طول عمر طبیعی عموم جامعه در کشور های مختلف در صدر اخبار امیدوار کننده سالهای اخیر قرار دارد. واقعیتی که باعث شده مدیریت بیماری های شایع میانسال و سالمندی یکی از چالش های جدی حوزه هموفیلی شود و توجه محققین را بخود جلب نموده است. در حوزه تشخیص نیز فدراسیون جهانی هموفیلی با توجه به اختلالات انعقادی در زنان تلاش نمود توجه ۱۳۴ کشور عضو این فدراسیون، از جمله کانون هموفیلی ایران، را به شنیده شدن صدای زنان و دختران مبتلا به اختلالات انعقادی جلب نماید. جمعیتی که دسترسی شان به حوزه درمان در سایه عدم تشخیص بسیار ناچیز بوده و نیازمند توجه اساسی است. سال گذشته برنامه روز جهانی هموفیلی در ایران به شنیده شدن صدای زنان و دخترانی معطوف گردید که نمایندگان آنها با لباس های محلی از استانهای مختلف در این مراسم شرکت نمودند. در سال ۲۰۱۸ نیز شعار فدراسیون جهانی توجه به تبادل دانش میان افراد درگیر در عرصه هموفیلی است. در این راستا نوشتار زیر خواهد کوشید که تازه های هیجان انگیز درمان هموفیلی را در سه حوزه واکاوی نماید، تازه هایی که خبر از **انقلاب در درمان هموفیلی** می دهند:

الف - تحقق رویای ژن درمانی در هموفیلی

ب- تحول در تولید دارو های نو ترکیب (تحول کمی با تولید ویال های بزرگتر تا ۳۰۰ واحدی، و تحول کیفی با افزایش نیمه عمر فاکتور ۸)

ج- تولید داروهای بیولوژیک غیر فاکتور با نیمه عمر طولانی و امکان تزریق زیر جلدی

در این شماره نشریه زندگی تلاش خواهیم کرد خوانندگان با این دستاورد های جدید آشنا نماییم:

الف - تحقق رویای ژن درمانی در هموفیلی:

امسال به مناسبت روز جهانی هموفیلی کانون هموفیلی ایران افتخار آنرا داشت که میزبان پروفیسور تادنهام و همکار ایرانی او از اعضای فعال یکی از تیمهای محقق ژن درمانی هموفیلی باشد. بیماران هموفیلی ایرانی به ویژه بیمارانی که از کمبود فاکتور ۹ رنج می برند از نزدیک توانستند در جریان این تحول بزرگ قرار بگیرند. در مطالعات انجام شده تا کنون بیماران شرکت کننده پس از درمان از وضعیت هموفیلی شدید به وضعیت خفیف تغییر یافته اند. با اعلام نتایج موفقیت آمیز این پروژه یکبار دیگر



نور قرمز نماد همبستگی در روز جهانی هموفیلی



نور پردازی سمبل های شهری جهان و آثار تاریخی با نور قرمز به نشانه همبستگی جهانی و جلب توجه مردم و دولت به مشکلات بیماران هموفیلی از رهنمود های فدراسیون جهانی هموفیلی است. در سال ۲۰۱۷ هزاران نفر از مردم سراسر جهان متحد شده اند تا حمایت خود را نسبت به بیماران اعلام نمایند بیش از ۷۰ نشانه در شهرهای بزرگ سراسر جهان در این روز به رنگ قرمز روشن بود.

میزگرد خبرگزاری ایسنا:

”بیماری‌های خاص، چالش‌ها و مطالبات پیش‌رو“

سفره بیماران خاص کوچک شده است. «مجلس» بودجه افزایش شمار بیماری‌های خاص را لحاظ کند.

