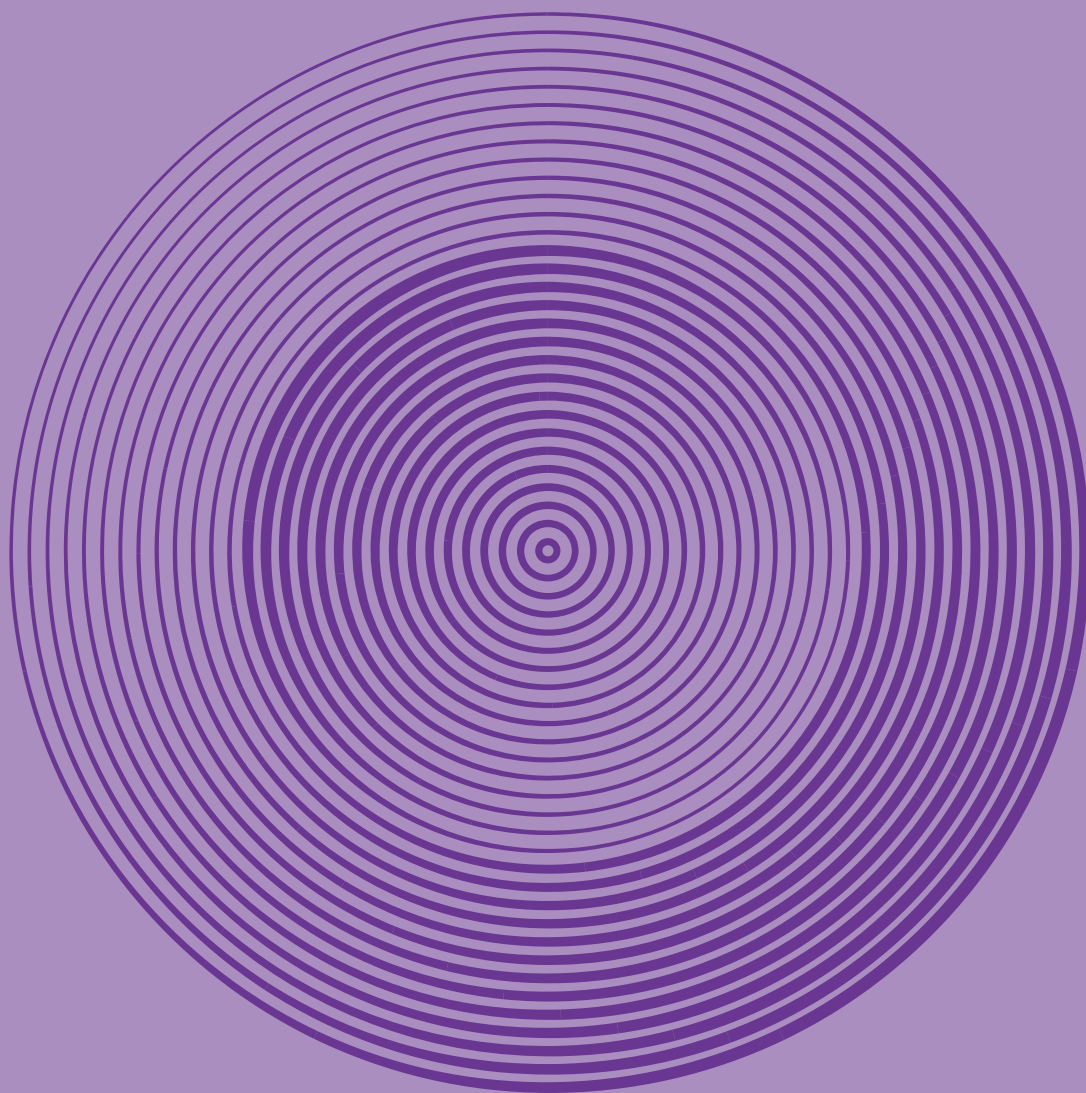




RAPORT 2026



Hemofilia w Polsce: doświadczenia pacjentów. Leczenie, decyzje i moment zmiany

Postawy wobec terapii podskórnej w leczeniu hemofilii.
Badanie jakościowe pacjentów i opiekunów.

© Hematoonkologia.pl Agnieszka Giannopoulos, 2026. Wszelkie prawa zastrzeżone.

Raport jest udostępniany wyłącznie w celach informacyjnych, edukacyjnych, eksperckich, rzeczniczych i innych zgodnych z jego przedmiotem, celem i intencją autora. Jakiegokolwiek korzystanie z raportu, jego treści, fragmentów, danych, wniosków, rekomendacji lub opracowań pochodnych w zakresie wykraczającym poza powyższe cele wymaga uprzedniej, pisemnej zgody właściciela praw autorskich.

W szczególności zabronione jest, bez uprzedniej pisemnej zgody właściciela praw autorskich, kopiowanie, utrwalanie, zwielokrotnianie, rozpowszechnianie, przedruk, publikowanie, publiczne udostępnianie, opracowywanie, adaptowanie, modyfikowanie, tłumaczenie, wykorzystywanie lub włączanie całości albo części raportu do innych materiałów, w tym materiałów promocyjnych, reklamowych, sprzedażowych, politycznych, kampanijnych, fundraisingowych, lobbingowych, komercyjnych lub wizerunkowych.

Niedopuszczalne jest wykorzystywanie raportu, jego fragmentów, danych, cytatów, wniosków lub rekomendacji w sposób sprzeczny z celem raportu, intencją autora, kontekstem wypowiedzi lub interesem środowiska, którego raport dotyczy, w szczególności w sposób wybiórczy, wyrwany z kontekstu, wprowadzający w błąd, przeinaczający znaczenie, zakres lub wagę ustaleń raportu albo mogący sugerować poparcie, rekomendację, akceptację lub patronat autorów, wydawcy, partnerów, respondentów, ekspertów lub środowiska pacjenckiego dla jakiegokolwiek podmiotu, produktu, usługi, decyzji, kampanii, stanowiska, działania lub zaniechania, jeżeli takie poparcie, rekomendacja, akceptacja lub patronat nie zostały udzielone uprzednio w formie pisemnej.

Każde cytowanie raportu lub odwoływanie się do jego treści wymaga podania pełnego źródła, w tym tytułu raportu, autorstwa lub wydawcy, roku publikacji oraz – o ile ma zastosowanie – numeru strony lub zakresu stron. Cytowanie lub przywoływanie raportu musi odbywać się z zachowaniem sensu, celu i kontekstu cytowanej wypowiedzi, danych, wniosków lub rekomendacji.

Postanowienia niniejsze nie ograniczają uprawnień wynikających z bezwzględnie obowiązujących przepisów prawa, w szczególności przepisów o dozwolonym użytku. Korzystanie z raportu w ramach dozwolonego użytku nie może jednak naruszać integralności treści, dobrego imienia autora, wydawcy, partnerów, respondentów ani prowadzić do wprowadzenia odbiorców w błąd co do celu, znaczenia lub źródła raportu.

Wszelkie wątpliwości dotyczące dopuszczalnego sposobu wykorzystania raportu należy kierować do wydawcy przed planowanym wykorzystaniem raportu lub jego jakiegokolwiek części.

Spis treści

Wprowadzenie	04
ROZDZIAŁ 1. Podstawowe założenia badania	05
ROZDZIAŁ 2. Życie z hemofilią z perspektywy badanych	12
ROZDZIAŁ 3. Terapie i ich postrzeganie	28
ROZDZIAŁ 4. Opieka medyczna w hemofilii w Polsce	41
ROZDZIAŁ 5. Oczekiwania wobec systemu, szkoły i społeczeństwa	49
Podsumowanie	57
Historie pacjenckie	58

Wprowadzenie

Poniższy raport prezentuje wyniki badania jakościowego zrealizowanego wiosną 2026 roku wśród osób żyjących z hemofilią A: dorosłych pacjentów oraz rodziców i opiekunów dzieci chorujących na hemofilię.

Badanie przeprowadzono w szczególnym momencie, gdy krajobraz leczenia hemofilii w Polsce zmienia się szybciej niż kiedykolwiek za sprawą nowych terapii, ale też rosnącej siły środowiska pacjenckiego, które od lat konsekwentnie walczy o lepszy dostęp do leczenia i realną zmianę systemową. Efekty tej walki są widoczne, choć tempo zmian wciąż pozostaje niewystarczające wobec tego, czego pacjenci potrzebują tu i teraz.

Szczególnym tłem prowadzonych rozmów jest pojawienie się terapii podskórnej. W Polsce emicizumab, przeciwciało monoklonalne naśladujące funkcję czynnika VIII, podawane podskórnie nawet raz w miesiącu, jest od października 2025 roku dostępny w ramach programu lekowego dla dzieci i młodzieży do 18. roku życia z ciężką postacią hemofilii A.¹ Wielu dorosłych pacjentów miało szansę doświadczyć tej terapii w ramach badań klinicznych. Dziś czekają na objęcie leczenia refundacją, której nadal nie mają. Polska pozostaje ostatnim krajem w Unii Europejskiej bez refundacji emicizumabu dla dorosłych pacjentów niepowikłanych inhibitorem.²

Zebrany materiał pokazuje doświadczenie życia z hemofilią na różnych etapach i w różnych realiach leczenia, obejmując zarówno codzienność organizowaną wokół terapii, jak i emocje, decyzje oraz sposób myślenia o przyszłości. Z rozmów jednoznacznie wynika, że dostęp do nowoczesnego leczenia zmienia nie tylko sposób podawania leku, ale też całe doświadczenie życia z chorobą: poziom bezpieczeństwa, przewidywalności i poczucia kontroli nad codziennością. Dla wielu pacjentów jednak zmiana ta pozostaje nadal poza zasięgiem, budząc lęk, obawy, a niekiedy też frustrację i poczucie nierówności.

To napięcie między możliwościami, które już istnieją, a ograniczeniami do ich dostępu wybrzmiewa w historiach uczestników badania szczególnie mocno. Najlepiej obrazuje je jeden z listów nadesłanych w ramach zadania projekcyjnego, który stał się dla nas naturalnym punktem wyjścia do tego raportu.

ROZDZIAŁ 1.

Podstawowe założenia badania

Postawy wobec terapii podskórnej w leczeniu hemofilii.
Badanie jakościowe pacjentów i opiekunów.

RAPORT **2026**

” Od 1988 roku choruję na hemofilię A, postać ciężką, niepowikłaną inhibitorem. W swoim życiu poznałem różne oblicza leczenia hemofilii. Pierwszy był krioprecypitat – nieoczyszczony preparat krwiopochodny, pozyskiwany z osocza, którego przyjmowanie poskutkowało u mnie zarażeniem wirusem HCV. Później, lwiał część życia przyjmowałem czynnik VIII, a od końca 2016 roku do grudnia 2025 roku brałem udział w badaniu klinicznym i przyjmowałem emicizumab podskórnie. Najpierw przez kilka lat w częstotliwości raz na dwa tygodnie, przez kolejne lata - raz w miesiącu.

Te ostatnie lata mojego życia, od 2016, kiedy zacząłem brać emi, były jak ze snu. Całe życie marzyłem o czymś takim i nigdy do końca nie wierzyłem, że coś takiego będzie możliwe. Hemofilia zawsze była dla mnie przekleństwem. Nienawidziłem jej. Wklucia i wylewy, niezliczone kartony leków, dopasowanie trybu dnia do dożylnego podania czynnika. **Prawie dekada na emicizumabie odmieniła wszystko. Hemofilia zniknęła. Byłem wolny. Mogłem się spakować w plecak i lecieć na drugi koniec świata pod namiot. Zapomniałem o hemofilii. Żyłem tak, jak zawsze tego chciałem.** Od 2016 roku czynnik brałem dwa razy – osłonowo, przy usuwaniu zębów. (...)

W grudniu 2025 roku usłyszałem wyrok – to ostatnia dostawa, koniec. Trudno mi opisać bezradność, jaką czuję, jestem w kropce i nie wiem co dalej.

Dorosły pacjent z hemofilią A, uczestnik badania klinicznego

1.1 Hemofilia A: charakterystyka choroby i ramy systemowe

Na hemofilię A i B choruje w Polsce około 3 000 osób – razem z pokrewnymi skazami krwotocznymi liczba ta sięga około 6 000 pacjentów.³ Hemofilia A, będąca przedmiotem niniejszego badania, dotyczy 1 na 5 000 żywych urodzeń płci męskiej i stanowi 80–85% wszystkich przypadków hemofilii.⁴ To choroba rzadka w rozumieniu epidemiologicznym. Jej konsekwencje wykraczają jednak daleko poza sam proces leczenia i obejmują niemal tak samo mocno zdrowotne, społeczne oraz ekonomiczne aspekty życia pacjentów i ich rodzin.

Nieleczona lub leczona niewystarczająco hemofilia A prowadzi do nawracających wylewów do stawów i tkanek miękkich, artropatii hemofilowej, trwałej niepełnosprawności ruchowej i wieloletnich hospitalizacji. W Polsce Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię funkcjonuje od 2005 roku, profilaktyka dla dzieci – od 2008 roku,⁵ a w 2024 roku dzieci uzyskały dostęp do emicizumabu – terapii podskórnej podawanej raz w miesiącu. Leczenie prowadzone jest dziś w 27 ośrodkach hematologicznych w całym kraju. Dorośli pacjenci na emicizumab czekają nadal, jako jedyni w Unii Europejskiej.

Te daty mają w tym badaniu kluczowe znaczenie. Pacjenci, którzy wchodzili w dorosłość przed erą powszechnej profilaktyki, żyją dziś z jej konsekwencjami we własnych ciałach: endoprotezami, przykurczami, orzeczeniami o niezdolności do pracy. Ci, którzy dorastali już w erze profilaktyki czynnikiem VIII, mają inne ciała i inne punkty odniesienia. A dzieci leczone dziś emicizumabem być może nie będą w ogóle rozumieć pytania o to, czy hemofilia ogranicza życie. **Trzy pokolenia, ta sama diagnoza, trzy różne rzeczywistości – to jedno z najsilniejszych napięć analitycznych zebranego materiału.**

1.2 Cel badania i pytania badawcze

Jak wygląda życie z hemofilią A z perspektywy samych pacjentów i ich rodziców? Jakie emocje, ograniczenia i adaptacje towarzyszą obecnej terapii? W jaki sposób choroba organizuje przestrzeń rodzinną, zawodową, społeczną?

Celem badania było pogłębione zrozumienie doświadczeń, emocji, postaw i barier związanych z leczeniem hemofilii z perspektywy zarówno dorosłych pacjentów, jak i rodziców chorujących dzieci, w kontekście pojawienia się terapii podskórnej.

Co badani wiedzą o nowej terapii, skąd czerpią informacje i jakie mają wobec niej oczekiwania? Jakie korzyści dostrzegają, co wywołuje niepewność, a co opór?

Interesowało nas nie tylko samo nastawienie do nowego leczenia, ale również szerszy kontekst życia z chorobą: codzienność organizowana wokół terapii, wcześniejsze doświadczenia leczenia, relacje z systemem ochrony zdrowia oraz sposób myślenia o bezpieczeństwie i przyszłości.

Kto i w jaki sposób podejmuje decyzje dotyczące leczenia? Jakie czynniki hamują lub opóźniają rozważanie zmiany terapii? Co musiałoby się zmienić, żeby decyzja o przejściu na nowe leczenie stała się możliwa?

Badanie koncentrowało się na mechanizmach stojących za gotowością lub ostrożnością wobec nowych form leczenia. Analizowaliśmy, jaką rolę odgrywają w tym wcześniejsze doświadczenia pacjentów, poziom wiedzy o terapii podskórnej, relacje z lekarzami oraz indywidualne i rodzinne sposoby podejmowania decyzji dotyczących leczenia.

Jakie źródła informacji są traktowane jako wiarygodne? Jakiego tonu i formy przekazu oczekują badani? Co w komunikacji o leczeniu buduje poczucie bezpieczeństwa, a co je podważa?

Istotnym obszarem analizy było również to, jak pacjenci i ich bliscy mówią o hemofilii – jak opisują chorobę, leczenie, ograniczenia i oczekiwania wobec przyszłości.

Jak powinna wyglądać kampania informacyjna, żeby była dla pacjentów i rodziców rzeczywiście użyteczna? Jakich treści i narracji oczekują – a jakich zdecydowanie nie chcą?

Pozwoliło to nie tylko lepiej zrozumieć, jak wygląda życie z hemofilią i czego naprawdę potrzebują pacjenci oraz ich rodziny, ale też uchwycić emocjonalne i społeczne konteksty towarzyszące zmianie terapii i sformułować rekomendacje komunikacyjne dotyczące nowych możliwości leczenia.

Nowe leczenie to nie tylko kwestia medyczna. To decyzja osadzona w doświadczeniach, emocjach i poziomie zaufania do systemu, który – jak pokazuje zebrany materiał – bywa zawodny.

Z historii uczestników badania wyłania się obraz złożony, ale spójny. Obraz, który pomaga lepiej zrozumieć, czego naprawdę potrzebują pacjenci i ich bliscy – i dlaczego warto ich słuchać.

1.3 Metodologia

Badanie miało charakter jakościowy i koncentrowało się na doświadczeniu życia z hemofilią z perspektywy pacjentów oraz rodziców chorujących dzieci. Zastosowane metody miały umożliwić uchwycenie nie tylko opinii dotyczących leczenia, ale również emocji, codziennych doświadczeń i mechanizmów wpływających na podejmowanie decyzji terapeutycznych. Całość oparto na dwóch uzupełniających się komponentach badawczych.

Zadanie projekcyjne. Przed przystąpieniem do wywiadów uczestnicy zostali poproszeni o napisanie listu do hipotetycznego Zespołu ds. Hemofilii przy Ministerstwie Zdrowia. Forma petycji pozwala na naturalne wyrażenie frustracji, postulatów i wartości bez narzucania kategorii przez badacza. Zebrane materiały zostały poddane analizie treści, a wnioski posłużyły jako punkt wyjścia do każdej z rozmów. Materiał uzupełniły obszerne wypowiedzi pisemne nadesłane przez dwóch uczestników z Warszawy, włączone do analizy jako dodatkowe źródło perspektyw.

Wywiady pogłębione. Drugi komponent stanowiły wywiady w dwóch formatach. Diady z rodzicami – prowadzone jednocześnie z obojgiem rodziców lub rodzicem i opiekunem – pozwoliły uchwycić dynamikę decyzyjną w rodzinie: zbieżności, rozbieżności, wzajemne uzupełnianie perspektyw. Indywidualne wywiady pogłębione z dorosłymi pacjentami prowadziły do otwartego mówienia o kwestiach rzadziej ujawnianych w obecności osób bliskich: własnym ciele, lękach, relacji z chorobą, poczuciu autonomii w decyzjach terapeutycznych. Czas trwania wywiadów wynosił od 1,5 do 2,5 godziny.

1.4 Dobór próby

Dobór próby miał charakter celowy i został zaprojektowany tak, aby uwzględnić możliwie różnorodne perspektywy pacjentów oraz rodziców chorujących dzieci. Kluczowe było ujęcie różnych etapów życia, odmiennych historii leczenia oraz sytuacji wpływających na sposób funkcjonowania z chorobą i podejmowania decyzji terapeutycznych. Próba została również zróżnicowana pod względem miejsca zamieszkania. W badaniu uczestniczyły osoby z dużych miast, mniejszych miejscowości i wsi. Różnice te wyraźnie wpływają na codzienność leczenia, dostępność wsparcia medycznego, organizację dojazdów oraz poczucie bezpieczeństwa związane z opieką specjalistyczną.

Dorośli pacjenci – 6 IDI. Badaniem objęto mężczyzn z ciężką postacią hemofilii A w dwóch grupach wiekowych: trzech uczestników do 30. roku życia, wychowanych w erze profilaktyki dożylniej, oraz trzech mężczyzn w wieku 30–59 lat, których biografie obejmują kolejne epoki polskiej hematologii – od ograniczonego dostępu do czynnika i zakażeń preparatami osocзовymi po współczesne standardy profilaktyki.

Rodzice dzieci chorych – 9 diad. Badaniem objęto rodziców i opiekunów dzieci z ciężką postacią hemofilii A w trzech grupach wiekowych: rodziców dzieci do 3,5 roku, w wieku szkolnym (ok. 11–12 lat) oraz nastolatków w wieku 14–17 lat – na progu samodzielności terapeutycznej i dorosłości, za którą system oferuje inne warunki leczenia. **W dwóch wywiadach udało się porozmawiać również z samymi chorującymi nastolatkami.**

1.5 Uwagi metodologiczne

Wyniki badania nie mają charakteru reprezentatywnego i nie służą określaniu skali poszczególnych postaw czy opinii w całej populacji pacjentów z hemofilią A w Polsce. Celem analizy było uchwycenie mechanizmów, sposobów myślenia oraz napięć towarzyszących doświadczeniu choroby i leczenia. Wartość zebranego materiału wynika z jakości prowadzonych rozmów oraz powtarzalności wątków. Podobne mechanizmy, emocje i sposoby opisywania doświadczeń pojawiały się u uczestników znajdujących się na różnych etapach życia i funkcjonujących w odmiennych sytuacjach, co pozwoliło sformułować wnioski i rekomendacje dotyczące komunikacji wokół nowych terapii.

