



Dragi prijatelji,

Obveščam vas, da je prišlo do pomembnega koraka v upravljanju pomanjkanja Cerezyrna, ki je zelo prizadelo gaucherjeve bolnike po vsem svetu.

Evropska delovna skupina za gaucherjevo bolezen (EWGGD) se je 10. septembra sestala na nujnem sestanku v kraju Bad Honnef (Nemčija). Sestanek je bil sklican na željo prof. Hansa Aerts, predsednika EWGGD, članov odbora Evropske zveze Gaucher (EGA) ter številnih članov in zdravnikov skupine EWGGD. Srečanje sta vodila in koordinirala prof. Timothy Cox (podpredsednik EWGGD) in prof. Carla Hollak, gostitelj sestanka pa je bil prof. Stephan vom Dahl s podporo Nemške delovne skupine za prirojene metabolne motnje pri odraslih.

Evropski zdravniki so predstavili podrobnosti v zvezi z dostopnostjo zdravljenja v njihovih državah, farmacevtska podjetja (Genzyme, Protalix, Shire in Actelion) pa so predstavila najnovejše informacije o svojih proizvodih.

Vsi so se strinjali, da je potrebno razviti evropsko strategijo za upravljanje trenutne krize. Glavna zaključka sestanka sta bila:

1. Razvoj programa »EWGGD Cerezyme Emergency Treatment Protocol«, ki je namenjen bolnikom tipa I in III, ki imajo v času pomanjkanja Cerezyrna visoko tveganje za napredovanje bolezni ali nastanek zapletov. Posebna zaloga Cerezyrna bo na voljo najbolj kritičnim nezdravljenim bolnikom znotraj Evrope. Zanje lahko zdravniki izpolnijo posebno vlogo, ki jo bo nato pregledal poseben odbor, sestavljen iz evropskih strokovnjakov za gaucherjevo bolezen. Podrobnosti so v prilogi.
2. Objava članka v reviji "Blood Cells, Molecules and Diseases" v naslednjih dveh tednih. V članku bodo predstavljena glavna spoznanja srečanja, priporočila glede identifikacije in spremljanja bolnikov, ogroženih zaradi zmanjšanja terapije, predlogi za nepristransko razdelitev preostalega Cerezyrna in dostopnost do ostalih možnih načinov zdravljenja, vključno s tistimi, ki so zaključili fazo 3 kliničnih raziskav, a še niso bili odobreni. Ko bo članek izšel, ga bomo objavili tudi na tej spletni strani.

Pomena tega srečanja EWGGD in njegovih zaključkov ne smemo podcenjevati. Delovna skupina EWGGD ima dolgo zgodovino dejavnosti v dobro gaucherjevih bolnikov in strokovnjaki so na tem srečanju osnovali konkretne korake z namenom v tem težkem času pomagati najbolj kritičnim bolnikom znotraj Evrope.

Vaš

Jeremy Manuel
Predsednik Evropske zveze Gaucher

V slovenščino prevedla I. Žnidar.