در میزگرد ”بیماری‌های خاص، چالش‌ها و مطالبات پیش‌رو“ که با محوریت اضافه شدن ۳ بیماری به فهرست بیماران خاص در ایسنا برگزار شد، نمایندگان انجمن‌های حمایت از بیماران خاص از نمایندگان مجلس



شورای اسلامی درخواست کردند که منابع مالی و اعتباری لازم برای مصوبه اخیر کمیسیون تلفیق را پیش‌بینی و تصویب کنند. به گزارش ایسنا، دکتر محمدجواد کیان، معاون بنیاد امور بیماری‌های خاص در این میزگرد که با حضور نمایندگان انجمن‌های هموفیلی، تالاسمی و اوتیسم و همچنین مدیرکل دفتر خدمات تخصصی و فوق تخصصی سازمان بیمه سلامت، برگزار شد، ابتدا در تعریف ”بیماری خاص“ گفت: اولاً بیماری خاص بیماری است که فرد تا زمانی که زنده است برای زندگی طبیعی باید درمان‌های خاصی را داشته باشد که این درمان‌ها نسبتاً گران هستند. بنابراین بیمار خاص باید همواره تحت حمایت قرار داشته باشد. در ادامه این نشست احمد قویدل، مدیرعامل کانون هموفیلی ایران نیز گفت: بزرگترین دغدغه ما این است که دولت در شرایط کنونی حتی قادر نیست سه بیماری خاصی را که از قبل وجود داشته است، مدیریت کند. حال چطور می‌خواهند سه بیماری دیگر را هم به فهرست بیماران خاص اضافه کنند، بدون اینکه بودجه‌ای برایشان در نظر بگیرند. قویدل با بیان اینکه مجلس کارنامه قوی در حوزه بیماران خاص ندارد، گفت: اساساً مجلسی‌ها به این حوزه توجه کافی نداشتند، اولین مصوبه مجلس در این حوزه این بود که زنان سرپرست بیماران صعب‌العلاج یا زنانی که فرزند مبتلا به بیماری صعب‌العلاج دارند، می‌توانند به میزانی ساعت کارشان را کاهش دهند.

ادامه مطلب از صفحه یک

تازه‌های هموفیلی

افسوس خوردیم که دو بیمار هموفیلی ایرانی به علت عدم صدور روادید توسط دولت انگلیس از فرصت بهره‌مندی از این روش درمانی محروم شدند. در همین شماره ترجمه خلاصه مقاله این مطالعه به اطلاع خوانندگان ارجمند می‌رسد.

ب- تحول در تولید داروهای نو ترکیب: داروهای نو ترکیب گذشته از آنکه تحولی اساسی در دسترسی به منابع دارویی محسوب می‌شوند و تضمین‌کننده ایمنی محصولات انعقادی نیز هستند، بستر مناسبی برای تولید داروهایی با ظرفیت‌های بالا نیز به شمار می‌روند. به علت محدودیت‌های موجود داروهای پلاسماپی به صورت ویال‌های ۲۵۰، ۵۰۰ و ۱۰۰۰ واحدی تولید می‌شوند. اما داروهای نو ترکیب این مرزها را شکستند و با تولید ویال با ۳۰۰۰ واحد فاکتور ۸ زمینه درمان‌های سهل‌تری را به خصوص برای بزرگسالان فراهم کردند. متأسفانه بیماران هموفیلی ایرانی هنوز از این دستاورد بی‌بهره‌اند. در ایران هنوز با کج سلیقه‌گی ویال‌ها ۲۵۰ واحدی به بزرگسالان عرضه می‌شود. تولیدکنندگان داروهای نو ترکیب در ایران هنوز فاکتور ۷ را یک میلی گرمی تولید می‌کنند، و فاکتور ۸ ایرانی که دو سال است به بازار پیوسته در ویال‌های ۵۰۰ واحدی استفاده می‌شود. افزایش ظرفیت ویال‌ها با تسهیل فرآیند تزریق، کیفیت زندگی بیماران را بهبود می‌بخشد. در این حوزه موفقیت‌های بزرگی به بدست آمده است. از آن جمله تولید داروهایی با طول عمر طولانی‌تر و طبعاً کاهش دفعات تزریق است. امیدواریم که این دسته از داروها نیز به زودی در اختیار بیماران دچار اختلالات انعقادی قرار گیرند.