Cytaty wykorzystane w raporcie zostały przytoczone z zachowaniem możliwie największej wierności wobec oryginalnych wypowiedzi respondentów, przy minimalnej redakcji koniecznej dla zachowania czytelności tekstu. Wszystkie dane umożliwiające identyfikację uczestników zostały usunięte lub zmienione.

1.6 Jak czytać ten raport

Raport jest zorganizowany w cztery rozdziały tematyczne. Rozdział 2 prowadzi przez doświadczenie życia z hemofilią: od momentu diagnozy, przez codzienność z chorobą, po chwilę gdy dziecko lub pacjent przejmuje odpowiedzialność za własne leczenie. Rozdział 3 przygląda się terapiom i temu, jak je postrzega środowisko – jak oceniane są kolejne generacje leczenia i co terapia podskórna oznacza dla różnych grup pacjentów. Rozdział 4 dotyczy systemu opieki medycznej: tego, co działa, oraz tego, gdzie system zawodzi. Rozdział 5 przynosi głos środowiska w sprawie oczekiwanych zmian – wobec systemu ochrony zdrowia, szkoły i społeczeństwa. Całość uzupełnia aneks z krótkimi historiami uczestników badania – zindywidualizowanymi narracjami, które pokazują, jak te same diagnozy i te same decyzje systemowe przekładają się na konkretne, różne życia.

Z zebranego materiału wyłania się jeden spójny obraz: ludzie, z którymi rozmawialiśmy doskonale wiedzą, czego potrzebują. Wiedzą, co im przeszkadza. Wiedzą, czego się boją. Wiedzą, czego oczekują od lekarza, od systemu, od tych, którzy chcą do nich mówić o nowej terapii. Problem nie leży po ich stronie. Leży po stronie systemu, który albo do nich nie dociera, albo mówi nie tym językiem, albo odpowiada na pytania, których nikt im nie zadał.

Przypisy:

1. Program lekowy B.15 Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B, Ministerstwo Zdrowia, 1 października 2025 r.
2. Roche Polska, Oferta wdrożenia terapii podskórnej dla dorosłych pacjentów z hemofilią A, pacjenci.pl, kwiecień 2026; Dorośli z hemofilią bez refundacji leku podskórnego, Rzeczpospolita, luty 2026.
3. Polskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię, idn.org.pl; Medycyna Praktyczna, Hemofilia – przyczyny, objawy, leczenie
4. Czym jest hemofilia?, hematoonkologia.pl; Roche Polska, Hemofilia – wiedza pacjenta, wiedzapacjenta.roche.pl.
5. Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne 2024–2028, Ministerstwo Zdrowia.

1.7 Kluczowe wnioski z badania

W Polsce coraz wyraźniej rysują się dwie hemofilie: dziecięca i dorosłych. To ta sama choroba, ale dwie różne rzeczywistości. Kluczowy podział w badaniu nie przebiega między grupami wiekowymi, lecz między pokoleniami wychowanymi przed erą profilaktyki i po niej. Pacjenci, którzy dorastali bez profilaktyki, żyją z trwałymi konsekwencjami choroby. Młodsze pokolenie funkcjonuje zupełnie inaczej: hemofilia jest obecna, ale nie definiuje życia. Tę przepaść pogłębiają dziś decyzje refundacyjne. Dzieci mają dostęp do terapii, których dorośli nie otrzymują. Ta sama diagnoza, w zależności od roku urodzenia oznacza coś zupełnie innego.

Wiedza medyczna o hemofilii przepływa sprawnie w ośrodkach specjalistycznych. Poza nimi system nie działa tak dobrze. Pacjenci i rodzice konsekwentnie opisują dwa różne światy: ośrodek referencyjny, gdzie personel wie, co robi, i cała reszta systemu ochrony zdrowia, gdzie wiedza o hemofilii jest szczątkowa lub nieobecna. W sytuacjach nagłych poza macierzystym ośrodkiem to pacjent lub rodzic staje się źródłem wiedzy klinicznej dla personelu medycznego. Karty postępowania bywają ignorowane. Procedury ratunkowe negocjowane. To nie jest zjawisko jednostkowe — to wzorzec powtarzający się niezależnie od regionu, typu placówki i wieku pacjenta. Wiedza specjalistyczna nie przebija się do reszty systemu. To wniosek niekomfortowy dla całego systemu kształcenia medycznego poza ośrodkami referencyjnymi.

System opieki w hemofilii opiera się na zaufaniu do konkretnej osoby, nie do instytucji. Gdy badani mówią o poczuciu bezpieczeństwa, nie mówią o szpitalu ani procedurze. Mówią o konkretnym lekarzu. Mają jego numer prywatny. Wiedzą, że odbierze w nocy. To poczucie bezpieczeństwa jest kruche — znika, gdy ten jeden człowiek odchodzi na emeryturę, zmienia ośrodek albo kończy dyżur. Pacjent jest bezpieczny tak długo, jak długo działa jedna relacja. To nie jest system opieki. To jest sieć zaufania zbudowana wokół (często przeciążonej) jednostki.

Terapia podskórna jako przełom, ale dostęp nierówny i ograniczony. Wśród respondentów, którzy już stosują leczenie podskórne, oceny są jednoznacznie pozytywne: dramatyczna redukcja wylewów, czas podania skrócony z ok. 30 minut do 5 minut, mniejszy ból, większa samodzielność dzieci, więcej „normalności” w codziennym życiu rodziny. Jeden z rodziców opisuje to w liście wprost jako „przepaść” w porównaniu z poprzednim leczeniem. Jednocześnie odczuwalna jest obawa/sentyment za brakiem dostępności tej terapii dla dorosłych pacjentów. Pojawia się to zarówno w rozmowach z dorosłymi mężczyznami, jak i w zadaniach domowych rodziców, którzy myślą o przyszłości swoich dzieci. To kluczowe napięcie do uwzględnienia w komunikacji kampanii.

Terapia podskórna zmienia nie tylko sposób leczenia. Zmienia to, czym hemofilia jest w codziennym życiu. Rozmówcy opisują ją językiem, który nie jest językiem medycznym — mówią o oddechu, o wolności, o tym, że zapomnieli o chorobie. To nie są metafory. To opis realnej zmiany w tym, jak choroba organizuje codzienność. Kiedy lek schodzi z osi czasu z powrotem w tło, hemofilia przestaje być tożsamością i staje się faktem — obecnym, ale nienarzucającym się. Terapia podskórna zmienia narrację o chorobie z narracji zagrożenia w narrację zarządzania.

Rehabilitacja jest w opiece nad hemofilią strukturalnie nieobecna, mimo że jest klinicznie kluczowa. Badani mówią o rehabilitacji jak o czymś, do czego trzeba "trafić". Przez lata część pacjentów była leczona wyłącznie unieruchomieniem, bez żadnej rehabilitacji, co przyspieszało degradację stawów. Fizjoterapeuta wyspecjalizowany w hemofilii jest w Polsce rzadkością.

Wspólnota pacjentów i rodziców uzupełnia to, czego nie dopowiada system. Informacje kliniczne płyną od lekarza prowadzącego. Wiedza o tym, jak żyć z chorobą na co dzień, jak starać się o orzeczenie, jak rozmawiać z dyrektorem przedszkola, jakie świadczenia przysługują, pochodzi od innych rodziców, z grup na Facebooku, ze zjazdów fundacji. Żadna instytucja tej roli nie pełni. Wspólnota wypełnia tę przestrzeń nie dlatego, że chce, ale dlatego, że nie ma innego wyjścia.

Samodzielność w leczeniu domowym to narzędzie przywracające normalność. Rodzice, którzy nauczyli się samodzielnie podawać czynnik, opisują to jako odzyskanie wolności. Ci, którzy tej samodzielności nie mają, jeżdżą do szpitala co dwa dni i planują życie wokół harmonogramu podań. Szkolenie do podań domowych wciąż zależy od ośrodka i od tego, czy pielęgniarka edukacyjna w ogóle istnieje.

Decyzje terapeutyczne w hemofilii w dużej mierze podejmuje urzędnik, nie lekarz. Lekarze prowadzący mogą wnioskować o niestandardowe terapie dla pacjentów, którym standardowe leczenie nie wystarcza, jednak wnioski te często pozostają bez odpowiedzi: ani pozytywnej, ani odmownej. O dostępie do leczenia decydują tabele finansowe, nie stan kliniczny pacjenta. Lekarz prowadzący jest w tym procesie pomijany, choć to on zna historię i potrzeby pacjenta najlepiej.

Hemofilia generuje niewidzialny koszt psychiczny, który nie ma miejsca w systemie opieki. Rodzice opisują stan permanentnej czujności, który nie kończy się nigdy, nawet gdy dziecko śpi, nawet gdy jest na dobrej terapii. Dorośli pacjenci opisują dzieciństwo w izolacji społecznej i niską samoocenę. Żaden z badanych nie miał dostępu do wsparcia psychologicznego jako stałego elementu opieki. Nieadresowane obciążenie psychiczne ma realne konsekwencje kliniczne. Dzieci, które boją się przyznać do urazu, bo boją się zastrzyku, to nie anegdota. To wzorzec.

Orzecznictwo o niepełnosprawności nie uwzględnia epizodycznej natury hemofilii. Choroba objawia się falami: w dniu wylewu jest widoczna i dotkliwa, między epizodami niekoniecznie. Komisje oceniają pacjenta w jednym punkcie czasu, co sprawia, że wynik orzeczenia zależy nie od rzeczywistego obciążenia chorobą, lecz od przypadkowego momentu badania. To strukturalna niesprawiedliwość, która dotyka szczególnie tych, którzy skutecznie adaptują się do życia z chorobą.

Szkola i miejsce pracy to środowiska, w których wiedza o hemofilii jest niewystarczająca. Rodzice regularnie organizują szkolenia dla personelu przedszkoli i szkół z własnej inicjatywy. Dorośli pacjenci często nie ujawniają choroby w miejscu pracy, obawiając się niezrozumienia. Brak wiedzy w tych środowiskach ma wymiar nie tylko społeczny, ale i zdrowotny – gotowość otoczenia do właściwej reakcji w sytuacji nagłej przekłada się bezpośrednio na bezpieczeństwo pacjenta.

ROZDZIAŁ 2.

Życie z hemofilią z perspektywy badanych

Postawy wobec terapii podskórnej w leczeniu hemofilii.
Badanie jakościowe pacjentów i opiekunów.

RAPORT **2026**

2.1 Analiza materiału badawczego



Ta pielęgniarka, która podawała kiedyś mojemu bratu, teraz zna moje dziecko. Mówi: bo wujek jak przychodził, to zawsze albo kulał, albo coś się działo. A u ciebie to nie widać, no bo i była ta profilaktyka. A mój brat – gdzieś tam ma jedną nogę trochę wykrzywioną, mięsień trochę inny.

Ta noga, w którą zawsze miał wylewy jak był mały, jest taka trochę inna już.

Mama 12-letniego chłopca

Hemofilia jest jedną z najdłużej znanych chorób krwi. Jej mechanizm od lat pozostaje niezmienny: niedobór czynnika krzepnięcia sprawia, że krwawienia trudno zatrzymać, a nawracające wylewy – szczególnie do stawów – mogą prowadzić do trwałych uszkodzeń. To, co zmieniło się na przestrzeni ostatnich dekad, to nie sama choroba, ale sposób jej leczenia i doświadczenie życia z nią.

Od preparatów osoczowych podawanych wyłącznie w warunkach szpitalnych, przez czynnik VIII dostępny do stosowania w domu, po nowoczesne leczenie podskórne – każdy z tych kroków oznaczał nie tylko inny lek, ale inne życie. W przypadku hemofilii dostęp do leczenia ma kluczowe znaczenie, bo bezpośrednio przekłada się na sprawność, samodzielność i możliwości funkcjonowania w dorosłości.

To ważny kontekst dla zrozumienia tego, co wyłania się z zebranego materiału. Pokazuje on, że doświadczenie hemofilii nie jest jednorodne, ale silnie zależne od momentu wejścia w system leczenia. Dlatego narracja tego rozdziału prowadzona jest przez dwie perspektywy.

Najpierw oddajemy głos dorosłym pacjentom, których historie obejmują okresy znacznie ograniczonej dostępności terapii i inne realia funkcjonowania z chorobą.

Następnie przechodzimy do rodziców dzieci chorujących dziś na hemofilię, którzy mierzą się z chorobą w nowym kontekście terapeutycznym, choć nadal w ramach systemu, który nie zawsze odpowiada na wszystkie potrzeby.

Obie perspektywy opisują tę samą chorobę, ale pokazują dwa różne sposoby jej doświadczania.

Leczenie hemofilii w Polsce zmieniało się etapami. W 2005 roku powstał Narodowy Program Leczenia Hemofilii, a w 2008 roku uruchomiono program profilaktyczny dla dzieci. Wcześniej profilaktyka nie była prowadzona – chorzy z pokolenia ojców i dziadków często byli niepełnosprawni. W 2024 roku dzieci uzyskały dostęp do emicizumabu – terapii podskórnej podawanej raz w miesiącu. Dorośli pacjenci czekają na nią nadal – jako jedyni w Unii Europejskiej.

Źródło: PAP Zdrowie, 2024; MedExpress, 2024; Ministerstwo Zdrowia

2.2 Charakterystyka uczestników: dorośli pacjenci

” *Nowe preparaty podawane podskórnie powodują, że hemofilik może żyć tak, jak każdy inny zdrowy człowiek. Nie jest inwalidą, nie ma artropatii stawów, pracuje i nie generuje dodatkowych kosztów dla państwa.*

Leki podawane podskórnie są dostępne tylko dla dzieci do 18. roku życia, a potem wracamy do inwalidztwa. To jest bez sensu.

Dorosły pacjent, 59 lat

Dorośli rozmówcy to mężczyźni w wieku od dziewiętnastu do niemal sześćdziesięciu lat. Najstarsi pamiętają krioprecypitat i szpital jako stały punkt tygodniowego kalendarza i noszą w ciałach konsekwencje tamtych lat: artropatie, endoprotezy, orzeczenia o niezdolności do pracy. Najmłodsi dorośli badani dorastali już z profilaktyką i wchodzą w dorosłość bez tych śladów. Dla nich hemofilia to regularny zastrzyk i ostrożność, nie kalectwo.

Ich stosunek do choroby jest głęboko osadzony w doświadczeniu. Ci starsi nauczyli się z nią żyć w warunkach, które dziś uznalibyśmy za niewystarczające, i wypracowali strategie będące dowodem zaradności, ale też świadectwem luk systemu. Młodszy mają inne ciała i inne punkty odniesienia, ale podobne pytanie: co będzie, gdy skończy się to, co działa.

Część dorosłych respondentów uczestniczyła lub uczestniczy w badaniach klinicznych terapii podskórnej. Ich perspektywa, zestawiona z doświadczeniem tych, którzy na dostęp do nowego leczenia wciąż czekają, tworzy w zebranych materiale jedno z najsilniejszych napięć.

Niezależnie od wieku i historii leczenia, dorośli rozmówcy mają ze sobą coś wspólnego: wszyscy doskonale znają własne ciało. Wiedzą, kiedy zaczyna się wylew, zanim pojawi się obrzęk. Wiedzą, jak rozmawiać z hematologiem, czego się domagać i jak to uzasadnić.

Ich wiedza nie jest przypadkowa – to efekt lat chorowania w systemie, który nie zawsze dawał im inne wyjście niż samodzielność. I choć stanowi źródło realnej podmiotowości, jest też dowodem na to, że ta samodzielność nie była wyborem. Była odpowiedzią na system, który zbyt często zostawiał ich samym sobie.

2.3 Charakterystyka uczestników: rodzice dzieci z hemofilią

” Hemofilia dla rodzica to ogromne obciążenie psychiczne i fizyczne, bo rodzic musi być w stałej gotowości. Trudne jest wyważenie między bezpieczeństwem a normalnym dzieciństwem.

Z drugiej strony chce się, żeby nasze dzieci żyły normalnie, bez wyróżniania się na tle rówieśników, żeby miały życie bez jakichkolwiek granic.

Mama dwóch chłopców z hemofilią

Wśród uczestników znaleźli się rodzice dzieci w różnym wieku: od niemowląt po siedemnastolatków stojących na progu dorosłości. Część z nich z hemofilią zetknęła się po raz pierwszy w życiu: diagnoza dziecka była zdarzeniem bez kontekstu, bez punktu odniesienia. Inni dorastali w jej cieniu: brat, ojciec, dziadek. Dla nich ta sama diagnoza była szokiem, ale nie nieznanym.

Ich podejście do choroby jest silnie kształtowane przez etap, na którym się znajdują. Rodziny z najmłodszymi dziećmi są w trybie nauki i czujności, każdy siniak czytany jak sygnał alarmowy, każde podanie to jeszcze niepewna rutyna. Rodziny z dziećmi w wieku szkolnym zdążyły już zbudować wokół choroby jakąś codzienność, ale wchodzi w nowe wyzwania: szkoła, rówieśnicy, rosnąca samodzielność dziecka. Rodzice nastolatków myślą o granicy osiemnastych urodzin i o tym, co ta granica oznacza dla leczenia, które do tej pory działało.

Niezależnie od etapu, w którym się znajdują, łączy ich jedno: hemofilia nie jest dla nich tylko diagnozą medyczną. Jest organizatorem codzienności, wyznacza rytm dnia, kształtuje decyzje zawodowe, ogranicza wyjazdy, definiuje relacje z otoczeniem. Wielu rodziców zrezygnowało z pracy lub ograniczyło ją, żeby być zawsze pod telefonem.

Wielu przez lata nigdzie nie wyjeżdżało, bo nie wiedzieli, kto poda czynnik w obcym mieście. I wszyscy, bez wyjątku, mówią o tym samym pragnieniu: żeby ich dziecko mogło być po prostu dzieckiem.

To, co łączy tę grupę ponad wiek dzieci i historię choroby, to nie strach i nie zmęczenie, choć jedno i drugie jest obecne. To bardzo konkretna, codzienna determinacja, żeby choroba nie była ostatnim słowem.

2.4 Kluczowe osie różnicujące doświadczenie hemofilii

Analiza zebranego materiału przyniosła zaskakujący wniosek: to nie wiek ani ciężkość choroby najsilniej różnicują doświadczenie hemofilii. Okazało się, że ważniejsze są trzy inne wymiary – era leczenia, w której ktoś dorastał, rodzinna historia choroby oraz miejsce zamieszkania. To one w dużym stopniu decydują o tym, czym hemofilia jest w czyimś życiu.

Granica doświadczenia: przed i po erze profilaktyki. Najważniejszy podział ujawniony w badaniu nie przebiega między dorosłymi a dziećmi, ale między pokoleniami wychowanymi przed i po wprowadzeniu powszechnej profilaktyki. Pacjenci, którzy dorastali bez profilaktyki, często żyją dziś z trwałymi konsekwencjami choroby, zarówno zdrowotnymi, jak i społecznymi. Młodsze pokolenie funkcjonuje w zupełnie innej rzeczywistości: hemofilia jest obecna, ale w znacznie mniejszym stopniu definiuje ich codzienność. Ta sama choroba przybiera dwa różne znaczenia: od doświadczenia ograniczeń i ich konsekwencji po doświadczenie kontrolowanej, oswojonej codzienności.

Rodzinna historia choroby jako punkt startu. Wyraźnie rysuje się podział między tymi, dla których hemofilia pojawiła się nagle i bez kontekstu, a tymi, którzy dorastali w jej obecności, obserwując chorobę u ojca, brata czy dziadka. W drugim przypadku diagnoza nie jest początkiem od zera, ale wejściem w znany już świat: z gotową wiedzą, schematami działania i emocjonalnym punktem odniesienia. Dla rodzin bez wcześniejszych doświadczeń diagnoza oznacza konieczność szybkiego uczenia się wszystkiego w praktyce, często w sytuacji wysokiego napięcia i niepewności. Różnica między oswojeniem a zaskoczeniem okazuje się jednym z istotnych czynników wpływających na sposób przeżywania choroby, podejmowania decyzji oraz poruszania się w systemie leczenia.

Miejsce zamieszkania jako realny wyznacznik dostępu do leczenia. W doświadczeniach badanych widać, że miejsce zamieszkania nie jest tylko tłem, ale jednym z głównych czynników kształtujących życie z hemofilią. Ta sama choroba wygląda inaczej w dużym mieście, a inaczej w małej miejscowości oddalonej od ośrodka hematologicznego. Różnice przekładają się na codzienność: czas i koszty dojazdów, dostępność pomocy w sytuacjach nagłych oraz organizację leczenia. Tam, gdzie ośrodek jest blisko, pojawia się większe poczucie bezpieczeństwa. W mniejszych miejscowościach dominuje konieczność samodzielnego radzenia sobie i stałego planowania. W efekcie geografia staje się wymiarem nierówności, który wpływa nie tylko na dostęp do leczenia, ale też na poczucie bezpieczeństwa i jakość życia.

W Polsce coraz wyraźniej rysuje się podział na „hemofilię dziecięcą” i „hemofilię dorosłych”. To ta sama choroba, ale funkcjonująca w dwóch różnych rzeczywistościach dostępu do leczenia.

2.5 Historia dorosłych: **diagnoza i początek choroby**

W historiach najstarszych pacjentów diagnoza nie jest początkiem leczenia, ale momentem wejścia w system, który nie potrafił jeszcze tej choroby realnie zaopiekować. Brak informacji, brak prowadzenia, brak wsparcia sprawiał, że to nie diagnoza porządkowała doświadczenie: tylko kolejne zdarzenia i powikłania uczyły, czym jest hemofilia.

” *Listonosz przywiózł ten list i pamiętam ten dzień, jaki był słoneczny. Mama płakała, była załamana, przestraszona, co się teraz będzie działo. Pamiętam nawet jak wyglądał tamten dom. Ja jako dziecko sobie nie zdawałem do końca sprawy z tego, co to oznacza, ale wiedziałem, że to jest powód, dlaczego mnie tak boli łokieć, dlaczego tak boli noga, dlaczego nie mogę chodzić. Że to właśnie z tym związane.*

Dorosły pacjent, 45 lat

” *Na pewno ciężko tak powiedzieć dokładnie, w jakim to było okresie życia, ale mogę powiedzieć z całą odpowiedzialnością, że było to bardzo, bardzo szybko. Sam fakt przebywania w szpitalu, bardzo częste pobyty, praktycznie co tydzień już w pewnym momencie – to zdefiniowały moje dzieciństwo. Kompletnie. Można powiedzieć, że moje dzieciństwo w dużym skrócie to jest jeden wielki szpital.*

Dorosły pacjent, 37 lat

Dla najstarszych rozmówców diagnoza była zdarzeniem innej epoki, zarówno medycznie, jak i emocjonalnie. Nie było formularzy, nie było koordynatorów, nie było broszur. Był lekarz, który coś podejrzewał, skierowanie do szpitala w dużym mieście i list, który przychodził po dwóch tygodniach. Albo nie przychodził.

Jeden z rozmówców pamięta ten moment bardzo konkretnie: jako małe dziecko skaleczył się w palec, krew nie chciała przestać lecieć, zaczęła się droga przez kolejne szpitale i czekanie na odpowiedź z Warszawy. **Czerwona książeczka, która przyszła w kopercie, była wyrokiem i diagnozą w jednym. Nikt nie usiadł wtedy z rodziną i nie wytłumaczył, co to oznacza w praktyce. Nikt nie powiedział, że pierwsze lata będą najcięższe, ani że da się przez nie przejść.**

Jeden z rozmówców mówi, że diagnoza dotarła do niego tak wcześnie, że nie pamięta jej jako zdarzenia. Pamięta za to szpital jako tło całego dzieciństwa. Najmłodszy z dorosłych diagnozę zna wyłącznie z opowieści rodziców: miał kilka miesięcy, gdy matka zauważyła nienaturalne siniaki. Lekarze długo nie wiedzieli, co to jest.

Dopiero poważniejszy wylew skierował ich na właściwy tor. I tu zaczyna się już inna historia, bo ten rozmówca choruje w zupełnie innym świecie niż jego rozmówcy starsi o kilkadziesiąt lat.

2.6 Historia dorosłych: **dzieciństwo i szpital jako drugi dom**

” Krioprecypitat miał konsystencję gęstego kisielu, musiał być przechowywany w zamrażarkach, podawało go się w szpitalach w kroplówce przez igłę dwunastkę – cieńsze igły nie miały sensu, preparat przez nie nie przechodził. Mijały godziny od rozpoczęcia krwawienia do czasu dotarcia do szpitala i podania leku. Efektem tego są zmiany zwyrodnieniowe w stawach – artropatia hemofilowa. W przeważającej większości osoby w mojej sytuacji to inwalidzi z orzeczeniami o niezdolności do pracy, często z endoprotezami stawów.

Dorosły pacjent, 59 lat

” Rehabilitowali nas na wyciągach, prostowali stawy z wylewem krwotocznym. Chorzy płakali, ja między innymi też. Potem moja mama wzięła mnie na własne żądanie do Warszawy i tam potrafili sobie w ciągu półtora miesiąca z tym poradzić, bez krzywdzenia.

Dorosły pacjent, 59 lat

” Rok 2002, synowektomia. Przez około sześć miesięcy leżałem unieruchomiony na oddziale dla osób dorosłych. Byłem jedynym dzieciakiem na sali. Leżę jako dziecko, patrzę w sufit. Największe traumy mojego życia – odleżyny. Mój tata musiał pracować. Raz na dwa tygodnie się widzieliśmy.

Dorosły pacjent, 37 lat

Dla tych, którzy zachorowali przed erą powszechnej profilaktyki czynnikiem VIII, wczesne dzieciństwo miało jeden wspólny mianownik: szpital. Nie jako miejsce, do którego trafia się w nagłej sytuacji, ale jako stały element tygodniowego kalendarza, tło wspomnień z lat, które inne dzieci pamiętają przez pryzmat placów zabaw i przedszkolnych przyjaźni.

Leczenie wyglądało wtedy inaczej pod każdym możliwym względem. Nie było profilaktyki, było reagowanie na wylewy, gdy już się pojawiły. Nie było podania w domu, była jazda do szpitala, bo tylko tam znajdował się dostęp do preparatu. Między pierwszymi objawami wylewu a podaniem leku mijały godziny, a w tym czasie staw nieodwracalnie niszczał. Krioprecypitat wymagał przechowywania w zamrażarce i podawania przez grubą igłę w kroplówce, bo cieńsze po prostu go nie przepuszczały. Ten szczegół techniczny, który dziś brzmi jak historyczna ciekawostka, miał wówczas bardzo konkretny wymiar: każda minuta opóźnienia zostawiała trwały ślad.

I te ślady rozmówcy noszą do dziś, dosłownie we własnych ciałach. Trzy endoprotezy, orzeczenie o całkowitej niezdolności do samodzielnej egzystencji, niedowład stopy po uszkodzonym nerwie, przykurcze uniemożliwiające normalne poruszanie się. To nie są efekty hemofilii samej w sobie, ale efekty systemu, który przez dekady leczył źle albo nie leczył wcale.

Szczególnie uderzający jest wątek nierówności między ośrodkami. W niektórych szpitalach rehabilitowano staw w trakcie trwającego wylewu, prostując kolano siłą, zanim krew zdążyła się wchłonąć. Miesiące na wyciągu z obciążnikami, przy aktywnym krwawieniu do stawu.

Dziś takie praktyki byłyby nie do zaakceptowania. Wówczas jakość opieki zależała często wyłącznie od geografii, od tego, w jakim mieście pacjent się urodził i do jakiego ośrodka trafił. To jeden z nabolesniejszych wątków w relacjach najstarszych rozmówców: nie samo cierpienie, lecz świadomość, że w innych miejscach wyglądało to inaczej.

2.7 Historia rodziców - diagnoza: **nowa rzeczywistość, ten sam lęk**

Rodzice dzieci chorujących na hemofilię dziś wchodzą w tę rzeczywistość w zupełnie innych warunkach niż poprzednie pokolenia. Mają dostęp do profilaktyki, do internetu, do środowisk pacjenckich, do lekarzy, którzy w specjalistycznych ośrodkach wiedzą, co robią. A mimo to pierwsze tygodnie i miesiące po diagnozie niemal zawsze wyglądają podobnie: szok, dezorientacja i poczucie, że ziemia usunęła się spod nóg.

” *Mój świat runął. Załamalam się okrutnie. Nie mogłam spać, jeść. Cały czas chodziłam i płakałam. Mąż był jak posąg. A w domu dwie córki, w wieku dwóch i dziesięciu lat.*

Mama 2,5-letniego chłopca

” *Pierwszy moment to takie było niedowierzanie. No szok, szok, szok totalny. Nie wiadomo było, kiedy się zacznie jakiś tam pierwszy wylew, jakiś tam pierwszy objaw. Jak on zaczął płakać, to już mi coś tam było.*

Takie to było.

Mama 5-letniego chłopca

” *My nie wiedzieliśmy nic o tej chorobie. Gdybyśmy chociaż od tych naszych lekarzy cokolwiek usłyszeli, ale oni dopiero poznali tę chorobę od nas. Od nas się uczyli, od nas dostawali książki co robić, jak robić, jak podawać, kiedy podawać. I dla nas to był też taki szok, że nikt w ogóle nic nie wie.*

Tata 2,5-letniego chłopca

Diagnoza hemofilii spada dziś na rodziny w bardzo różnych momentach i okolicznościach. Część rodziców wie wcześniej, bo hemofilia jest już obecna w rodzinie: brat choruje, ojciec chorował, dziadek przez całe życie zmagał się z wylewami, których przyczyn wtedy nikt nie rozumiał.

Postęp medycyny i rosnąca świadomość choroby sprawiają, że coraz więcej kobiet dowiaduje się o nosicielstwie jeszcze przed ciążą albo w jej trakcie i że coraz więcej rodzin wchodzi w diagnozę dziecka z jakimś punktem odniesienia, choćby tylko w postaci historii starszego krewnego.

Dla rodzin, w których hemofilia pojawia się pierwszy raz, bez żadnej historii w tle, pierwsze chwile są nieporównywalnie trudniejsze. Nie ma nikogo, kto powiedziałby: wiem przez co przechodzisz, i to da się przeżyć. Nie ma obrazu, do którego można by przyłożyć tę nową rzeczywistość. Nie ma też nikogo, kto wyjaśniłby, co ta diagnoza oznacza w praktyce.

Jedna z mam opisuje moment, gdy po dwóch dobach od porodu miała już wypisać się ze szpitala, walizki spakowane, mąż jedzie, i zauważyła krew na pościeli. Nakłucie po badaniu przesiewowym nie zakrzepło.

Dla wielu rodzin właśnie taki moment jest początkiem wszystkiego.

2.8 Historie rodziców - **dziedziczone nie tylko geny**

” *Moja córka wyrastała w rodzinie, w której była hemofilia od jej urodzenia. Ona w tej hemofilii rośła jak w swoich bramkach. Widziała jak sobie ojciec radzi, wiedziała i widziała, że nie jest to żaden dramat, że można żyć normalnie, założyć rodzinę, mieć własną przyszłość.*

Dorosły pacjent 59 lat

” *Ja byłem przekonana, że syn będzie miał. Całe życie wychowałam się z hemofilią przy tacie. Wiedziałam czym to się objawia, czym to grozi, jakie są skutki. Bez emocji. Wiedziałam, że syn będzie miał i nie stresowałam się.*

Mama 17-letniego chłopca

Jest jednak coś, co wyraźnie odróżnia rodziny, w których hemofilia pojawiła się już wcześniej, od tych, dla których jest zupełną nowością. To nie tylko emocjonalne oswojenie z diagnozą. To wiedza, praktyczna, konkretna, zbudowana latami codziennego radzenia sobie z chorobą i przekazywana dalej nie przez system, lecz między ludźmi: od brata, taty czy dziadka.

Rodziny, w których hemofilia wraca w kolejnym pokoleniu, dziedziczą razem z genem choroby coś bezcennego: wiedzę o tym, jak się włączyć, komu ufać, o co pytać lekarza, jak rozmawiać ze szkołą, jak zareagować w nagłej sytuacji. Wiedzę, której nowi rodzice muszą się uczyć od zera, często w najtrudniejszym możliwym momencie, zaraz po diagnozie, w szoku, bez żadnego kontekstu. System tej wiedzy nie daje. Dają ją ludzie.

Tam, gdzie tej historii nie ma, jej brak jest bardzo konkretny. Nowi rodzice nie wiedzą czego się bać, a czego nie. Nie wiedzą, jak wygląda wylew, który wymaga podania czynnika, a jak wygląda siniak, który sam przejdzie. Nie wiedzą, jak rozmawiać z nauczycielem, jak zachować się na SOR, jak zorganizować wyjazd z dzieckiem dalej niż 20 kilometrów od szpitala. Uczą się tego w biegu, pod presją, często metodą prób i błędów. Tymczasem tam, gdzie hemofilia była w domu od pokoleń, ta wiedza jest po prostu w powietrzu.

Paradoksalnie, rodziny z historią hemofilii w tle przychodzą na diagnozę dziecka z zasobem, który sprawia, że mogą od razu skupić się na działaniu, zamiast tracić energię na oswojenie się z nową rzeczywistością. Jedna z matek wychowana w domu z hemofilią uspokajała lekarza, który nie wiedział jak jej przekazać diagnozę. Nie odwrotnie. To odwrócenie ról mówi więcej niż jakiegokolwiek dane o tym, czym naprawdę jest ta choroba dla kogoś, kto dorósł przy niej, a czym dla kogoś, kto styka się z nią po raz pierwszy.

Środowisko pacjenckie, grupy wsparcia i sieci doświadczonych rodziców są dziś częściowo substytutem tej rodzinnej wiedzy dla tych, którzy nie mają jej skąd czerpać. Ale to substytut, który trzeba samemu znaleźć, zanim przyjdzie rozpacz i załamanie.

2.9 Historie rodziców: iniekcja jako centrum codzienności

” *Przez pół roku była taka walka z tym wkłuwaniem. On płakał, ja płakałam i się denerwowałam, bo nie trafię, bo on krzyczy. To było chyba takie najgorsze. On dobrze wiedział, co się zaraz stanie, siedział z wyciągniętą ręką i mówił: oby nie bolało, oby nie bolało. A teraz mówi, że jak ja robię, to na pewno będzie bolało.*

Mama 11-letniego chłopca

” *Proszę sobie wyobrazić roczne dziecko, które musi usiedzieć praktycznie nieruchomo przez trzydzieści minut, żeby nie wyrwać dostępu centralnego. Podaże były codzienne, nawet dwa razy dziennie. Po roku terapia ITI zakończyła się niepowodzeniem i zostaliśmy przeniesieni na lek podskórny. I wtedy wystarczy spojrzeć: podanie z przygotowaniem trwa pięć minut, syn nie ma wylewów, a siniaki są praktycznie takie same, jak u zdrowego dziecka.*

Mama 3,5-letniego chłopca

Gdy pierwsze emocje opadają, rodzina wchodzi w tryb, który można nazwać operacyjnym. Trzeba się nauczyć podawać lek, zrozumieć protokoły, wiedzieć kiedy jedzie się do szpitala, a kiedy podaje czynnik w domu i obserwuje. I trzeba to wszystko robić z małym dzieckiem, które nie rozumie dlaczego je kłują.

To nie jest wiedza, którą można zdobyć z broszury. Uczy się jej w boju, przy łóżku dziecka, przy trzecim nieudanym wkłuciu, kiedy ono krzyczy, a rodzic drży z igłą w rękę. Dla wielu rodzin pierwsze miesiące to jeden z najtrudniejszych egzaminów, jakie kiedykolwiek zdawali, i to egzamin bez prawa do błędu. Stawką nie jest ocena, tylko zdrowie dziecka. Szczególnie trudne są przypadki, w których do hemofilii dochodzi inhibitor. Rodzice opisują tu doświadczenie, które trudno sobie wyobrazić bez przeżycia go: roczne dziecko musi siedzieć nieruchomo przez trzydzieści minut przy podaży przez pompkę, codziennie, czasem dwa razy na dobę, przez rok. Każde poruszenie grozi wyrwaniem centralnego dostępu żylnego. To nie tylko opis procesu medycznego, ale codzienności rodziny żyjącej z hemofilią.

W tym kontekście zmiana terapii na podskórną nie jest dla rodziców kwestią kliniczną. Jest doświadczalna i bardzo konkretna: pięć minut zamiast trzydziestu, brak wylewów, dziecko, które wygląda jak zdrowe. Ten kontrast, namacalny, mierzalny w minutach i w bólu dziecka, jest przywoływany przez rodziców częściej niż jakikolwiek argument medyczny. Bo rodzic nie myśli wykresem. Myśli tym, co widział przy łóżku.

Cały ten wysiłek, emocjonalny i fizyczny, jest przez rodziców rzadko nazywany wprost. Widać go raczej w sposobie, w jaki mówią o gotowości, o czuwaniu, o niemożności odpuszczenia nawet na chwilę. Hemofilia wymaga od rodzica bycia w trybie alarmowym. I to zostawia ślad nie tylko w dziecku, ale w całej rodzinie.

2.10 Historie rodziców: **codziennosc i zycie w trybie czuwania**

” Zrezygnowalam z pracy, zeby po prostu byc w domu i moc w kazdej chwili zareagowac, przyjechac do szkoły, podac czynnik, zabrac syna, jezeli cos sie wydarzy. Wszystko trzeba bylo poustawiac pod to. Wydawalo sie, ze caly dzien spokojnie, nic sie nie dzieje, idziemy spac. I na parkingu, dziesiec metrow przed samochodem, dziecko sie mocno wywraca na kolano. No to w bagazniku samochodu podajemy czynnik i jedziemy dalej.

Mama dwójki chorych chłopców:
11 lat i 10 miesięcy

” Ja musialam w pewnym momencie zrezygnowac z pracy, potem z pracy zrezygnowal maz, zebym ja mogla wrócic do pracy. Musielismy zyc z rodzicami, bo nie byliśmy w stanie sami sie zajac dziecmi, bo potrzebowalismy wsparcia osob trzecich, zeby to wszystko ogarnac.

Mama 12-letniego chłopca

” Wczesniej no nie dalo sie. Na wycieczce szkolnej z noclegiem, jak wypadalo akurat podanie, to bylo wiadomo, ze nie pojedzie. Teraz juz sie wszystko zmieniło, jezdzi na wycieczki jakies tam dwudniowe. Co innego.

Mama 11-letniego chłopca

Gdy leczenie wchodzi w rytm, rodzina uczy się żyć z hemofilią, nie bez niej, ale wokół niej. To subtelna, ale ważna różnica. Choroba nie znika, ale staje się ramą, w której musi zmieścić się wszystko inne: praca, szkoła, wyjazdy, sen, spontaniczność, a raczej jej brak.

Codziennosc organizuje sie wokół podaży. Które dni, o której godzinie, co zrobić gdy wyjazd wypada w dzień podania, kto poda lek jezeli mama zachoruje, co zrobić gdy dziecko ma gorączkę i żyły są trudne do trafienia. Część matek rezygnuje z pracy nie dlatego, że chce, ale dlatego, że nie ma innego wyjścia: ktoś musi być pod telefonem, ktoś musi móc pojechać do szkoły w ciągu kilkudziesięciu minut. Hemofilia wymaga dyspozycyjności, której nie da się pogodzić z etatem.

Przez lata część rodzin w ogóle nie wyjeżdżała, bo odpowiedź na te pytania była zbyt niepewna. Zasięg bezpiecznego życia wyznaczało nie marzenie, ale odległość od Lublina, Warszawy, od lekarza, który zna dziecko.

To ograniczenie, niewidoczne z zewnątrz, jest jednym z najważniejszych wymiarów tego, czym naprawdę jest życie z hemofilią w rodzinie. Nie chodzi tylko o ból i wylewy. Chodzi o to, że nawet najmniejsze przejawy spontaniczności są luksusem, na który te rodziny przez lata nie mogły sobie pozwolić.

2.11 Historia rodziców - **szkoła, relacje i rówieśnicy**

Gdy leczenie wchodzi w rytm, rodzina staje przed kolejnym wyzwaniem: szkołą. I tu okazuje się, że cały wypracowany system opieki trzeba zbudować od nowa, bo szkoła nie wie nic.

” *Co roku przeprowadzamy takie rozmowy. W przedszkolu było łatwiej, bo personel był mniejszy i zbierał się dosłownie cały, łącznie z kucharkami i paniami sprzątającymi. Teraz w szkole jest to trochę utrudnione. Chciałam się spotkać z całą radą pedagogiczną, ale skończyło się na mailu do nauczycieli.*

Mama dwójki chorych chłopców:
11 lat i 10 miesięcy

” *Syn nosił do szkoły dwie opaski, zieloną, kiedy miał czynnik podawany, czerwoną, kiedy nie miał. Tylko to nie było rozwiązanie dobre, bo on gdzieś tam tę opaskę zdejmował, bo mu przeszkadzała, potem zapominał, potem się zgubiła. Mieliśmy tych opasek w domu tyle.*

Mama dwójki chorych chłopców:
11 lat i 10 miesięcy

Szkoła otwiera nowy rozdział w życiu rodziny z hemofilią i nowy zestaw pytań, na które system nie daje gotowych odpowiedzi. Jak poinformować nauczyciela tak, żeby nie przestraszył się choroby i jednocześnie rozumiał jej konsekwencje? Jak wytłumaczyć wychowawcy różnicę między dniem po podaniu a dniem przed? Jak zadbać o to, żeby dziecko mogło uczestniczyć w wycieczce, a jednocześnie ktoś wiedział co robić w razie wylewu?