ج- تولید دارو بیولوژیک غیر فاکتور با طول عمر یک هفته و تزریق زیر جلدی برای بیماران با مشکل مهار کننده: تولید موفق این دارو که در واقع عملکرد فاکتور ۸ در بدن را تقلید می‌کند در شرکت دارویی رش (Roche) به سرانجام رسیده و پس از مطالعات بالینی موفق به اخذ تأییدیه سازمان غذا و دارو آمریکا گردیده است. این دارو به علت نیمه عمر یک هفته‌ای و امکان تزریق زیر جلدی هیجان زیادی را ایجاد نموده و ضرورت دارد سازمان غذا و داروی ایران نیز زمینه‌های ورود این دارو به بازار ایران را فراهم کند. مطالعات بالینی نشان داده که حتی در بیمارانی که نیازمند تزریق مکرر فاکتورهای میانبر مانند فایبا بوده‌اند تزریق زیر جلدی این دارو به صورت هفته‌ای یک بار توانسته به میزان قابل توجهی دفعات خونریزی را کاهش دهد. بی تردید در صورت تایید این نتایج، این یک انقلاب درمانی است. موفقیت دارو باعث شده تا در مطالعات جدیدتر تولیدکنندگان آن به استفاده از این دارو در بیمارانی که مهارکننده ندارند نیز روی آورند. رویاهای بیماران به خصوص کودکان در سایه پیشرفت علم در حال تحقق است. در صفحه ۷ علاوه بر خلاصه مقاله این مطالعه اما و اگرهای مربوط به آن را نیز می‌توانید بخوانید.



امید های بزرگ!

انقلاب در درمان در
بیماران با مشکل مهار کننده

پیش زمینه:

داروی امیسوزوماب دارویی است که در بیماران هموفیلی A که کمبود فاکتور ۸ انعقادی دارند مورد استفاده قرار می گیرد. مکانیسم عمل این دارو به گونه ای است که به فاکتور ۹ و ۱۰ فعال می چسبد و عملکرد فاکتور ۸ فعال شده را تقلید می کند. مطالعه بالینی فاز ۳ چند مرکزی بر روی این دارو انجام شده است که هدف آن ارزیابی درمان پروفیلاکسی با داروی Emicizumab به صورت زیرجلدی و هفته ای یکبار در بیماران هموفیلی A دارای مهار کننده بوده است.

روش مطالعه:

در این مطالعه بیمارانی انتخاب شدند که سن ۱۲ سال یا بیشتر داشتند و قبلاً برای درمان حملات خونریزی شان از داروهای میانبر (فایا یا فاکتور هفت فعال) استفاده می کردند. این بیماران به صورت تصادفی انتخاب و به دو گروه تقسیم شدند. بیماران گروه A که به صورت پروفیلاکسی از داروی امیسوزوماب استفاده می کردند که تعداد آنها ۳۵ نفر بودند و بیماران گروه B که رژیم پروفیلاکسی دریافت نمی کردند و تعداد آنها ۱۸ نفر بودند. هدف اولیه این مطالعه بالینی شناسایی تفاوت در میزان خونریزی ها بین گروه A و B بود.

در این مطالعه علاوه بر ۲ گروه ذکر شده، بیمارانی که قبلاً به صورت پروفیلاکسی از داروهای میانبر استفاده می کردند تحت درمان با داروی امیسوزوماب به صورت پروفیلاکسی قرار گرفتند که این دسته به عنوان گروه C مطالعه تعریف شدند که تعداد آنها ۴۹ نفر بودند.

نتایج مطالعه:

در این مطالعه بالینی ۱۰۹ بیمار مرد هموفیلی A دارای مهار کننده به مدت ۲۴ هفته (۶ ماه) مورد ارزیابی قرار گرفتند که نتایج به دست آمده به قرار زیر است:

۸۷ درصد کاهش میزان خونریزی های سالیانه در گروه A که به صورت پروفیلاکسی از داروی Emicizumab استفاده می کردند دیده شد که میزان قابل توجه و چشمگیری در این گروه از بیماران می باشد. ۶۳ درصد از بیماران گروه A که به صورت پروفیلاکسی از داروی امیسوزوماب استفاده می کردند هیچ گونه خونریزی از آنها در طول مطالعه گزارش نشد که این تعداد ۲۲ بیمار از کل ۳۵ بیمار گروه A را شامل می شود.