Rodzice wchodzą w ten etap z bagażem doświadczeń z systemem, który ich nie przygotował. Uczą się sami, działają sami i negocjują sami. Spotkania z radami pedagogicznymi, maile do dyrektorów, rozmowy z nauczycielami wychowania fizycznego, szukanie kogoś, kto zrozumie że hemofilia nie jest przeciwwskazaniem do ruchu, ale wymaga jego planowania. Ten wysiłek edukacyjny, wykonywany przez rodziców w każdej nowej instytucji, w każdym nowym roku szkolnym, jest kolejnym niewidocznym kosztem tej choroby.

Za wszystkimi tymi negocjacjami i organizacyjnymi wysiłkami stoi jedno słowo, które pojawia się w niemal każdej rozmowie z rodzicem: normalność. Nie jako stan osiągnięty, ale jako cel, do którego dąży się każdego dnia. Żeby dziecko nie siedziało na ławce podczas zajęć ruchowych. Żeby pojechało na wycieczkę z klasą. Żeby miało przyjaciół, którzy wiedzą o chorobie i się nią nie przestraszyli. Żeby mogło być po prostu dzieckiem. To słowo jest miernikiem wszystkiego: że leczenie działa, że system nie zawodzi, że rodzic nie musi już walczyć o rzeczy, które innym przychodzą same.

” Teraz chcemy dojść do sytuacji, gdzie będziemy myśleć o tym, że syn ma hemofilię tak samo, jak ma brązowe oczy i jasne włosy. Nie chcemy dorastania w strachu, a wesołego życia chłopca, który może wszystko”.

2.12 Wspólny mianownik: **samodzielność**

Dorastanie z hemofilią ma swój własny, wyraźny punkt kulminacyjny: moment, w którym chłopiec po raz pierwszy samodzielnie podaje sobie czynnik. To zdarzenie pozornie techniczne jest czymś znacznie głębszym. To granica między życiem, które organizuje się wokół zależności od rodziców, a życiem, które zaczyna należeć do samego pacjenta.

” *Miałem 10 lat, byłem na obozie dla dzieci z hemofilią i tam się uczyłem, ale wtedy jeszcze opornie szło. W międzyczasie kilka razy przyjeżdżała pielęgniarka do domu uczyć, a wtedy głównie mama się uczyła wkłuwać. Jak miałem 14 lat, byłem na drugim obozie, gdzie też się uczyliśmy podawania. Potem już w domu coraz częściej próbowałem i w końcu nabrałem wprawy, że zacząłem sobie regularnie sam podawać. Wiedziałem, że to konieczność prędzej czy później, bo inaczej byłbym uzależniony od rodziców. Nie mogłem wyjechać na wycieczkę szkolną sam, bo nie było komu podać czynnika. Mama nie mogła nigdzie wyjechać beze mnie. Nie mogłem zostać u dziadków.*

Dorosły pacjent, 19 lat

” *Ta samodzielność dała nam taką swobodę, że mogliśmy sobie gdzieś pojechać, nie troszcząc się o to, że nie mamy gdzie podać czynnika.*

Mama 14-letniego chłopca

Droga do tej chwili jest długa i nie przebiega liniowo. Rodzice uczą się pierwsi, często w bólu i stresie, metodą prób i błędów. Potem zaczyna się nauka dziecka, najpierw przez obserwację, potem przez próby, potem samodzielnie. Nie każde dziecko jest na to gotowe w tym samym wieku i nie każdy rodzic potrafi się wycofać we właściwym momencie.

Relacja między rodzicem a chorującym nastolatkiem jest szczególnie złożona: jedno chce się uniezależnić, drugie przez lata było zaprogramowane na czuwanie i gotowość. Odpuszczenie nie jest naturalne, gdy przez całe życie dziecka każde jego potknięcie mogło być sygnałem alarmowym.

Nauka samodzielnego podawania czynnika to zmiana tożsamości. Chłopiec przestaje być pacjentem, którym się opiekują, a staje się pacjentem, który zarządza własną chorobą. Ta zmiana ma konkretne, życiowe konsekwencje: można pojechać na wycieczkę szkolną, zostać u dziadków, wyjechać z przyjaciółmi. Samodzielność w leczeniu jest dosłownie przepustką do normalnego życia.

Materiał pokazuje też, że dzieci wychowane w erze nowoczesnego leczenia mają zupełnie inne wyobrażenie o tym, czym hemofilia jest i czym być powinna. Dla tych chłopców choroba to fakt, ale nie centrum życia. Podanie czynnika raz w miesiącu jest czymś tak zwyczajnym jak szczepienie.

I właśnie ta zmiana nastawienia, od choroby jako ciężaru do choroby jako elementu do zarządzania, jest być może największym skutkiem postępu w leczeniu.

2.13 Wspólny mianownik: **normalność**

W niemal każdej rozmowie, niezależnie od wieku rozmówcy i niezależnie od tego, czy rozmawiamy z dorosłym pacjentem czy z rodzicem małego dziecka, pojawia się jedno słowo. Normalność. To słowo jest kluczem do zrozumienia, czego naprawdę potrzebują ludzie żyjący z hemofilią, i jednocześnie miarą, przy której każdy obecny system leczenia wypada niewystarczająco

” *Czynnik jest wspaniały, jestem za tę profilaktykę bardzo wdzięczny. Ale to jest podawanie czynnika co dwa dni. To jest rytuał, który idzie z człowiekiem. Muszę dostosować praktycznie cały dzień pod to, kiedy sobie ten czynnik podać. Jak fajnie byłoby sobie wziąć tabletkę, albo mieć lek podskórny o przedłużonym działaniu. To byłaby zmiana stylu życia.*

Dorosły pacjent, 37 lat

” *Teraz, jak jesteśmy na podskórnym, mamy podanie co drugi tydzień. Normalnie w kalendarzu mam napisane lek, bo się zapomina. Wcześniej, jak mieliśmy co drugi dzień, wpadliśmy w rutynę. A teraz co drugi poniedziałek sprawdzam kalendarz, bo nawet nie ma wylewów.*

Mama 11-letniego chłopca

Bo normalność w ich rozumieniu nie oznacza braku choroby. Oznacza brak konieczności ciągłego o niej myślenia. To subtelna, ale zasadnicza różnica.

Profilaktyka czynnikiem VIII jest przez dorosłych pacjentów opisywana jednocześnie jako coś, co uratowało im życie, i jako coś, co wyznacza rytm każdego dnia bez wyjątku. Nie jest wolnością, jest lepszą formą zależności. Lepszą, bo nie kończy się w szpitalu, ale nadal obowiązuje co dwa dni, o określonej godzinie, z koniecznością dostosowania całego dnia pod okno podania. Choroba nie znika, zmienia jedynie formę obecności w codziennym życiu.

Rodzice opisują to samo przez pryzmat konkretnych wyborów i wyrzeczeń: rezygnacja z pracy, żeby być pod telefonem, lata bez wyjazdów poza obszar dostępnej opieki, syn siedzący przy rodzicu w autobusie, bo każdy upadek mógł oznaczać wylew. Dla tych rodzin normalność nie jest stanem, do którego się wraca. Jest celem, do którego się dąży każdego dnia, i który bywa osiągnięty tylko częściowo.

To, co rozmówcy nazywają normalnością, jest w gruncie rzeczy definicją dobrego leczenia. Nie skali klinicznej, nie wykresu poziomu czynnika, ale prostego testu życiowego: czy mogę żyć tak, jakbym nie chorował? Wyjazd na obóz harcerski, kolano bez obrzęku po upadku, tydzień bez myślenia o wylewie, praca bez urlopów na wlewy. To napięcie między tym, co leczenie już dało, a tym, czego wciąż nie daje, jest punktem wyjścia do kolejnego rozdziału

ROZDZIAŁ 3.

Terapie i ich postrzeganie

Postawy wobec terapii podskórnej w leczeniu hemofilii.
Badanie jakościowe pacjentów i opiekunów.

RAPORT **2026**

3.1 Od krioprecypitatu do emicizumabu - kluczowe etapy w leczeniu

Środowisko pacjenckie nie ocenia terapii wyłącznie przez parametry farmakologiczne. Ocenia je przez pytanie, które zadaje sobie każdego dnia: czy dziś muszę o tym myśleć? Czy mogę wyjechać? Czy moje dziecko może pojechać na wycieczkę szkolną bez dodatkowego planu awaryjnego?



Liofilizaty w fiolkach można było przechowywać w temperaturze pokojowej, były łatwe w użyciu, można było mieć je w domu, pojechać na wycieczkę, na wakacje, mając je ze sobą. Czułem się dość bezpieczny, mogąc podać sobie preparat sam i w momencie kiedy krwawienie się zaczyna, a nie tak jak poprzednio, gdy miały godziny od rozpoczęcia krwawienia do czasu dotarcia do szpitala.

Dorosły pacjent, 59 lat



Wcześniej no nie dało się. Na wycieczce szkolnej z noclegiem, jak wypadało akurat podanie, to było wiadomo, że nie pojedzie. Teraz już się wszystko zmieniło, jeździ na wycieczki jakieś tam dwudniowe. Co innego.

Mama 11-letniego Antka

Leczenie hemofilii zmieniało się przez ostatnie pięćdziesiąt lat tak radykalnie, że między doświadczeniem najstarszych rozmówców a doświadczeniem rodziców niemowląt leczonych dziś emicizumabem jest przepaść. Wypełniają ją kolejne generacje leków i kolejne grupy pacjentów, na nowo definiujące to, czym jest życie z tą chorobą.

To, co z zewnątrz wygląda jak liniowy postęp medyczny z perspektywy pacjentów i rodzin wygląda zupełnie inaczej. Żaden z tych kroków nie był odczuwany jako przesunięcie na drabinie klinicznej. Każdy oznaczał zmianę tego, ile miejsca choroba zajmuje w życiu i ile życia zostaje poza nią.

Pacjenci i rodziny nie oceniają terapii przez parametry farmakologiczne, ale przez codzienną miarę wolności: czy mogę wyjechać, czy mogę pracować, czy moje dziecko może pojechać na wycieczkę bez dodatkowego planu awaryjnego.

Każdy kolejny lek był odpowiedzią na te pytania, i każda kolejna odpowiedź przesuwała granicę tego, co możliwe. Postęp terapeutyczny jest przez nich odczuwany nie jako suma usprawnień, ale jako seria progów, których przekroczenie zmienia rzeczywistość nieodwracalnie.

Żeby zrozumieć, jak rozmówcy patrzą dziś na nowe terapie, warto zobaczyć tę historię w całości. Najlepiej przez jedną konkretną biografię terapeutyczną człowieka, który przeżył każdy jej etap na własnym ciele.

Okres krioprecypitatu

„Miałem roczek, kiedy przegryzłem sobie język i w momencie, kiedy nastąpił krwotok, tego nie byli w stanie zatamować. Wtedy szpital zlecił badania w kierunku hemofilii. Oficjalnie zdiagnozowano hemofilię A, postać ciężką, krzepliwość od zera do jednego procenta.(...) Moje dzieciństwo w dużym skrócie to jeden wielki szpital. W tamtym okresie nie było czynnika ósmego, tylko krioprecypitat, który działał z bardzo dużym opóźnieniem. Kiedy był wylew, dopiero wtedy udawaliśmy się z rodzicami do szpitala i dopiero wtedy preparat był podawany. Stawy bardzo szybko mi się deformowały, głównie lewy staw kolanowy. Grudziądz zastosował taką metodę leczenia, że kiedy był wylew, to było od razu unieruchomienie stawu, podawanie krioprecypitatu i leżenie. Brak ruchu, brak rehabilitacji. Przez to bardzo szybko pojawiały mi się zaniki mięśni. Nawet najdrobniejszy uraz, dotknięcie, przejście, cokolwiek już powodowało kolejny wylew”.

Okres czynnika ósmego w szpitalu

„I chyba to były pierwsze lata dziewięćdziesiąte, weszła nowość, czyli czynnik ósmy. Bo to była euforia, bo to zastrzykiem, że to takie skuteczne. Ale się okazało, że jednak nie do końca takie było. Później się okazało, że było dużo problemu, bo dostaliśmy te leki z darów zachodnich i te leki były zakażone. Bardzo dużo chłopaków dostało HCV i HIV, bo to były leki krwiopochodne. Oni wtedy nie wiedzieli, że te leki są zakażone. No się cieszyli, że mają co podać choremu. A konsekwencje były opłakane. Na początku czynnik ósmy był tylko w warunkach szpitalnych. To była super nowość, to tylko pielęgniarki mogły podać. Jednak później nas uczyli, w szpitalach dziecięcych przygotowywali nas, było chyba takie podejrzenie, że leki będą w domu. No ale nie wiem, czy nie było na to pieniędzy. Tych leków było mało i tylko w tych warunkach szpitalnych było podawane. Brałem czynnik ósmy od początku lat dziewięćdziesiątych do dziewięćdziesiątego ósmego roku, plus minus osiem lat. I byłem nieświadomy, że ten lek na mnie nie działa. Na innych chorych na drugi dzień odpuszczało, a mi nigdy nie pomagał tak skutecznie, dopiero po tygodniu, po dwóch coś tam odpuszczało. Nie wiedzieli, że mam bardzo wysokie przeciwciała na ten czynnik. A wtedy jeszcze nie wiedziano co, to jest inhibitor”.

Czynnik ósmy doraźnie w domu

„W latach dwutysięcznych pojawiły się w Polsce preparaty liofilizowane, w takich fiolkach, takie pakietiki ze strzykawką, z wacikami, gotowe zestawy do rozpuszczenia i podania. To już nie w kroplówkach, tylko zastrzykiem, strzykawką bezpośrednio przez igiełkę, przez motylek do naczyń krwionośnych. To na tamte czasy była niesamowita rewolucja, bo ja już nie musiałem jeździć do szpitala. Taki preparat mogłem mieć w domu w lodówce i użyć w dowolnym momencie. Jak się zaczynał wylew, nie musiałem czekać kilkunastu godzin, żeby się gdzieś dostać, tylko mogłem natychmiast zareagować. Nie byłem uwiązany do szpitala. Mogłem wyjeżdżać na wycieczki, mając ten preparat w plecaku. Mogłem jechać na wakacje. Co wcześniej było może nie tyle niemożliwe, ale zawsze trzeba było to planować. Nawet jak jechaliśmy z rodzicami na Mazury, mama musiała sprawdzać, który ze szpitali dysponuje czynnikiem ósmym, które krwiodawstwo, który szpital nie odmówi przyjęcia, gdyby się coś stało. To było wydzwanianie po różnych szpitalach z pytaniem, że będziemy tu i tu, gdzie możemy uzyskać pomoc. A przy liofilizatach była rewelacja. Byłem dużo bezpieczniejszy”.

Profilaktyka czynnikiem VIII

„Czwarty okres, który kompletnie odmienił moje życie, to profilaktyka czynnika ósmego. Bez względu na to, czy mam urazy, czy nie, dążyliśmy do tego, żeby tych urazów nie było, żeby tę profilaktykę zastosować. To był okres, kiedy mogłem w pełni się rehabilitować, oddać się ćwiczeniom w domu, wzmacniać mięśnie, chodzić bez bandaży. Wiele innych rzeczy, które pozwoliły wreszcie normalnie żyć, normalnie oddychać, normalnie się ubierać. Jakoś poczuć się bardziej dowartościowanym. Czynnikiem jest wspaniały, jestem za tę profilaktykę bardzo wdzięczny. Ale to jest podawanie czynnika co dwa dni. To jest rytuał, który idzie z człowiekiem. Muszę dostosować praktycznie cały dzień pod to, kiedy sobie ten czynnik podać. Jak fajnie byłoby sobie wziąć tabletkę albo mieć lek podskórny o przedłużonym działaniu. To byłaby zmiana stylu życia. Gdyby ktoś zabrał mi profilaktykę, to dla mnie byłby wyrok śmierci. Nie wyobrażam sobie funkcjonowania bez profilaktyki, gdybym miał wrócić do tego, co było, czyli być kompletnie uzależnionym od osób trzecich. Ja bym chciał być osobą, która będzie wspierać innych, a nie być w jakiś sposób dla kogoś ciężarem. Właśnie ta profilaktyka mi to zagwarantowała, czyli normalne życie, możliwość czerpania z tego życia”.

Terapia ITI

„Jak się dowiedzieliśmy o inhibitorze, trzeba było bardzo szybko podjąć decyzję, w jaki sposób będziemy podawać mu leki potrzebne do ITI, czyli indukcji tolerancji immunologicznej. Specyfika ITI jest taka, że trzeba dziecku podawać dwa razy dziennie czynnik dożylnie. Postanowili, że założą mu cewnik Broviac. To jest dostęp żylny na klatce piersiowej, cewnik, który wystaje z ciała i kończy się wejściówką, do której nie ma potrzeby używania igieł. Na pierwsze urodziny założyliśmy mu pierwszego Broviaka. Ograniczeń było bardzo dużo. Pod żadnym pozorem nie mogło być mokre. A cewniki to był jeden horror, przez który trzeba było przebrnąć. Zakażenia, wypadnięcia, wysunięcia. Byliśmy w szpitalu tak często, że do domu wracaliśmy na urlop, a do szpitala wracaliśmy na co dzień. To ITI w ogóle nie działało. Ten inhibitor się cały czas trzymał i on miał cały czas wylewy. Jak nie miał kostki, to miał kolano. Ta hemofilia nam nie odpuszczała w ogóle w żadnym względzie”.

Czynnik VIII o ultrapredłużonym działaniu

„Leczenie syna rozpoczęliśmy od profilaktyki wtórnej czynnikiem krzepnięcia. Na początku to były dwa podania w tygodniu. Gdy przechodziliśmy na podażę trzy razy w tygodniu, podjęłam naukę wkłuć i podań czynnika synowi. Miał wtedy niespełna półtora roku. Samodzielność, o której marzyliśmy, wiązała się z ogromnym stresem. Każde podanie było niewiadomą. Czy uda się wkłuć? Za którym razem? Czy uda się podać lek, a jeśli nie, to czy zdążymy udać się po pomoc? Obecnie syn objęty jest leczeniem czynnikiem Altuvoco o ultrapredłużonym działaniu. Podania są nadal dożylnie, co siedem dni. Nasze życie zmieniło się diametralnie. Zmiana leczenia to przede wszystkim wytchnienie dla żył i psychiki. Ilość podaży zmniejszyła się niemalże trzykrotnie. Dotychczas duże skoki w poziomie czynnika na przestrzeni dwóch dni zmienił się na w miarę stały poziom przez siedem dni. Zdecydowanie ta zmiana pozwala nam na prowadzenie normalnego życia, bez wielu ograniczeń, które musieliśmy wprowadzać wcześniej. Pozwoli też na większą samodzielność syna, nawet takich wydawałoby się prostych rzeczy jak możliwość wyjazdu na wakacje do dziadków bez rodziców, czy udział w kilkudniowej wycieczce.”

3.2 Terapia podskórna w oczach środowiska pacjenckiego

Nastawienie środowiska pacjenckiego do terapii podskórnej jest w zebranych materiale jednoznaczne: **to szansa, na którą wielu czekało latami**. Dotyczy to zarówno rodziców dzieci, jak i dorosłych pacjentów. Najbardziej przekonującym dowodem jej skuteczności nie są dla rozmówców dane kliniczne – są nim konkretne ludzkie historie.

” *Na pewno jest wygodniej – żyły odpoczywają. Zauważyłem, że lek też jest lepszy, lepiej działa. Bo wcześniej jak uderzyłbym się tak samo na tamtym leku, bym miał krwiaka, a teraz jest jak normalny siniak zdrowej osoby. Idzie też zapomnieć o tym leku czasami. Bo jest raz w miesiącu, więc idzie zapomnieć, że trzeba go podać. Ale ogólnie – lepsze jest na pewno.*

17-letni uczestnik badania klinicznego

” *O emicizumabie wtedy wiedziało się tylko z zagranicy, że coś takiego jest. Ciężko było w ogóle cokolwiek znaleźć na jego temat. Ale wierzyła w niego doktor Woźnica, a my wierzyliśmy w nią. My naprawdę nie mieliśmy żadnej innej opcji – przed nami stało wyniszczenie mu kolan. Już mieliśmy dziecko na wózku. Jeżeli ktoś dał nam nadzieję, że to po-działa, to myśmy poszli w to. Bo my i tak byliśmy już w czarnej rozpacz. Po dwóch tygodniach od pierwszego podania synek wstał z wózka. Panie w przedszkolu nie rozpoznawały, że to to samo dziecko.*

Mama 3,5-letniego chłopca

Opowieści o dziecku, które przestało mieć wylewy po przejściu na nowe leczenie, o ojcu, który po dekadzie na emicizumabie mówi, że zapomniał o hemofilii, o mamie, która po raz pierwszy od lat mogła pojechać na wakacje bez sprawdzania, gdzie jest najbliższy ośrodek hematologiczny - to właśnie te świadectwa krążą w środowisku pacjenckim i działają jako najskuteczniejsza rekomendacja. Silniejsza niż jakakolwiek kampania informacyjna.

Część uczestników badania ma bezpośrednie doświadczenie z terapią podskórną. Spośród 6 dorosłych pacjentów dwóch ją stosuje: jeden w ramach badania klinicznego, drugi po uzyskaniu dostępu przez komisję Narodowego Programu. Obaj opisują ją jako zasadniczą zmianę jakości życia.

Spośród 9 par rodziców kilkoro dzieci jest aktualnie na tej terapii, najczęściej w związku z inhibitorem uniemożliwiającym standardowe leczenie czynnikiem VIII.

Zestawienie tych perspektyw z doświadczeniem tych, którzy na terapię wciąż czekają, tworzy jedno z najsilniejszych napięć zebranego materiału. Właśnie dlatego, że stawka jest wysoka, a dostęp ograniczony, nastawienie do nowej terapii nie jest jednorodne.

W zebranych materiale wyłaniają się cztery wyraźnie odrębne postawy, każda zakorzeniona w konkretnym doświadczeniu, każda zrozumiała na własnych warunkach.

3.3 Emicizumab: 4 perspektywy: rodzice najmłodszych dzieci

” *Porównując to leczenie do leczenia starszego syna 10 lat temu, mogę śmiało powiedzieć, że jest to przełom. Ogromna, pozytywna zmiana. Syn został wcześniej objęty profilaktyką gdy miał 4,5 miesiąca, zanim pojawiły się pierwsze, poważne krwawienia. Podanie nie może się nie powieść. Nie ma obaw, że może będzie trzeba szukać pomocy w podaży. (...) Jak sobie przypominę, co ja musiałam przejść ucząc się podań dożylnych na półtorarocznym dziecku – zakładając, że ma dobry dostęp dożylny – to był ogromny stres. Ja drugi raz bym nie chciała przez to przechodzić. Jeżeli mam wybór między takim leczeniem podawanym podskórnym, które działa, które zabezpiecza syna przed wylewami samoistnymi – no to wybór jest prosty. Też przede wszystkim to, że my w ogóle mamy ten wybór – to jest sytuacja niespotykana dla nas. Pierwszy raz mieliśmy ten wybór.*

Mama 10-miesięcznego chłopca

Rodzice dzieci w najmłodszym wieku (niemowląt, maluchów, przedszkolaków) są w tej debacie grupą, która reaguje często z największą energią i determinacją. Nie dlatego, że ich dzieci chorują najciężiej czy najdłużej.

Część z nich korzysta już z terapii podskórnej, ich codzienność jest relatywnie dobra. Ale wielu z tych rodziców zna hemofilię nie tylko z własnego doświadczenia, lecz z historii rodziny. Widzieli, co choroba robiła z poprzednim pokoleniem, zanim pojawiły się skuteczne terapie.

Mają przed oczami żywy obraz tego, czym jest hemofilia nieleczona lub leczona z opóźnieniem: zniszczone stawy, ograniczona sprawność, życie podporządkowane chorobie. I ten obraz definiuje ich motywację. Walczą ze znajomości konsekwencji, nie z lęku przed nieznanym.

Część z nich zaangażowała się aktywnie w działania na rzecz refundacji. To środowisko, które potrafi dokumentować rzeczywistość: nagrywać wlewy dożylne u małych dzieci i wysyłać te nagrania decydentom. Które potrafi organizować się w fundacje i w dwa lata doprowadzić do zmiany rozporządzenia. Które nie czeka, aż system sam się poprawi.

Ich determinacja nie jest przypadkowa. Jest proporcjonalna do tego, co widzą w swoich domach i rodzinach.

Największe obawy: Nie sama terapia — ta jest przez tę grupę przyjmowana bez większych wahań. Obawa dotyczy tego, co będzie dalej. Czy refundacja się utrzyma. Czy dziecko, które dziś rośnie w przekonaniu, że hemofilia to zastrzyk raz w miesiącu, nie zetknie się w dorosłości z rzeczywistością, którą ta grupa zna z rodzinnych historii. **Lęk nie jest skierowany w przyszłość terapii, jest skierowany w przyszłość systemu.**

3.4 Emicizumab: 4 perspektywy: rodzice nastolatków

” *I przez to, żeby się po prostu nie oduczył tego klucia – nie zdecydowaliśmy się jednak na ten podskórny. Bo jak będzie podskórnie, no to on znowu straci tę technikę i będzie mógł później mieć trudności z podawaniem. A nie wiemy, co będzie za te parę lat, kiedy on już będzie tą osobą dorosłą. Czy ten czynnik, czy będzie coś innego – bo z tymi dorosłymi to też jest inaczej chyba niż z dziećmi. Stwierdziliśmy, że jednak ta terapia dożylna będzie lepsza niż ta podskórna. On po prostu sam powiedział. Sam uznał, co będzie dla niego lepsze. No i tak jakoś dogadaliśmy się wszyscy.*

Rodzice 15-lątka

” *Jak tylko się dowiedziałem o tym leku, że podskórny i raz w miesiącu – to ja od razu wypowiedziałem rodzicom, że tak i nie ma w ogóle opcji, że zostaje na dożylnym. Jest opcja przejścia na wygodniejszy podskórny. Tu weszła moja upartość trochę.(...) „Nie wiemy, co nas będzie dalej czekało. Jeśli przejdziemy do dorosłych, czy nie będziemy musieli wrócić na dożylne podawanie, czy jeszcze może coś innego będzie. Nie wiemy po prostu, co nas będzie dalej czekało.*

17 letni chłopak i jego mama

Rodzice dzieci w wieku kilkunastu lat są w zupełnie innym miejscu. Ich doświadczenie z czynnikiem VIII jest długie, często pozytywne – nauczyli się z nim żyć, ich dzieci nauczyły się podawać sobie lek, profilaktyka działa. I teraz, gdy terapia podskórna staje się opcją, stają przed pytaniem, które nie ma dobrej odpowiedzi: przejść czy nie przejść, skoro za chwilę i tak trzeba będzie wrócić?

Granica osiemnastych urodzin jest przez tę grupę opisywana jako jeden z najbardziej dotkliwych paradoksów systemu. **Część rodziców podejmuje decyzję wyraźnie racjonalną i wyraźnie bolesną: świadomie rezygnują z terapii podskórnej dla nastolatka, bo nie chcą narażać go na cofnięcie leczenia, gdy skończy osiemnaście lat.**

Jedno zdanie z zebranego materiału jest w tym kontekście wyjątkowo wymowne: wybrali zostanie przy czynnikach dożylnych, żeby syn nie zapomniał, jak się kłuje. Nie wynika to z nieufności do nowej terapii. Wynika z racjonalnej obawy przed systemem, który daje coś na chwilę, a potem zabiera.

System sprawił coś, czego nie powinien być w stanie zrobić: zamienił decyzję medyczną w kalkulację ryzyka. Rodzice nie pytają już „co jest lepsze dla mojego dziecka?“, pytają „czy opłaca się zaczynać coś, co za chwilę zostanie odebrane?“. To nie jest ostrożność. To racjonalna odpowiedź na nieracjonalny system.

Największe obawy: granica osiemnastki i to, co po niej. Nie brak zaufania do leku, brak zaufania do ciągłości dostępu. Część rodziców podejmuje decyzję, która w normalnym systemie byłaby absurdalna: rezygnuje z lepszej terapii, żeby dziecko nie zapomniało gorszej. Nie tylko dlatego, że boją się powrotu do trudniejszego leczenia. Także dlatego, że nie chcą, żeby dziecko zdążyło przywyknąć do czegoś, co może mu zostać odebrane. To ochrona przed rozczarowaniem.

3.5 Emicizumab: 4 perspektywy: młodzi dorośli

Osoby chorujące, które właśnie osiągnęły pełnoletność lub są tuż po niej, są w tej debacie grupą szczególnie bezsilną. Granica osiemnastych urodzin oznacza dla nich dokładnie tyle: **utratę dostępu do terapii podskórnej. Za wcześnie, żeby zdążyć z niej skorzystać — za późno, żeby już nie musieć.**

„*Już sam zauważam, że coraz trudniej jest mi się wkuwać dożylnie, bo po prostu już te żyły są wyeksploatowane — w sensie, że już są duże zrosty, w które nie mogę się wkuwać, muszę cały czas szukać innych miejsc. A tych miejsc, gdzie mogę się wkuć, ilość jest skończona. Wcześniej kłułem się praktycznie tylko w żyły na dłoniach. Teraz już zacząłem się kłuć w żyły zgięciowe na łokciach. (...) To coraz trudniejsze podawanie dożylnie, spowodowane wyeksploatowaniem tych żył i problemy ze znalezieniem miejsc do wkłuwania się. Na razie, dopóki nie ma terapii podskórnej dostępnej dla dorosłych, no to muszę jakoś sobie radzić. Na razie jeszcze jako tako mi się to udaje.*

Dorosły pacjent, 19 lat

„*Czasem trafię na jakąś lepszą opcję profilaktyki — ale oczywiście nie dla mnie. Tak czytam, czytam — profilaktyka jakaś taka fajna, o przedłużonym działaniu — ale to nie dla mnie, bo to nie ten typ choroby, albo dla młodych, albo coś innego. Bardzo by mi to zmieniło życie. Jakbym mógł zrobić sobie raz na dwa tygodnie, albo miał coś tutaj pod ramieniem — to bardzo bym się ucieszył. Ale nic no.*

Dorosły pacjent, 23 lata

Dla tej grupy terapia podskórna nie jest abstrakcją: wiedzą, czym jest, rozumieją ją, chcą jej. Informacje docierają przez grupy na Facebooku, od znajomych, od starszych pacjentów w środowisku. Jeden z rozmówców dowiedział się o emicizumacie z grupy pacjenckiej, nie od swojego lekarza prowadzącego. Nie dlatego, że lekarz ukrywał informację, po prostu nigdy nie było dobrego momentu, żeby zapytać. Wiedza jest. Dostępu do leku nie ma.

Charakterystyczny dla tej grupy jest spokój. Nie dramatyzują, nie walczą, nie żądają. Przyzwyczaili się do wkłuć, dają radę, funkcjonują. Ten spokój nie jest dowodem na brak potrzeby. Jest dowodem na to, że nauczyli się nie robić sobie nadziei. Gdyby jutro dano im wybór, zdecydowaliby się bez pytania.

To jeden z najbardziej diagnostycznych momentów w całym zebranym materiale. Nie brak wiedzy, nie brak gotowości, nie brak zaufania do leku. Tylko brak dostępu i nauczona rezygnacja, która wygląda jak akceptacja, a nią nie jest. Ci rozmówcy nie mówią o terapii podskórnej z żalem ani z gniewem. Mówią o niej jak o czymś, co dotyczy innych. I właśnie to jest najbardziej wymowne.

Największe obawy: nie terapia, ale system. Żyją z chorobą pod kontrolą, ale tylko dopóki żyły są do wkłucia, lek jest dostępny, harmonogram się zgadza. Nie ma planu B. Jest tylko czekanie na zmianę, w którą trudno wierzyć, bo nikt im jeszcze nie dał powodu, żeby wierzyć.

3.6 Emicizumab: 4 perspektywy: dorośli

” *Przez tyle lat słyszałem jako osoba dorosła, że coś wreszcie będzie, że coś się uda – a potem okazywało się, że jednak to był jakiś niewypał albo fiasco. To troszkę mam podejście do tego bardzo straszne w tym sensie, że nie do końca w to wierzę, jakby że to wejdzie w życie. Bardzo bym chciał. Jestem nawet skłonny bycia jakimś królikiem doświadczalnym. Ale przez tyle lat czekania – nie do końca w to wierzę.*

Dorosły pacjent, 37 lat

” *Ten lek, który teraz mam od 6 lat - to jest kosmos. Jakimś cudem udało mi się doczekać tych leków. Jestem bardzo wdzięczny, bardzo się cieszę, że taki skuteczny jest. I fajnie by było, żeby ta terapia w ogóle trafiła do wszystkich, szczególnie dzieci. No to już nie będą tymi inwalidami. (...) Mam nadzieję, że tego leku nie odbiorą tym chorym, bo to by była też tragedia. Wrócić do tego co było. No mówię, ja wtedy wolę eutanazję. Nie chcę wracać do tego, co było – się męczyć i gdzieś tam, kurczę, leżeć w bólu. Wolę, żeby już prowadzili eutanazję. I tyle.*

Dorosły pacjent, 45 lat

Wśród dorosłych pacjentów z długim stażem chorowania terapia podskórna wywołuje dwa zupełnie odmienne rodzaje reakcji – i obydwie są głęboko zakorzenione w tym, jak choroba ukształtowała konkretne życie.

Pierwsza to perspektywa tych, którzy dorastali z profilaktyką czynnikiem VIII, przeżyli chorobę intensywnie, ale nie zostali przez nią fizycznie unieruchomieni. To mężczyźni w średnim wieku, często aktywni zawodowo, z rodzinami, ze stabilnym życiem – zbudowanym pomimo choroby albo wokół niej. Chcieliby spróbować terapii podskórnej, byliby gotowi od razu – ale nie pozwalają sobie za bardzo wierzyć, dopóki nie zobaczą.

Druga perspektywa jest zupełnie inna i znacznie cięższa. To dorośli, którzy za późno trafili na profilaktykę, albo trafili na nią w jakości nieporównywalnej z dzisiejszą. Ich ciała noszą ślady dekad wylewów, złego lub spóźnionego leczenia – artropatie, przykurcze, endoprotezy.

Dla tej grupy terapia podskórna nie jest tylko perspektywą lepszego życia. Jest też świadectwem tego, jak bardzo leczenie się zmieniło. **To, przez co przeszli, było ówczesną normą, nie czyjaś winą. Ale gdy widzą, że dzieci dziś mogą rosnąć bez wylewów i bez artropatii, gdzieś pojawia się myśl, której nie da się do końca zagłuszyć: że ich ciała potoczyłyby się inaczej, gdyby urodziły się później. To nie jest żal. To po prostu prawda, z którą żyją.**

Największe obawy: dla tych, którzy terapii jeszcze nie próbowali, lęk przed rozczarowaniem jest znajomy z wcześniejszych lat. Dla tych, którzy ją mieli i stracili, ten lęk już się zrealizował. Mówią o stracie nie w trybie warunkowym, ale w czasie przeszłym. To czyni ich perspektywę wyjątkowo diagnostyczną: wiedzą dokładnie, czego system ich pozbawia, bo już to mieli.

” Na nowych preparatach nie można odróżnić hemofilika od zdrowego człowieka. On nie utyka, nie jest połamany, chodzi do pracy. Leki podawane podskórnie są dostępne tylko dla dzieci do osiemnastego roku życia – a potem wracamy do inwalidztwa. To jest bez sensu”.

3.7 Terapia podskórna – przekrój postaw, obaw i potrzeb

Granica osiemnastych urodzin nie jest granicą medyczną. Jest granicą budżetową, która udaje granicę medyczną. I właśnie dlatego jest tak trudna do obrony – i tak łatwa do zdemaskowania przez każdego, kto zapyta: czym biologicznie różni się 17-latek od 18-latka?

Przy całej swojej różnorodności wszystkie cztery perspektywy spotykają się w jednym punkcie: terapia podskórna jest postrzegana jako rozwiązanie. Nie idealne, nie bez pytań, ale rozwiązanie – realne, dostępne, sprawdzone na tysiącach pacjentów na świecie. Różnią się natomiast odpowiedzią na pytanie, co stoi między nimi a tym rozwiązaniem.

Dla rodziców najmłodszych dzieci walka jest możliwa i warto ją toczyć. Dla rodziców nastolatków system stworzył pułapkę, z której nie ma dobrego wyjścia. Dla młodych dorosłych jest spokojne czekanie na to, co powinno być oczywiste. Dla starszych dorosłych jest albo nadzieja z ostrożnością, albo rozgoryczenie kogoś, kto już raz dostał to, co powinien mieć od zawsze, i komu to odebrano. **Te cztery głosy razem tworzą pełny obraz nie tylko tego, czym jest terapia podskórna dla środowiska hemofilii. Tworzą obraz tego, czym jest system, który tę terapię dawkuje według wieku, a nie według potrzeby.**

Badani, pytani o to, czego chcieliby się dowiedzieć o terapii podskórnej przed podjęciem decyzji, niemal jednogłośnie wskazują na ten sam rodzaj wiedzy. Nie są to dane kliniczne ani wyniki badań. To wiedza praktyczna, którą można zdobyć tylko od kogoś, kto sam przez to przeszedł: jak wygląda podanie, czy boli, czy można to robić samodzielnie w domu, co się dzieje, gdy pojawi się wylew, jak zmienia się codzienne życie – nie w parametrach laboratoryjnych, ale w tym, czy dziecko może pójść na plac zabaw i czy można pojechać na wycieczkę bez mapowania trasy przez szpitale.

Najskuteczniejszą formą przekazu jest w tym środowisku świadectwo. Nie komunikat eksperta, nie broszura, nie kampania. Opowieść konkretnej osoby z konkretnym życiem, która mówi: byłem tam, gdzie ty jesteś teraz, i oto co się zmieniło. Właśnie dlatego tak silnie działa tu mechanizm rekomendacji od rodzica do rodzica, od pacjenta do pacjenta – i właśnie dlatego każda kampania informacyjna, która nie uwzględnia tych żywych głosów, trafi w próżnię.

Obawy wobec samej terapii są w zebranych materiale zaskakująco małe. Niemal wszyscy rozmówcy, którzy mają dostęp do terapii lub mieli go w przeszłości, opisują ją jako lepszą od tego, co znali. Ci, którzy dostępu nie mają, są gotowi wejść na nią bez zbędnych pytań.

3.8 Język pacjenta w terapii: od objawów do doświadczenia

W każdej z prowadzonych rozmów badani byli pytani o to, czym jest dla nich terapia podskórna – i niemal zawsze odpowiadali spontanicznie, zanim pytanie zostało zadane do końca. Nie czekali na sformułowanie. Wiedzieli. Te spontaniczne odpowiedzi, pojawiające się bez namysłu i bez zachęty, rysują spójny obraz, którego nie dałoby się zbudować żadnym narzędziem ilościowym.

” *On rośnie w poczuciu, że żadnej hemofilii nie ma. Tak działa ten preparat.*

Dorosły pacjent, 59 lat

W zebranych materiale wyłania się prawidłowość, która sama w sobie jest wnioskiem badawczym. Rozmówcy opisując terapię podskórną nie sięgają po język medyczny. Sięgają po słowa, którymi zwykle opisuje się nie leczenie, lecz życie.

” *Hemofilia zniknęła. Byłem wolny. Zapomniałem o hemofilii. Żyłem tak, jak zawsze tego chciałem.*

Dorosły pacjent, 39 lat

Najczęściej pojawiające się słowa i frazy to: bajka, kosmos, przełom, wolność, normalnie, zapomnieć, spokój, nie myślisz o tym, nie ma hemofilii, drugie życie, inne dziecko, odżył. Pojawia się też seria negacji, które mówią więcej niż twierdzenia: nie ma wylewów, nie wiem, kiedy podać, nie musisz planować, nie wrócisz do szpitala, nie widać po nim.

” *Ludzie odżyją. Dzieci będą miały zupełnie inne dzieciństwo. Życie będzie stało przed nimi otworem.*

Dorosły pacjent, 45 lat

To nie jest słownik opisu leku. To słownik opisu wolności. W badaniach nad doświadczeniem choroby przewlekłej ten rodzaj języka ma nazwę: mówi się o „biograficznym przełomie” lub „zmianie narracji o sobie”. Kiedy pacjent przestaje opisywać terapię w kategoriach medycznych, a zaczyna opisywać ją w kategoriach egzystencjalnych, oznacza to, że dotknęła czegoś głębszego niż parametry kliniczne. Dotknęła tożsamości.

” *Na pewno to jest inne życie, bym powiedziała, nawet już nie ma takiej obawy... Całkiem inna bajka, bym powiedziała teraz.*

Mama 3,5-letniego chłopca

W zebranych materiale terapia podskórna nie jest opisywana jako lepszy lek. Jest opisywana jako nowe życie. I to być może najważniejszy wniosek z całego badania, bo żaden wskaźnik kliniczny tego nie zmierzy.

” *Ta zmiana, która nastąpiła teraz, to już jest takie niemalże jak sen... Nie umiem sobie uświadomić z czym to porównać. Porównywałem to trochę tak, jakby właśnie z uzdrowieniem.*

Tata 11-letniego chłopca

3.9 Komunikacja o nowych terapiach: kto i jak powinien mówić?

Kampania zbudowana na zasobach środowiska, nie instytucji. Wiarygodność budują pacjenci i rodziny, nie firmy farmaceutyczne ani komunikaty prasowe.

Pacjent i rodzic w centrum przekazu. Rodzic pokazujący, jak wygląda jego dzień mówi więcej niż jakikolwiek materiał edukacyjny.