۷۹ درصد کاهش میزان خونریزی در بیماران گروه C دیده شد که قبلاً از داروهای میانبر به صورت پروفیلاکسی استفاده می کردند و در طول مطالعه روی رژیم پروفیلاکسی با داروی Emicizumab قرار گرفتند.

۱۹۸ مورد عوارض جانبی از ۱۰۳ بیماری که به صورت پروفیلاکسی از داروی امیسوزوماب استفاده می کردند گزارش شد که درصد قابل توجهی از این عوارض جانبی مربوط به واکنش به محل تزریق زیرجلدی بود. ۲ مورد عارضه ایجاد لخته نابجا و التهاب عروق کوچک به دنبال تشکیل لخته گزارش شد که این عوارض مربوط به بیمارانی بود که تزریق های مکرر از کمپلکس پروترومبین فعال شده (فایا) برای کنترل حملات خونریزی شان داشتند.

هیچ گونه آنتی بادی مهارکننده ای بر علیه فعالیت دارو در بیماران مورد مطالعه گزارش نشد.

نتیجه گیری:

بر اساس نتایج به دست آمده از مطالعه بالینی HAVEN 1 می توان این طور نتیجه گیری کرد که استفاده از داروی Emicizumab به صورت پروفیلاکسی در بیماران هموفیلی A دارای مهارکننده، می تواند میزان خونریزی ها را به صورت قابل توجهی در مقایسه با بیماران بدون دریافت این رژیم درمانی، کاهش دهد.

اما و اگر های تولید داروی جدید در سایه یک خبر! رقابت های تجاری یا حقیقت؟

UPDATED: Hemophilia groups warned of 5 deaths among patients taking Roche's big new blockbuster Hemlibra

By JOHN CARROLL — on March 27, 2018
05:39 PM EDT
Updated: March 28, 2018 05:39 AM

The Hemophilia Federation of America has put out a statement noting that Roche alerted them of the deaths of 5 patients who were taking their new drug Hemlibra, calculated to be the biggest single drug launch of the year. And according to Roche, the alert followed the death of two patients earlier this year, which they just learned about.

در حالیکه اخذ مجوز FDA خیال همه را از این کشف جدید دارویی راحت کرده بود و تایید اتحادیه اروپا نیز آن را کامل کرد. انتشار خبری مبنی بر فوت ۵ بیمار مصرف کننده دارو این موفقیت ها را در هاله ای از ابهام فرو برده است. در حالیکه در خبر ها فوت این ۵ بیمار تایید شده است، اما کمپانی رش این

مرگ ها را بی ارتباط با مصرف دارو می داند. باید صبر کنیم تا روشن شود آیا فوت تاسف آور ۵ بیمار ربطی به مصرف این دارو دارد یا خیر؟ یکی از گمانه ها رقابت تجاری بین شرکت ها است. بی تردید تولید این دارو تهدید بسیار جدی برای منافع تولیدکنندگان دیگر دارو های مهار کننده است. باید فعلاً اخبار را رصد کنیم و از فدراسیون جهانی هموفیلی استعلام بگیریم.

فدراسیون جهانی هموفیلی:

از "مرا هم بشمارید" تا جمع آوری اطلاعات آنلاین

2008 – 2018



ابتکار مهم فدراسیون جهانی برای کمک به درمان بیماران با اختلال انعقادی بر اساس استاندارد های جهانی