Doświadczenie jako argument. Nie parametry kliniczne, lecz konkretny obraz: mama, która wróciła do pracy, dziecko, które jedzie na obóz bez rodziców, mężczyzna, który przestał planować każdy dzień wokół harmonogramu podań.

Informacje praktyczne, nie tylko kliniczne. Pacjent nie pyta, jak działa lek. Pyta, czy będzie mógł wyjechać na wakacje, czy zdąży na poranną zmianę, czy sam da radę sobie podać. Na te pytania kampania powinna odpowiadać w pierwszej kolejności.

„Normalność” jako centralna wartość środowiska. Środowisko nie mierzy skuteczności leczenia parametrami klinicznymi. Mierzy ją stopniem, w jakim choroba przestaje determinować codzienność. To powinno być centrum każdej kampanii.

Media społecznościowe jako główny kanał. Tam są jednocześnie nowe rodziny po diagnozie, lekarze pierwszego kontaktu i decydenci. Kampania, która trafia do POZ przez Instagram nie jest przypadkiem. Jest metodą.

Rozmówcy są zgodni co do kilku rzeczy. Po pierwsze: przekaz powinien wychodzić od pacjentów i rodzin, nie od firm farmaceutycznych ani instytucji. Wiarygodność buduje się przez konkretne ludzkie historie, nie przez broszury i komunikaty prasowe.

Rodzic który pokazuje, jak wygląda jego dzień mówi więcej niż jakikolwiek materiał edukacyjny. Jeden z rozmówców zauważa, że nawet w środowisku hemofilii są rodziny, które nie wiedzą o możliwościach które mają, bo informacja nie dotarła do nich oficjalną drogą, tylko przez grupę na Facebooku albo przez znajomą mamę. Jeśli tak wygląda przepływ wiedzy wewnątrz środowiska, to tym bardziej nie można liczyć na to, że system sam zatroszczy się o edukację tych, którzy są poza nim.

Po drugie: kanałem są media społecznościowe, bo tam są zarówno nowe rodziny po diagnozie, jak i lekarze pierwszego kontaktu, jak i decydenci, którzy śledzą nastroje. Kampania, która dotarła do POZ przez Instagram była przypadkowym efektem ubocznym walki o refundację. Gdyby była zaplanowana jako kampania edukacyjna, mogłaby dotrzeć dalej i głębiej.

Po trzecie: kampania powinna mówić nie tylko o tym, jak wygląda nowa terapia, ale co zmienia w życiu.

Nie parametry kliniczne, lecz konkretny obraz: mama, która wróciła do pracy, dziecko, które jedzie na obóz bez rodziców, mężczyzna, który przestał dostosowywać każdy dzień do harmonogramu podań. Różnica między terapią dożylną co dwa dni a podskórną raz w tygodniu to nie liczby.

To wolność. I właśnie tak powinna być komunikowana.

ROZDZIAŁ 4.

Opieka medyczna w hemofilii w Polsce

Postawy wobec terapii podskórnej w leczeniu hemofilii.
Badanie jakościowe pacjentów i opiekunów.

RAPORT **2026**

4.1 Opieka medyczna w hemofilii w Polsce

System opieki medycznej nad osobami z hemofilią w Polsce działa na kilku poziomach jednocześnie – i każdy z tych poziomów wygląda zupełnie inaczej. Na szczycie są wyspecjalizowane ośrodki hematologiczne i pracujący w nich lekarze prowadzący. Poniżej – podstawowa opieka zdrowotna, szpitale rejonowe, SOR-y. Między tymi poziomami jest przepaść, która w przypadku nagłego zagrożenia może mieć konsekwencje nieodwracalne.

” *Przede wszystkim ważny jest dobry kontakt z hematologiem prowadzącym, żeby to on kierował, gdzie ewentualnie, do jakiego specjalisty się udać i co uczynić, żeby to było w jakiś sposób zabezpieczone.*

Dorosły pacjent, 37 lat

” *Czasem trafię na jakąś lepszą opcję profilaktyki – ale oczywiście nie dla mnie. Tak czytam, czytam – profilaktyka jakaś taka fajna, o przedłużonym działaniu – ale to nie dla mnie, bo to nie ten typ choroby, albo dla młodych, albo coś innego. Bardzo by mi to zmieniło życie. Jakbym mógł zrobić sobie raz na dwa tygodnie, albo miał coś tutaj pod ramieniem – to bardzo bym się ucieszył.*

Dorosły pacjent, 23 lata

W ramach badania każdy z rozmówców był pytany nie tylko o terapię i leczenie, ale o szeroko rozumiane doświadczenia z systemem opieki medycznej. Ten wątek pojawiał się zarówno jako odrębny blok rozmowy, jak i spontanicznie, w kontekście diagnozy, codzienności z chorobą, sytuacji kryzysowych, wyjazdów, szkoły, pracy.

Rozmówcy opowiadali o tym, jak wyglądał proces diagnozy i pierwsze zetknięcie z systemem, jaką rolę odgrywa lekarz prowadzący w ośrodku hematologicznym i co się dzieje, gdy tego lekarza nie ma w pobliżu.

Mówili o podstawowej opiece zdrowotnej, przychodniach, pielęgniarkach, lekarzach POZ, i o tym, czego od niej oczekują, a czego w niej nie znajdują. Opisywali doświadczenia z SOR-ami i izbami przyjęć, zwłaszcza poza miejscem zamieszkania. Opowiadali o karcie postępowania, czym jest w teorii, a jak działa w praktyce.

I mówili o dostępie do innych specjalistów: stomatologów, fizjoterapeutów, lekarzy, którzy nie są hematologami, ale których pacjent z hemofilią potrzebuje tak samo jak każdy inny człowiek.

Poniżej każdy z tych poziomów zostaje omówiony osobno.

4.2 Serce systemu: ośrodek hematologiczny i lekarz prowadzący

System opieki nad pacjentem z hemofilią w Polsce w dużej mierze funkcjonuje dlatego, że konkretni lekarze prowadzący zdecydowali się być kimś więcej niż system od nich wymaga. Nie jest to komplement pod adresem systemu. Jest to diagnoza jego słabości. Gdy jakość opieki zależy od osobistego zaangażowania jednostki, a nie od instytucjonalnego standardu, opieka jest dobra tylko tak długo, jak długo ta jednostka jest obecna, zdrowa i chętna do odbierania telefonów po godzinach. Pacjent z hemofilią w Polsce ma często szczęście, że trafił na kogoś wyjątkowego. Nie powinien być zdany na szczęście.

Ośrodki hematologiczne zajmują w doświadczeniu rozmówców miejsce szczególne. W systemie ochrony zdrowia, który przez pacjentów z hemofilią jest oceniany często krytycznie i z dużą dozą nieufności, ośrodki specjalistyczne są opisywane z szacunkiem i wdzięcznością, która w tym kontekście jest rzadkością. To jedyne miejsca w systemie, gdzie rozmówcy czują się bezpiecznie, gdzie ktoś zna ich historię i gdzie wiedzą, że w razie potrzeby ktoś odbierze telefon.

Analiza materiału pokazuje jednak istotną prawidłowość: poczucie bezpieczeństwa, które rozmówcy przypisują ośrodkowi, w rzeczywistości jest poczuciem bezpieczeństwa przypisanym konkretnej osobie. To nie instytucja jest fundamentem, na którym opiera się opieka nad pacjentem z hemofilią. Jest nim relacja z lekarzem prowadzącym.

Rozmówcy opisują tę relację jako coś jakościowo innego niż standardowy kontakt z lekarzem: lekarz prowadzący zna historię choroby od lat, pamięta które stawy są słabsze, wie, że dojazd z tej konkretnej miejscowości zajmuje dwie godziny, potrafi skoordynować wizytę u stomatologa czy chirurga i upewnić się, że ten drugi w ogóle wie, czym jest hemofilia.

To zaangażowanie i ciągłość mają jednak swoją cenę systemową. Nie są standardem, który system gwarantuje. Są wynikiem osobistego przekroczenia formalnych obowiązków przez konkretnych lekarzy. Rozmówcy doskonale o tym wiedzą i właśnie dlatego obok wdzięczności pojawia się w materiale lęk, który jest jednym z najbardziej konsekwentnych wzorców w tej grupie tematycznej.

Co będzie, gdy ten lekarz odejdzie na emeryturę, zmieni ośrodek, przestanie odbierać po godzinach? To pytanie nie jest wyrazem przesadnej troski. Jest racjonalną odpowiedzią na system, który nie daje żadnej gwarancji instytucjonalnej ciągłości opieki.

Koordynatorzy medyczni przy ośrodkach są przez rozmówców doceniani, ale ich funkcja kończy się o czternastej. Po tej godzinie jedyna sieć, która naprawdę działa, to prywatny numer telefonu lekarza prowadzącego. System jest tak dobry jak ludzie, którzy go podtrzymują. I na tym polega jego największa słabość.

” Całą wiedzę przekazywała nam lekarka prowadząca – była po prostu 24 godziny pod telefonem. Jak zadzwoniliśmy, zawsze odebrała. Każdy problem pomaga nam rozwiązywać do tej pory. Jak coś się dzieje, dzwoniemy, piszemy, wysyłamy zdjęcie nogi czy ręki. I ona zawsze odpowie”.

4.3 Poza ośrodkiem — tam, gdzie system nie sięga

Ośrodek hematologiczny jest miejscem, gdzie hemofilia jest znana, rozumiana i sprawnie leczona. Poza jego murami ta sama choroba potrafi być zaskoczeniem. Nie dlatego że system jest zły w każdym miejscu, ale dlatego, że wiedza o rzadkiej chorobie rzadko wykracza poza tych, którzy z nią pracują.

” Z relacji wiem, że w poradniach nie chcą podawać czynnika ósmego dzieciom. Rodzice zgłaszają się i mówią: dziecko dostało wylewu, czynnik mamy ze sobą, czy mogłaby pani podać. Nie. Absolutnie. Proszę jechać na hematologię. To jest niezgodne z prawem — pielęgniarka nawet jak nie wie, jak to zrobić, powinna spytać lekarza. Oni nie mają prawa odmówić pomocy.

Dorosły pacjent, 59 lat

” Niestety nadal odczuwamy duży problem w znalezieniu miejsc, w których personel medyczny podejmie się podaży leków profilaktycznie lub szybkiego udzielenia pomocy po urazie. Syn po urazie głowy trafił do szpitala wojewódzkiego, gdzie dopiero po półtorej godziny od przyjazdu założono dostęp żylny i mogłam podać czynnik. Pomimo karty postępowania, wielu upomnień, tłumaczeń, próśb.

Mama chłopców w wieku 11 lat oraz 10 miesięcy

Podstawowa opieka zdrowotna jest dla rodzin z hemofilią miejscem głęboko ambiwalentnym. W zebranych materiale pojawiają się zarówno przykłady pozytywnych doświadczeń, jak i poważnych trudności, a różnica między nimi często zależy od jednego czynnika: czy w danej przychodni ktoś już wcześniej zetknął się z hemofilią.

Rozmówcy opisują POZ-y, w których personel radził sobie dobrze, bo leczyli się tam ojcowie, bracia lub dziadkowie z tą samą chorobą. Tam wiedza była, bo ktoś ją przez lata przyniósł.

W pozostałych przypadkach obraz jest trudniejszy. Formalnie POZ jest pierwszym punktem kontaktu z systemem. Praktycznie wiele rodzin nauczyło się z niego nie korzystać w sprawach bezpośrednio związanych z hemofilią.

Pielęgniarki odmawiają podania czynnika z obawy przed odpowiedzialnością, lekarze nie wiedzą jak postępować w nagłej sytuacji. Rodziny albo rezygnują z POZ jako punktu oparcia, albo szukają nieformalnych znajomości które zastąpią to, czego system nie dostarcza.

Problemem nie jest brak dobrej woli personelu. Problemem jest brak wiedzy i brak systemowego przygotowania. Lekarz pierwszego kontaktu widzi pacjenta z hemofilią raz na kilka lat i jeśli nikt go nigdy nie przeszkolił, działa zgodnie ze swoim lękiem. Lęk mówi: odesłać dalej.

Gdy przychodnia nie dysponuje przeszkolonym personelem, ośrodek hematologiczny staje się pierwszym punktem kontaktu również w sprawach, które powinny być rozwiązywane lokalnie. Pacjenci — nauczeni wcześniejszymi odmowami i brakiem wiedzy — często nawet nie próbują szukać pomocy bliżej. Od razu dzwonią do specjalisty, bo wiedzą, że tylko tam uzyskają odpowiedź. To nieefektywne dla całego systemu. Ośrodki hematologiczne swój czas i zasoby powinny móc przeznaczać na opiekę, która rzeczywiście wymaga ich kompetencji.

4.4 Opieka medyczna w sytuacjach awaryjnych

Sytuacje nagłe są dla pacjentów z hemofilią szczególnie wymagającym testem systemu, bo nie ma w nich czasu na szukanie alternatyw. Doświadczenia rozmówców z SOR-ami i izbami przyjęć są zróżnicowane, ale powtarza się w nich kilka charakterystycznych wzorców.

” W Gorzowie twierdzili, że nie mogą podać, bo nie mają prawa – jak coś się stanie, to oni przez to będą odpowiadać. Miałem kartę, miałem czynnik ze sobą, miałem diagnozę. I nic.

Dorosły pacjent, 19 lat

Pierwszym jest odmowa podania czynnika przyniesionego przez pacjenta z zewnątrz. Szpitale powołują się na procedury zakazujące podawania preparatów niepochodzących z ich zasobów. W teorii rozwiązaniem jest zamówienie preparatu ze stacji krwiodawstwa. W praktyce wiąże się to z wielogodzinnym oczekiwaniem, które w hemofilii może mieć nieodwracalne konsekwencje.

” Niestety nadal odczuwamy duży problem w znalezieniu miejsc, w których personel podejmie się podaży leków po urazie. Syn po urazie głowy trafił do szpitala wojewódzkiego, gdzie dopiero po półtorej godziny założono dostęp żylny i mogłam podać czynnik. Pomimo karty postępowania, wielu upomnieć, tłumaczyć, prośb.

Dorosły pacjent, 23 lata

Drugim wzorcem jest odsyłanie do ośrodka macierzystego. Lekarze na izbach przyjęć, którzy nie czują się kompetentni w leczeniu hemofilii, wskazują pacjentowi szpital specjalistyczny jako właściwe miejsce pomocy. Dla rodzin mieszkających daleko od ośrodka oznacza to wielogodzinny przejazd w sytuacji zagrożenia zdrowia lub życia.

” Kiedyś poszłam z nim do szpitala, miał skurcz oskrzeli. Leki podawałam ja, nie pielęgniarka. One stanęły dookoła i przyglądały się. Potem czynnik, lekarz był na łączu telefonicznym z lekarzem prowadzącym, tłumaczył co i jak, a ja to wszystko robiłam. To był dla mnie szok. I ze względu na niego poszłam na studia pielęgniarские.

Mama 7-letniego chłopca

Karta postępowania pacjenta z hemofilią jest narzędziem, które w założeniu ma te problemy eliminować. W zebranych materiałach jej ocena jest zróżnicowana. Rozmówcy, którym udało się skutecznie z niej skorzystać, podkreślają, że jej siła tkwi w konkretności: jest w niej zapisane co podać, w jakiej dawce, i że jest to zobowiązanie prawne szpitala. Jeden z ojców mówi, że gdy zacytował kartę głośno, każda kolejna osoba zaczynała czuć rangę sytuacji.

Problem pojawia się jednak wcześniej: zanim karta zostanie przeczytana. W kilku relacjach personel medyczny odmawiał zapoznania się z nią, kwestionował jej znaczenie lub traktował ją jako niewystarczający argument. Karta jest tak skuteczna, jak gotowość personelu do jej przeczytania i zastosowania. A ta gotowość bywa bardzo różna.

4.5 Dostęp do innych specjalistów

Pacjent z hemofilią potrzebuje nie tylko hematologa. Potrzebuje stomatologa, fizjoterapeuty, rehabilitanta, ortopedy, chirurga i psychologa — tak samo jak każdy inny człowiek. Każda z tych wizyt wymaga jednak dodatkowego wysiłku, którego zdrowy pacjent nie ponosi: uprzedzenia specjalisty o chorobie, uzyskania zabezpieczenia czynnikiem, a często także przekonania specjalisty, że w ogóle może podjąć się leczenia.

Stomatologia jest obszarem, który pojawia się w materiale najczęściej. Rozmówcy opisują dwa wzorce: tych, którym udało się znaleźć jednego dentystę, który zna chorobę i leczy od lat, oraz tych, którzy przez lata trafiali na odmowy. Lekarze prywatni boją się odpowiedzialności i odsyłają pacjentów dalej.

Publiczni podejmują się leczenia zachowawczego, ale unikają wszelkich zabiegów z ryzykiem krwawienia. Jeden z rozmówców mówi, że dentyści w publicznych przychodniach boją się borywać przy dziąśle, bo obawiają się krwotoku. Inny przez lata szukał kogoś, kto zgodzi się na ekstrakcję zęba — znalazł w końcu stomatologa, który podjął się zabiegu po podpisaniu oświadczenia zwalniającego go z odpowiedzialności.

Rehabilitacja i fizjoterapia to drugi istotny obszar luk. Rozmówcy z artropatiami i przykurczami będącymi skutkiem wieloletnich wylewów napotykają na trudność szczególnego rodzaju: fizjoterapeuta bez doświadczenia z hemofilią stosuje standardowe ćwiczenia, które przy usztywnionej kończynie nie przynoszą efektu albo wręcz szkodzą.

Jeden z rozmówców opisuje kolejne próby rehabilitacji, po których syn odmawiał kontynuowania, bo ćwiczenia były niedostosowane do jego stanu. Dostęp do specjalistów z doświadczeniem w hemofilii jest możliwy, ale wymaga prywatnych wizyt i wielomiesięcznego oczekiwania.

Wsparcie psychologiczne jest w zebranych materiale wskazywane jako jedna z najbardziej odczuwalnych luk w systemie. Rodziny w momencie diagnozy są pozostawiane same. Nie ma protokołu wsparcia psychologicznego ani dla rodziców, ani dla dzieci.

Rozmówcy radzą sobie sami, przez środowisko pacjenckie, przez fundacje, przez rozmowy z innymi rodzicami. Ci, którzy wychodzą z tego dobrze, mówią że zawdzięczają to głównie sobie nawzajem, nie systemowi. Ci, którzy wychodzą z tego trudniej, często nie wiedzą nawet, że wsparcie mogłoby im pomóc, bo nikt im tego nie zaproponował.

4.6 Między wizytami: odwrócony przepływ wiedzy w hemofilii

Codziennie życie z hemofilią toczy się w ciągłej bliskości systemu medycznego, ale nie wewnątrz niego. Pacjenci i rodziny funkcjonują między wizytami, między podaniami, między sytuacjami nagłymi — i żeby funkcjonować dobrze, muszą przyswoić część wiedzy i umiejętności, które w innych chorobach pozostają domeną personelu medycznego.

” **Samodzielność to wolność. Leczenie domowe w ciągłym kontakcie z hematologiem daje poczucie bezpieczeństwa. Samodzielność w iniekcjach to komfort i spokój, że możemy zareagować bardzo szybko, o każdej porze dnia i nocy.**

*Mama chłopców w wieku 11 lat
oraz 10 miesięcy*

” **Nikt nigdy fachowo mnie nie przeszkolił z podawania czynnika ósmego, a podaję sobie czynnik sam od ósmego roku życia. Mój tata kiedyś próbował, moja mama próbowała, ale widziałem ich reakcje i stwierdziłem — co mi szkodzi, spróbuję. To był okres mniej więcej drugiej klasy szkoły podstawowej. Wielokrotnie wspierałem pielęgniarki — jak nie mogły trafić w żyłę, to brałem igłę i kłułem się za nie.**

Dorosły pacjent, 37 lat

Najbardziej widocznym przejawem tego jest nauka samodzielnego podawania czynnika. To umiejętność, do której zmierzają wszystkie rodziny i wszyscy pacjenci, bo profilaktyka nie może oznaczać wyjazdu do ośrodka co drugi dzień. Droga do tej samodzielności przebiega różnie. Część rodzin była aktywnie zachęcana i prowadzona przez lekarzy i pielęgniarki z ośrodków hematologicznych. W kilku relacjach to właśnie konkretna pielęgniarka była osobą, która towarzyszyła rodzicom w nauce, przyjeżdżała do domu i mówiła wprost: musisz się nauczyć, będę z tobą dopóki nie dasz rady samodzielnie. Część rodziców uczyła się inaczej — przez obserwację, przez próby i błędy, przez pandemię, która wymusiła samodzielność szybciej niż ktokolwiek planował.

Drugi wymiar samodzielności jest szerszy i mniej oczywisty. Pacjent z hemofilią trafia do szpitala rejonowego, na SOR, do stomatologa — i często okazuje się, że to on jest w tym pomieszczeniu osobą z największą wiedzą na temat swojej choroby.