فدراسیون جهانی هموفیلی در نهایت مسرت روز ۲۶ ژوئن ۲۰۱۸ مصادف با ۵ تیر ماه ۱۳۹۷ روز ورود اطلاعات اولین بیمار مبتلا به بیماری خونریزی دهنده اعلام کرد. این فدراسیون جهانی از کلیه مبتلایان به انواع اختلالات انعقادی در خواست نمود با هدف درمان همه بیماران بر اساس استاندارد های جهانی تلاش نمایند. این سامانه جمع آوری اطلاعات را با بهره مندی از کمک بیمار، پزشک بیمار، مرکز درمانی و انجمن ملی هموفیلی در هر کشوری جمع آوری و در سایتی که تحت وب و قابل دسترس در سراسر جهان است ثبت می نمایند. این اولین اقدام مهم جهانی برای جمع آوری اطلاعات با استاندارد های بین المللی است. فدراسیون جهانی هموفیلی این اقدام را با همکاری انیستیتوی کارولینسکا و موسسه WBDR اجرا خواهد گردید. فدراسیون جهانی هموفیلی انتظار دارد در یک برنامه ۵ ساله حداقل اطلاعات درمانی ده هزار بیمار هموفیلی را از ۵۰ کشور در این سایت ثبت نماید. از آنجا که این فدراسیون جهانی مشاور سازمان بهداشت جهانی در حوزه اختلالات انعقادی است این برنامه را با همکاری دولت ها و انجمن های ملی عضو اجرایی خواهد نمود.



2008

میهمانی خیره پایان سال کانون هموفیلی ایران

به همت سفیر دوستی کانون

با حضور پدر جامعه هموفیلی ایران استاد علا



امسال میهمانی خیره پایان سال کانون هموفیلی ایران که به همت سفیر دوستی کانون جناب آقای دکتر کاظمی دینان در رستوران تماشا با حضور اعضای هیات مدیره و مدیرعامل کانون در تاریخ سوم بهمن سال ۱۳۹۶ برگزار گردید. این میهمانی در سایه تلاش های سفیر کانون با میزبانی شرکت کرمان تابلو با حضور جمعی از هنرمندان آقایان بهروز افخمی، مجید مظفری و خانمها شهره سلطانی، پوری بنایی، تینا پاکروان، مرجان شیر محمدی برگزار گردید. در این مراسم شرکت های نیکوکار بخش خصوصی از جمله شکوفا فیلم، فاراتل، پارسیان تجارت، همکاران سیستم، صنایع غذایی گلها، صنایع برق، شرکت رامک خودرو، شرکت پایه سازه پاسارگاد، نمیروز فیلم، سلامت برکت، بانک آینده، مهتاب پیام اکباتان نمایندگان شرکت های دارویی آریو ژن فارمد، کار و اندیشه، رش، فایزر و خیرین ارجمند خانمها دکتر ماریا خزایی، فرناز مفید، سیمین تاج رضایی، میرزازاده، اعظم السادات آقای پور، آقایان تربتی، عابدینی، دکترعلی حسینی، دکتر امین سارنک، علی امین و خیره فضلی همچنین از سازمان وظیفه عمومی میهمان ما بودند. لازم است از مشارکت داوطلبانه خانمها آرزو جعفر پور و زهره السادات هاشمی به عنوان مجریان برنامه آقای ترکشوند هنرمند پیانیست، و عکاسان هنرمند برنامه صمیمانه تشکر می نمایم. در این مراسم چند تابلو جهت فروش به قیمت همت عالی ارایه گردیده بود که زیباترین تابلو هدایی یک مهاجر افغان بود که توسط آقای شیرازی به کانون اهدا و در میهمانی به نفع موسسه فروخته شد. شب این میهمانی مصادف با روز پرستار بود که از پرستاران دعوت شده از سه مرکز درمانی هموفیلی در تهران با اهدا هدیه ای تقدیر و تشکر گردید.



فصلنامه سراسری کانون هموفیلی ایران

صاحب امتیاز: کانون هموفیلی ایران

مدیر مسئول و سردبیر: دکتر سید علی طباطبایی مشهدی

مدیر تحریریه: احمد قوبدل

تلفن: ۰۲۱۶۶۴۱۹۴۱۶ - ۰۲۱۶۶۴۰۸۵۳۳

آدرس دفتر نشریه: خیابان وصال شیرازی نرسیده به طالقانی - کوچه عباس شفیعی
پلاک ۳ - طبقه اول