System w takich momentach bazuje na jego wiedzy, nie on na systemie. To ogromna odpowiedzialność, której nikt mu formalnie nie przekazał i do której nikt go systemowo nie przygotował. **Rozmówcy opisują ją jako coś, do czego się przyzwyczaili — ale nie jako coś, co powinno być normą.**

W badaniach nad chorobami przewlekłymi opisuje się zjawisko tzw. „expert patient” — pacjenta, który przez lata życia z chorobą staje się ekspertem od własnego schorzenia w stopniu, który często przewyższa wiedzę personelu medycznego niezajmującego się daną specjalizacją na co dzień. W zebranym materiale ten wzorzec jest wyjątkowo wyraźny. Pacjenci z hemofilią i rodzice chorych dzieci nie tylko znają swoją chorobę. Znają ją lepiej niż większość lekarzy, z którymi się stykają poza ośrodkiem specjalistycznym. I są tego świadomi.

ROZDZIAŁ 5.

Oczekiwania wobec systemu, szkoły i społeczeństwa

Postawy wobec terapii podskórnej w leczeniu hemofilii.
Badanie jakościowe pacjentów i opiekunów.

RAPORT **2026**

5.1 Zadanie projekcyjne jako punkt wyjścia

Przed każdym spotkaniem rozmówcy otrzymali zadanie projekcyjne: prośbę o napisanie listu do hipotetycznego Zespołu ds. Hemofilii przy Ministerstwie Zdrowia. Forma była dowolna. Efekt był zaskakująco spójny.

” *Dopóki nie mieliśmy nowoczesnej terapii, byliśmy stałym obciążeniem dla budżetu. Nasze leki kosztowały dużo, zabiegi kosztowały dużo, do dorosłych dochodzą endoprotezy. To są koszty wyliczalne. A jakie koszty ponosi rodzina? Ja musiałam zrezygnować z pracy, potem zrezygnował mąż, żebyśmy ja mogła wrócić. Musieliśmy żyć z rodzicami, bo sami nie dalibyśmy rady. A w momencie kiedy przychodzisz na terapię, która działa — nagle wypadasz całkowicie z tego systemu. Już są matki, które jak dostały emicizumab dla dzieci, wróciły do pracy. I dzieci wróciły do przedszkoli.*

Mama 12-letniego chłopca

Z listów wyłoniły się te same potrzeby, formułowane różnymi słowami przez osoby o zupełnie różnych doświadczeniach i na różnych etapach życia z chorobą. Powtarzały się z taką regularnością, że trudno je traktować jako indywidualne głosy. Razem tworzą zbiorową diagnozę systemu.

Charakterystyczny jest sposób, w jaki rozmówcy piszą. Nie językiem osób proszących o pomoc. Diagnozują, kalkulują, postulują. Jeden wylicza koszty systemowe z precyzją ekonomisty i wskazuje, dlaczego najtańszy lek jest w dłuższej perspektywie najdroższy. Inny opisuje mechanizm przetargowy i jego konsekwencje dla jakości leczenia. To środowisko przez lata zbudowało wiedzę o systemie, która jest wyjątkowym zasobem. I właśnie ta wiedza przebija przez każdy z tych listów.

Charakterystyczna jest też obecność lęku — nie wobec choroby, lecz wobec systemu. Lęk przed utratą refundacji, przed osiemnastymi urodzinami dziecka, przed wypadkiem z dala od ośrodka, przed tym, że środowisko przestanie być słyszalne i system cofnie zdobycze. To lęk, który nie wynika z nieracjonalnych obaw. Wynika z konkretnych doświadczeń i dobrej znajomości mechanizmów, które decydują o tym, kto i na co będzie leczony.

I wreszcie: niemal każdy list zawiera nie tylko opis problemu, ale gotową propozycję rozwiązania. Do tych propozycji wracamy w dalszej części rozdziału.

System ochrony zdrowia w hemofilii jest przez rozmówców oceniany nie tylko przez pryzmat własnego doświadczenia, ale przez pryzmat jego logiki. To środowisko rozumie mechanizmy decyzyjne, przetargi, programy lekowe, kryteria refundacyjne i potrafi je nazwać. Co więcej, potrafi wskazać gdzie ta logika zawodzi i dlaczego. To jest wiedza ekspercka zbudowana nie w gabinetach, lecz w codziennym życiu z chorobą i z systemem. I właśnie dlatego te głosy powinny być słyszane nie przy okazji, lecz systematycznie, jako stały element procesów decyzyjnych.

5.2 Oczekiwania wobec systemu ochrony zdrowia: postulaty i obawy

Oczekiwania rozmówców wobec systemu ochrony zdrowia układają się w kilka wyraźnych obszarów, które pojawiają się niezależnie od wieku, sytuacji życiowej i etapu choroby. Nie są to abstrakcyjne dezyderaty. To konkretne braki, które rozmówcy odczuwają na co dzień.

Rozszerzenie dostępu do terapii podskórnej na dorosłych pacjentów. To postulat, który pojawia się dosłownie w każdej rozmowie i każdym liście, niezależnie od tego kto pisze i z jakiej pozycji. Granica osiemnastego roku życia jest przez środowisko traktowana jako arbitralna i niemająca uzasadnienia klinicznego. Choroba nie zmienia się z dniem urodzin. Zmienia się tylko dostęp do leczenia.

Gwarancja ciągłości dostępu do profilaktyki. Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię jest podpisywany na określone lata i każde jego zbliżające się wygaśnięcie wywołuje w środowisku realny niepokój. Rozmówcy oczekują długoterminowych, stabilnych gwarancji programowych – nie kolejnych edycji z niepewnością co do następnych. To nie jest postulat o nowym leku. To postulat o pewności, że to co już jest – zostanie.

Model opieki koordynowanej dostępnej całą dobę. Jeden dedykowany zespół, jeden numer telefonu, jeden lekarz znający historię pacjenta – dostępny wieczorem, w weekend, w święta. Postulat szczególnie ważny dla rodzin żyjących z dala od ośrodków hematologicznych, które dziś w nagłych sytuacjach są zdane wyłącznie na prywatny numer lekarza prowadzącego.

Zmiana logiki przetargowej – od ceny jednostkowej do kosztu systemowego. Rozmówcy wskazują, że tańszy lek wymagający podawania trzy razy w tygodniu i generujący wylewy jest droższy dla systemu niż pozornie droższy lek podskórny eliminujący niepełnosprawność. System tego nie widzi, bo nie patrzy wystarczająco daleko i nie liczy kosztów społecznych: endoprotez, rent, rezygnacji z pracy przez opiekunów.

Reforma systemu orzecznictwa o niepełnosprawności. Hemofilia jest chorobą epizodyczną, w której pacjent bywa sprawny i niesprawny naprzemiennie. Obecne kryteria oceny nie uwzględniają tej dynamiki. Rozmówcy opisują sytuacje, w których komisja oceniała ich stan w jednym konkretnym dniu – nie biorąc pod uwagę, że tydzień wcześniej lub tydzień później obraz wyglądałby zupełnie inaczej.

Wsparcie psychologiczne jako standard, nie wyjątek. Przy diagnozie, w trakcie leczenia, przy każdej zmianie terapii. Dla rodziców i dla dzieci. Rozmówcy opisują, że w kluczowych momentach zostawali sami – bez żadnej informacji, gdzie szukać pomocy i czy w ogóle jest na to miejsce w systemie.

Obok postulatów systemowych rozmówcy zgłaszają też potrzeby, które rzadziej trafiają do publicznej debaty, a które dla wielu z nich są równie dotkliwe na co dzień. **Pierwsza to dostęp do rehabilitacji dostosowanej do specyfiki choroby i refundacja sprzętu rehabilitacyjnego, którego brak uniemożliwia realizację zaleceń fizjoterapeutów w domu lub dostępnych placówkach. Druga to refundacja leków wspomagających, których miesięczny koszt dla osób na rentach stanowi realny i stały ciężar finansowy.**

5.3 Oczekiwania wobec szkoły i środowiska edukacyjnego

Szkoła jest dla dziecka z hemofilią miejscem codziennej konfrontacji z niewiedzą otoczenia. Nauczyciel nie wie, jak zareagować na siniaka, pielęgniarka szkolna nie zna procedury podania czynnika, nauczyciel WF-u nie wie, co dziecko może, a czego nie. Gdy coś się dzieje, dzwonią do rodziców, bo nie mają innego wyjścia.

Rodzice spędzają ogromną ilość czasu i energii na edukowanie kolejnych nauczycieli przy każdej zmianie klasy, szkoły, nauczyciela wychowania fizycznego. Zebrania z radą pedagogiczną, maile do dyrektora, rozmowy z wychowawcą, wyjaśnienia dla nauczyciela WF-u o tym, co dziecko może robić, a czego nie. Jeden z ojców opisuje, jak wspólnie z nauczycielem WF-u opracowali system kolorowych opasek – zielonej, gdy dziecko miało podany czynnik, czerwonej, gdy nie miało – bo inaczej nie było jak skutecznie komunikować stan dziecka przez cały dzień szkolny.

To rozwiązanie działało do czasu: dziecko zaczęło zdejmować opaskę, bo przeszkadzała, potem ją gubiło, potem zapominało. Pomysłowe. Niewystarczające. I w całości zbudowane przez rodziców, bo system niczego nie zaproponował. Doświadczenia rozmówców ze szkołą są zróżnicowane – są szkoły i nauczyciele, którzy reagują wzorowo, i takie, które zawodzą w najtrudniejszych momentach

Systemowa edukacja personelu placówek edukacyjnych. Nie od rodziców przy każdej nowej klasie, lecz jako standardowy element przygotowania szkoły lub przedszkola do przyjęcia dziecka z chorobą przewlekłą. Materiały zrozumiałe dla nauczyciela bez medycznego wykształcenia. Prosta procedura: co robić, do kogo dzwonić, czego absolutnie nie robić.

Karta postępowania jako dokument szkolny. Kilku rozmówców wskazuje na potrzebę zostawienia kopii karty postępowania u wychowawcy lub dyrektora szkoły. Dokument istnieje, ale trafia zazwyczaj do domu rodzica, nie do szkoły. W sytuacji nagłej, gdy rodzice są nieosiągalni, personel nie ma żadnego punktu odniesienia.

Rzeczywiste konsekwencje dla sprawców urazów. Kilkoro rozmówców opisuje sytuacje, w których dziecko z hemofilią doznało urazu wskutek działania innych uczniów i szkoła nie podjęła żadnych działań, tłumacząc, że nie widać, że dziecko jest chore. Niewidoczność choroby jest dla środowiska edukacyjnego wymówką, a nie okolicznością wymagającą szczególnej ostrożności.

Elastyczność w organizacji dnia szkolnego. Rodzice oczekują, że szkoła uwzględni specyfikę choroby w codziennym funkcjonowaniu dziecka, od WF-u przez wycieczki po zastępstwa. Nie chodzi o wyłączenie dziecka z aktywności, lecz o świadomość, kiedy wymagana jest dodatkowa ostrożność i jak ją zapewnić bez stygmatyzowania dziecka.

Wszystkie te postulaty łączy jedno wspólne doświadczenie: rodzic, który wchodzi do nowej szkoły z dokumentami w teczce, wie że będzie musiał wytłumaczyć wszystko od początku. Jeszcze raz. Tak, jak tłumaczył w poprzedniej szkole, w poprzednim przedszkolu, poprzedniemu nauczycielowi WF-u. To nie jest wyjątkowa sytuacja. To jest standard. I właśnie to jest problem – że coś, co powinno być zapewnione przez system, jest co roku budowane od zera przez rodziców.

5.4 Oczekiwania wobec społeczeństwa

Hemofilia nie jest jednorodna w tym, jak wygląda z zewnątrz. W zebranych materiale są dorośli pacjenci poruszający się o kulach, z endoprotezami, orzeczeniami o niezdolności do samodzielnej egzystencji i perspektywą wózka inwalidzkiego. Są dzieci z cewnikami broviac wyrastającymi z klatki piersiowej, które podciągają koszulki i pokazują sobie nawzajem wejściówki do dostępu żylnego. I są też dzieci i młodzi dorośli, u których przy szybkim dostępie do profilaktyki i nowoczesnej terapii nie widać choroby prawie wcale. To trzy zupełnie różne doświadczenia społeczne, a wszystkie mieszczą się w tej samej diagnozie.

Dla starszego pokolenia pacjentów widoczność choroby była i jest stałym elementem życia. Chodzenie o kulach, szerokie spodnie, żeby ukryć stabilizatory, zakaz sandałów i szortów przez całe dzieciństwo, kulanie, które rzucało się w oczy i definiowało relacje z rówieśnikami. Jeden z rozmówców opisuje, jak dopiero zmiana szkoły i profilaktyka pozwoliły mu po raz pierwszy pojawić się w sandałach. Inny mówi wprost: jesteśmy inwalidami, bo leki nie działały. I dodaje, że dzieci, które dziś dostają nowoczesną terapię mają szansę być zdrowymi ludźmi, czego jemu odebrano.

Dla rodzin dzieci z inhibitorem, które przeszły przez terapię ITI z cewnikiem broviac, widoczność choroby to blizny, ograniczenia w kąpielach, strach przed urwaniem cewnika na placu zabaw. Na obozach dzieci z portami podchodziły do siebie i pokazywały, gdzie mają dostęp. W tym roku te same dzieci przyszły z zastrzykiem w brzuch i pokazywały z uśmiechem.

I wreszcie jest trzeci obraz: dziecko lub dorosły, który przy skutecznej profilaktyce nie wygląda na chorego. I właśnie ta niewidoczność rodzi swój własny rodzaj trudności. Dominujący mit, który pojawia się w niemal każdej rozmowie, to przekonanie, że chory na hemofilię wykrwawi się ze zwykłego skaleczenia. Tymczasem prawdziwe zagrożenie to wylew wewnętrzny, którego nie widać. Dziecko siedzące na kolanach rodzica w autobusie zamiast ustępować miejsca, spotyka się z komentarzami obcych. Niewidoczność bywa traktowana jako dowód braku choroby.

Środowisko pacjenckie wie, że wiedza o hemofilii nie jest czymś oczywistym. Sami jej nie mieli zanim choroba nie weszła w ich życie. Oczekiwania wobec społeczeństwa są więc sformułowane skromnie i dotyczą raczej podstaw niż szczegółów.

Zrozumienie, że hemofilia ma wiele twarzy. Ani widoczna niepełnosprawność, ani jej brak nie są miarą tego, ile ktoś choruje i ile potrzebuje. Dorosły pacjent poruszający się o kulach i dziecko które biega na boisku mogą mieć tę samą diagnozę. Środowisko nie oczekuje litości. Oczekuje rozumienia.

Wiedza o tym, czym naprawdę jest hemofilia. Środowisko nie oczekuje powszechnej znajomości choroby dotykającej sześciu tysięcy osób w Polsce. Oczekuje jednego: żeby mit o krwi, która dłużej płynie ze skaleczenia przestał być jedynym skojarzeniem. Prawdziwe zagrożenie to wylew wewnętrzny, którego nie widać. Ta jedna zmiana w powszechnej świadomości miałaby realne konsekwencje dla nauczycieli, pracodawców i ratowników medycznych.

Wykluczenie społeczne wynikające z niezrozumienia choroby rzadkiej jest zjawiskiem dobrze opisanym w kontekście chorób przewlekłych. W hemofilii przybiera szczególną formę, bo choroba nie mieści się w społecznym schemacie tego, jak poważna choroba wygląda. Środowisko nie prosi o wyjątkowe traktowanie. Prosi o to, żeby brak reakcji nie był domyślnym wyborem.

5.5 Pomysły na usprawnienia zaproponowane przez środowisko

W trakcie rozmów i w zadaniach projekcyjnych rozmówcy nie poprzestali na opisywaniu problemów. Formułowali też konkretne pomysły na rozwiązania — często bardzo precyzyjne, przemyślane i gotowe do wdrożenia. Poniżej zestawiamy te, które padały najczęściej lub były opisane z największą siłą.

System identyfikacji osób z hemofilią w sytuacjach nagłych. Rodziny wożące dzieci z hemofilią szukają sposobu, żeby służby ratownicze wiedziały przy wypadku, że w samochodzie jest dziecko wymagające natychmiastowego podania czynnika. Próbowali różnych rozwiązań: kartki przyklejane do fotelika, naszywki, opaski, nieśmiertelniki. Żadne nie jest standardem. Środowisko proponuje ogólnopolską kampanię naklejkową — oznakowanie samochodu symbolem rozpoznawalnym przez służby i połączone z ich przeszkoleniem. Samo oznakowanie bez edukacji służb nie wystarczy i środowisko jest tego świadome.

Paszport pacjenta z chorobą rzadką. Część rozmówców nawiązuje do dyskusji toczącej się w środowisku chorób rzadkich o wprowadzeniu specjalnego dokumentu dla pacjentów. W przypadku hemofilii taki paszport pozwalałby na natychmiastową identyfikację choroby przy każdym kontakcie ze służbą zdrowia, bez konieczności każdorazowego tłumaczenia od początku. Postulat obejmuje też automatyczne oznaczenie choroby w systemie informatycznym, widoczne przy każdej wizycie lekarskiej niezależnie od placówki.

Mapa punktów przyjaznych hemofilii. Wiedza o tym, które POZ-y, prywatne pielęgniarki i oddziały są gotowe pomóc z podaniem czynnika, istnieje w środowisku i rozchodzi się pocztą pantoflową. Brakuje jej ustrukturyzowania. Sześć tysięcy chorych w Polsce zna już większość takich miejsc. Wystarczy narzędzie, żeby tę wiedzę zebrać i udostępnić. Mapa pomogłaby rodzinom planować wyjazdy i codzienne funkcjonowanie bez strachu, że w nagłej sytuacji nie będzie komu podać czynnika.

Program rodzica-mentora dla nowych rodzin po diagnozie. Rozmówcy z dłuższym stażem wielokrotnie opisują, że to kontakt z innym rodzicem, a nie informacja od lekarza, był dla nich kluczowy w pierwszych miesiącach po diagnozie. Środowisko proponuje sformalizowanie tego jako program: nowe rodziny po diagnozie byłyby łączone z doświadczonymi rodzicami, którzy odpowiadaliby na pytania, których nie zadaje się lekarzowi i pokazywali, jak wygląda normalne życie z hemofilią. Środowisko robi to nieoficjalnie od lat. Brakuje tylko struktury.

Kampania informacyjna w mediach społecznościowych dla personelu medycznego. Rozmówcy zauważają, że kampania rodziców na Instagramie i Facebooku w sprawie refundacji emicizumabu dotarła do lekarzy POZ, którzy o nowym leku dowiedzieli się właśnie z mediów społecznościowych. To obserwacja, która prowadzi do wniosku, że media społecznościowe mogą być skutecznym kanałem edukacji personelu medycznego, nie przez oficjalne szkolenia, lecz przez obecność w przestrzeni cyfrowej, w której lekarze i tak już są.

Gotowe pakiety edukacyjne dla szkół i pracodawców. Rozmówcy wielokrotnie opisują, że sami opracowywali materiały dla nauczycieli i pracodawców, bo systemowych nie było. Środowisko proponuje, żeby we współpracy z ośrodkami hematologicznymi powstały gotowe pakiety: co to jest hemofilia, co zrobić, gdy dziecko uderzy się w głowę, kiedy dzwonić do rodziców, czego absolutnie nie robić. Coś, co dyrektor szkoły mógłby przekazać wszystkim nauczycielom bez angażowania rodzica w kolejne spotkania.

5.6 Czego środowisko pacjenckie dziś najbardziej się boi?

Lęk jest stałym towarzyszem życia z hemofilią. Nie lęk przed samą chorobą, z nią większość rozmówców nauczyła się żyć. To lęk przed tym co robi z nimi system.

” *Gdyby ktoś mi teraz powiedział, że zabierają profilaktykę — no to dla mnie to byłby wyrok, to byłby dla mnie nawet nie wiem, czy nie chcę powiedzieć za mocno, ale wyrok śmierci tak naprawdę. Nie wyobrażam sobie funkcjonowania bez profilaktyki, wrócić do tego, co było, czyli być kompletnie uzależnionym od osób trzecich. To jest dramat. Ja chcę być osobą która daje coś od siebie, a nie biorcą. I właśnie profilaktyka mi to zagwarantowała. Że mogę normalnie żyć.*

Dorosły pacjent, 37 lat

” *Te dzieci, które teraz są na dobrym leczeniu, nie będą doświadczały bólu związanego z wylewami, nie będą wiedziały, co uraz może spowodować. I boję się, że właśnie przez to nie będą wiedzieć, że powinny to leczyć. Że jak nie boli, to po co brać. A profilaktyka nie jest po to, żeby nie bolało teraz. Jest po to, żeby nie bolało za 20 lat.*

*Mama chłopców w wieku 11 lat
oraz 10 miesięcy*

Wiemy, że jeżeli środowisko nie będzie słyszalne, to będzie po prostu bardzo łatwo pozbyć się dużego kosztu w Ministerstwie Zdrowia.

*Mama chłopców w wieku 11 lat
oraz 10 miesięcy*

Największa obawa, wymieniana przez każdego dorosłego pacjenta i większość rodziców, to utrata dostępu do profilaktyki lub cofnięcie refundacji. Narodowy Program podpisywany jest na określone lata i każde jego zbliżające się wygaśnięcie wywołuje realny niepokój. Jedna z mam mówi wprost, że gdyby refundacja przepadła, jedyną opcją byłby wyjazd do kraju, gdzie jest. Nie jako dramatyczny gest, lecz jako poważnie rozważana konieczność.

Drugi lęk dotyczy osiemnastych urodzin. Dla rodziców dzieci na terapii podskórnej zbliżająca się pełnoletność syna jest źródłem bardzo konkretnego strachu. Jeden z rozmówców opisuje tę granicę z zimną ironią: do osiemnastego roku dbaliśmy o pacjenta, żeby był zdrowy, a od osiemnastego mówimy, dobra, teraz możesz być inwalidą.

Trzecia obawa to wypadek z dala od ośrodka. Scenariusz, który dla wielu rodziców jest stałym szumem w tle: wypadek samochodowy, rodzice nieprzytomni, ratownicy nie wiedzą, że w samochodzie jest dziecko z hemofilią. Czynnikiem jest w torbie. Nikt o tym nie wie.

Czwarty lęk jest może najbardziej intymny: że gdy dzieci dorosną, przestaną przestrzegać leczenia. Jedna z mam mówi że jej brat bierze lek dopiero kiedy boli i boi się, że syn pójdzie tą samą drogą.

I wreszcie lęk przed tym, że środowisko przestanie być słyszalne i system cofnie zdobycze. Jeden z rozmówców formułuje to wprost: jeśli środowisko nie będzie słyszalne, bardzo łatwo można pozbyć się dużego kosztu z budżetu.

Środowisko hemofilii wie, że jego siła nie wynika z liczebności — sześć tysięcy osób to zbyt mało, żeby być politycznie istotnym. Wynika z aktywności, z widoczności, z gotowości do walki. I z pełnej świadomości, że ta walka nigdy się nie kończy, bo każda zdobyta refundacja może zostać cofnięta przez kolejną ekipę szukającą oszczędności w budżecie zdrowia. To nie jest cynizm. To jest wiedza zdobywana latami.

5.7 Doświadczenie jako zasób: co powiedzieliby sobie sprzed lat

Pod koniec każdej rozmowy padało to samo pytanie: co byście powiedzieli sobie w chwili diagnozy? Odpowiedzi były zaskakująco zbieżne — nie między sobą, ale ze sobą nawzajem. Jakby przez lata życia z chorobą wszyscy doszli do podobnych wniosków, różnymi drogami.

Żeby słuchać innych rodziców. Bo to oni przeszli najwięcej i mają tak naprawdę największą wiedzę. Lekarz wiadomo, że ma ogrom wiedzy, ale nie patrzy przez pryzmat emocji. A to, co nas uspokoiło najbardziej, to rozmowa z ludźmi, którzy przez to przeszli.

Mama 2-letniego chłopca

Ja bym chciał usłyszeć, że to nie jest niepełnosprawność — to jest pełnosprawność, tylko trzeba szanować swoje zdrowie. Może trochę bardziej niż normalnie. Ale życie w zasadzie się nie zmienia.

Tata chłopców w wieku 11 lat oraz 10 miesięcy

Kiedy pojawiła się moja własna rodzina i dzieci, absolutnie nie dajemy im odczuć, że mam hemofilię. Wręcz przeciwnie — to jest taki mental, że dajemy z siebie jeszcze więcej. Choroba ukształtowała mój charakter, nauczyła mnie życia. Gdybym mógł powiedzieć sobie coś sprzed lat, to powiedziałbym: nie skupiaj się na tym, czego nie możesz, tylko na tym, co możesz dawać. A możesz dużo.

Mężczyzna, 37 lat, hemofilia

Pierwsza rada, powtarzająca się niemal w każdej rozmowie, brzmi: nie bać się. Nie wstydzić się. Nie chuchać i dmuchać. Jedna z mam mówi wprost, że największym błędem było wyłożenie całego mieszkania gąbkami — i że ta decyzja wynikała z lęku, nie z wiedzy. Dziś wie, że dziecko musi mieć możliwość bycia dzieckiem, nawet jeśli jest chore. Że nadopiekuńczość wyrządza tyle samo szkody, co zaniedbanie. Że utwierdzanie dziecka w przekonaniu, że nic nie może, bo choruje, jest wyrokiem gorszym niż sama choroba.

Druga rada to: szukać innych rodziców, i to jak najszybciej. Nie informacji od lekarza, która jest sucha i odległa, lecz kontaktu z kimś, kto przeszedł przez to samo i żyje. Kilkoro rozmówców mówi, że pierwsza rozmowa z innym rodzicem zrobiła więcej niż wszystkie wizyty razem wzięte — bo zobaczyło się dziecko, które biega, które chodzi do szkoły, które nie wygląda na chore. To zmienia wszystko.

Trzecia rada, którą formułują głównie rodzice starszych dzieci i dorośli pacjenci, jest trudniejsza: pozwolić dziecku wiedzieć. Nie ukrywać choroby, nie minimalizować jej, ale też nie dramatyzować. Jeden z ojców mówi, że chciałby usłyszeć na początku, że jego dziecko jest w pełni sprawne i po prostu musi trochę bardziej szanować swoje zdrowie. To zdanie zmieniłoby pierwsze trzy lata.

Dorośli pacjenci dodają jeszcze jedną praktyczną obserwację: warto dokumentować przebieg choroby od początku, bo ta wiedza jest bezcenna na komisjach, w kontaktach z systemem i w rozmowach z nowymi lekarzami. Nikt o tym nie mówi na początku. A powinien.

Środowisko hemofilii dysponuje ogromnym zasobem wiedzy praktycznej, której system nie gromadzi, nie przekazuje i nie traktuje jako wartości. Wiedzy o tym, jak się nie bać diagnozy, jak znaleźć właściwych ludzi, jak myśleć o dziecku, które choruje i jak dokumentować przebieg choroby, żeby system nie mógł jej zignorować. Każda z tych rzeczy była przez kogoś odkryta na własną rękę, przez lata, często przez błąd.

Podsumowanie

Najważniejszy wniosek z tego badania nie dotyczy terapii. Dotyczy tego, co dzieje się gdy skuteczna terapia istnieje, jest znana, jest dostępna w tym samym kraju, i mimo to część chorych jej nie dostaje.

W hemofilii mamy dziś do czynienia z sytuacją, w której niepełnosprawność nie jest już nieuchronną konsekwencją choroby. Jest konsekwencją decyzji o tym, komu i kiedy pozwolić chorobę skutecznie leczyć. To fundamentalna różnica. I to właśnie ona sprawia, że głosy zebrane w tym badaniu mają charakter nie tylko pacjencki, ale etyczny.

Hemofilia w Polsce w roku 2026 to dwa równoległe światy. Jeden, w którym nowoczesne terapie sprawiają, że choroba przestaje determinować codzienność, dzieci rosną bez świadomości własnej choroby, a rodzice mogą planować wakacje bez sprawdzania, gdzie jest najbliższy ośrodek hematologiczny. I drugi, w którym czynnik podaje się co dwa dni w dożylnym wkłuciu, wylewy wracają, stawy się niszczą, a dostęp do nowoczesnego leczenia kończy się dokładnie w osiemnaste urodziny. Granica między tymi dwoma światami nie przebiega wzdłuż biologii choroby. Przebiega wzdłuż decyzji systemowych. I to właśnie ta granica jest głównym przedmiotem tego badania.

Z zebranego materiału wyłaniają się trzy wnioski, które są zarówno konkretne, jak i pilne. Pierwszy: hemofilia jest dziś chorobą, którą można skutecznie kontrolować. Ta wiedza jest w środowisku powszechna. Rozmówcy widzieli to na własnych dzieciach, na własnych ciałach, na bliskich. Wiedzą czym różni się życie z terapią podskórną od życia bez niej. I nie są gotowi wracać do tego, co było.

Drugi: system nie nadąża za tą wiedzą. Decyzje refundacyjne ograniczone wiekiem, kryteria przetargowe oparte na cenie jednostkowej preparatu, dostępność pomocy uzależniona od regionu, orzecznictwo nieuwzględniające epizodycznego charakteru choroby. To obszary, w których luka między tym, co możliwe, a tym, co dostępne jest wyraźna i dokumentowalna.

Trzeci: środowisko pacjenckie nie jest biernym odbiorcą tych decyzji. Jest aktywne, wyedukowane i zdolne do skutecznego działania, co udowodniło już co najmniej raz, doprowadzając do zmiany polityki refundacyjnej. Pytanie nie brzmi, czy to środowisko ma energię i wiedzę. Brzmi, czy system jest gotowy po nie sięgnąć.

Nad całym materiałem unosi się jedno wspólne pragnienie, powtarzające się w każdej rozmowie, niezależnie od wieku i sytuacji życiowej rozmówcy. Nie brak choroby. Normalność. Życie, w którym choroba nie jest centrum wszystkiego. W którym osiemnaste urodziny nie są cezurą. W którym ratownik na SOR-ze wie, że najpierw czynnik. To nie jest wygórowane żądanie. To standard, który w wielu krajach jest już rzeczywistością.

Historie pacjenckie

Poniższe opisy są krótkimi narracjami opartymi wyłącznie na zebranych materiałach z wywiadów. Wszelkie szczegóły identyfikujące – imiona, nazwy miejscowości, konkretne daty – zostały usunięte lub zmienione. Każda historia opowiada o innym człowieku i innym doświadczeniu hemofilii – choć te same słowa wracają w niemal każdej z nich.

Choruje od niemowlęctwa, diagnoza padła, gdy uczył się chodzić – matka zauważyła krwiaki po upadkach. Pamięta czasy krioprecypitatu podawanego kroplówką przez grubą igłę, pamięta szpital jako stały punkt każdego tygodnia. W jednym ze szpitali rehabilitowali go w trakcie wylewu – prostowali kolano siłą, zanim krew się wchłonęła, kładli na wyciąg z kilogramowymi ciężarami. Po półtora roku takiego leczenia kolano nadal nie było wyprostowane. Mama zabrała go na własne żądanie do Warszawy – tam poradzili sobie w półtora miesiąca. Ale nerw w stopie był już uszkodzony. Niedowład, z którym żyje do dziś. Ma trzy endoprotezy, orzeczenie o całkowitej niezdolności do samodzielnej egzystencji i rentę, której nie starcza na opłaty. Żona zrezygnowała z pracy, żeby sprawować opiekę.

Mężczyzna, 37 lat, hemofilia A, postać ciężka

Diagnozę pamięta z opowieści matki – jako małe dziecko skaleczył się w palec, krew długo nie chciała przestać lecieć. Listonosz przyniósł wyniki w kopercie w słoneczny dzień. Matka płakała. Dorastał między szpitalem w rodzinnym mieście i szpitalem oddalonym o kilkadziesiąt kilometrów – i pamięta różnicę między nimi boleśnie: w jednym krzyczeli, musztrowali, prostowali stawy z wylewem. W drugim rozmawiali. Przez lata chodził o kulach, w szerokich spodniach, żeby ukryć stabilizatory. Ukrywał wylewy przed rodzicami, bo nie chciał jechać do szpitala. Na sali leżeli mali chłopcy, z którymi wieczorem się bawił – rano łóżko było pościelone i pielęgniarka mówiła tylko: umarł. Dziś ma trzy endoprotezy, orzeczenie o całkowitej niezdolności do samodzielnej egzystencji i rentę w wysokości 1700 złotych. Na terapię podskórną czeka, choć dostępu dla dorosłych nie ma.

Mężczyzna, 45 lat, hemofilia A, postać ciężka

Choruje od kilkadziesiątu lat – przez większość życia bez profilaktyki lub z profilaktyką, która działała tylko przez dobę i wymagała podania co dwa dni wyłącznie w szpitalu. Ma wnuka z hemofilią leczącego się terapią podskórną, który rośnie w poczuciu, że żadnej hemofilii nie ma. Patrzy na to z mieszaniną radości i goryczy. Sam od kilku lat uczestniczy w badaniu klinicznym nowego preparatu – podaje go rano, zanim wstanie z łóżka, zajmuje to niecałą minutę. W ciągu trzech lat dwa wylewy. Wcześniej dwa lub trzy miesięcznie. Mówi, że terapia powinna być celowana pod pacjenta, a nie wynikać z tabelki urzędnika. Mówi to spokojnie, jak ktoś, kto to zdanie przemyślał przez pół wieku.

Mężczyzna, 59 lat, hemofilia A, postać ciężka

Ma niespełna dwadzieścia lat. Diagnoza padła, gdy miał kilka miesięcy. Przez kilka lat miał port naczyniowy, który wystawał spod skóry w szatni podczas WF-u. Koledzy śmiali się, że ma trzeci sutek. Nauczyciele nie reagowali. Teraz studiuje grafikę trójwymiarową, chodzi normalnie na zajęcia, nie kuleje, nie ukrywa się. Mówi, że bardziej przeszkadzali mu ludzie niż choroba. Że nauczył się ich ignorować i szukać nowych. Na terapię podskórną nie ma dostępu – jest za stary. Gdyby ją dostał, przyszedłby od razu, bez pytań.

Mężczyzna, 19 lat, hemofilia A, postać ciężka

Pierwsze wspomnienia to korytarz szpitalny i ławka przed zastrzykiem. Do piątej klasy mama wzięła go do szkoły i czekała na świetlicy, choć dom był oddalony o dwa skrzyżowania. Po lekcjach jechał do szkoły muzycznej, w niedzielę na basen. Choroba była tłem, ale mama bardzo się bała i rzadko go gdziekolwiek puszczała. Przez całą szkołę zmagał się z tym samym wzorcem: nowe klasy, przekonanie kolegów że ma fory, że jest inaczej traktowany. W ostatniej klasie technikum sam poszedł do psychologa i poprosił o spotkanie z tymi, którzy go gnębili. Dwugodzinna rozmowa zmieniła wszystko. Studia były pierwszym dobrym startem szkolnym w jego życiu. Dziś profilaktyka co dwa dni jest uciążliwa i monotonna. Mówi, że się przyzwyczał – ale dalej mu przeszkadza, że musi wstać rano i najpierw to zrobić.

Mężczyzna, 23 lata, hemofilia A, postać ciężka

Diagnoza padła, gdy miał 9 miesięcy. Przez całe dzieciństwo miał port naczyniowy wszczepiony pod skórę. W szatni podczas WF-u wystawał spod koszulki – koledzy śmiali się, że ma trzeci sutek. Nauczyciele nie reagowali. Miał też zespół Aspergera i przez to częściowe nauczanie indywidualne – klasa nie traktowała go, jak pełnoprawnego jej członka, kilkoro rówieśników dokuczało. Od 14. roku życia sam sobie podaje czynnik – nauczył się na obozach dla dzieci z hemofilią, bo wiedział, że inaczej nie mógłby wyjechać na wycieczkę szkolną, a mama nie mogłaby nigdzie wyjechać beze mnie. Teraz studiuje na politechnice. Na terapię podskórną nie ma dostępu – jest za stary. Mówi spokojnie, że cierpliwie czeka. Żyły są już wyeksploatowane i musi szukać nowych miejsc do wkłucia.

Mężczyzna, 19 lat, hemofilia A, postać ciężka

Jest mamą hemofilika i córką hemofilika. Ojciec miał przykurcze w kolanach i łokciach, leków po wojnie nie było, choroba postępowała przez całe życie. Gdy syn się rodził, była prawie pewna diagnozy. Zawiozła go na badania, gdy miał pół roku, wynik potwierdził hemofilię A zanim cokolwiek się stało, zanim był pierwszy wylew. Mówi, że nie było w niej emocji, wiedziała, czym to grozi. Przez lata dojeżdżali 90 km do specjalisty, najpierw autobusem, 2 km do przystanku, potem godziny jazdy w obie strony. W razie potrzeby w środku nocy, do pielęgniarki, która nigdy nie odmówiła pomocy. Syn ma teraz 14 lat i uczy się wkłuwać sam. Mama nauczyła się podczas pandemii i przy pierwszym podaniu nie wiedziała, kogo ratować: siebie czy syna. Jej rada: nie bać się i nie wstydić.

Mama i syn, 14 lat, hemofilia A, postać ciężka

Wychowuje syna sama. Choroba jest w rodzinie, brat też choruje. Lekarka przy porodzie zobaczyła wyniki i powiedziała wprost: to hemofilik, palcem go nie dotknę. Syn zabrany z sali już jako niemowlę. Mówi, że wiedziała o chorobie od dziecka, więc nie wpadła w panikę, ktoś musiał być spokojny. Brat ma jedną nogę trochę inną, wykrzywiony mięsień przez wylewy do kolana, których nie leczono profilaktycznie. Syn chodzi normalnie, nic nie widać. Na emicizumabie prawie zapomniała, że coś jest, musi sobie zapisywać datę podania w kalendarzu, bo się zapomina. Mówi, że jak popatrzyysz na dzieci z rakami, bez włosów, widzisz dopiero, że twoje dziecko może żyć normalnie.

Mama i syn, 11 lat, hemofilia A, postać ciężka

Mama miała brata z hemofilią, gdy ginekolog powiedział, że urodzi chłopca, wiedziała, że może być choroba. Diagnoza padła miesiąc po urodzeniu, jeszcze przed pierwszym wylewem. Brat mamy będzie miał 40 lat, widzi, jak inaczej wyglądało jego życie bez profilaktyki. Teraz syn jest na emicizumabie i mama mówi, że na pewno jest prościej niż wcześniej. Lokalny ośrodek na pierwszej wizycie powiedział, że powinni zmienić ośrodek, bo oni im nie pomogą. Pielęgniarki w przychodni odmawiają podania czynnika, boją się. Mama mówi: pielęgniarka z kilkudziesięcioletnim stażem powinna umieć podać zastrzyk dożylny. Powinna, ale nie chce.

Mama, tata i syn, 3,5 roku, hemofilia A, postać ciężka

Diagnoza, gdy syn miał 8 miesięcy, dziwne wypukłe siniaki na rączkach i nóżkach. Kilka miesięcy chodzenia po lekarzach, najpierw witamina D, potem dalsze przypuszczenia. Dopiero prywatna wizyta i źle pobrana krew, ręka spuchła, trafili na SOR, rano diagnoza. Dla mamy największym szokiem nie była sama diagnoza, ale to, że czynnik trzeba podawać dożylnie co dwa dni. Oboje pracowali, musieli brać urlopy na każde podanie w szpitalu. Mają szczęście, szpital jest w tym samym mieście i dosłownie za rogiem mieszka pielęgniarka, która przychodziła do domu. Teraz syn ma 15 lat i stoi przed wyborem szkoły średniej. Mówią, że gdyby mogli coś zrobić inaczej, zadbaliby o wsparcie psychologiczne, rówieśnicy długo nie rozumieli czym choroba jest.

Mama, tata i syn, 15 lat, hemofilia A, postać ciężka

Starszy syn zdiagnozowany, gdy miał kilka miesięcy, siniaki jak odciski od opuszków palców na plecach. Pediatra zleciła aPTT, wynik bardzo wydłużony, tego samego dnia skierowanie do szpitala. Proponowano termin za 3 tygodnie. Dzwonili na wszystkie numery aż trafili. Diagnozę postawiła profesor na podstawie siniaków i wywiadu, bez czekania na wyniki badań. Szybko okazało się, że syn ma inhibitor. Przez lata wylewy do kostki, cewnik Broviac, podawanie dwa razy dziennie. Mama pierwszy raz samodzielnie podała czynnik podczas świąt Bożego Narodzenia, gdy mąż był w delegacji, a syn uderzył głowę. Teraz starszy syn jeździ rowerem do szkoły, sam zgłasza urazy, mówi, gdzie boli. Młodszy ma 10 miesięcy, rodzice uczą się od początku, tym razem z Hemlibrą.

Mama, tata i dwóch synów, 11 lat i 10 miesięcy, hemofilia A, postać ciężka

Diagnoza, gdy syn miał 3 miesiące, karetką w nocy do Lublina. Mama podawała czynnik sama od początku, bez wsparcia lokalnej przychodni. Gdy syn miał 13 lat, przeszedł na terapię podskórną w ramach badania klinicznego, jeden z kilku pacjentów, którzy spełniali kryteria wiekowe. Gdy usłyszał, że będzie podskórnie i raz w miesiącu, powiedział rodzicom od razu: tak, nie ma innej opcji. System losował częstotliwość, wylosował raz w miesiącu. Sam sobie podaje, bezbolesnie, mówi, że czasem nie czuje, że się wkłuł. Gra w koszykówkę, wspina się, jeździ konno. Mówi, że to samo uderzenie na poprzednim leku dawało krwiaka, na tym jest jak siniak u zdrowej osoby. Mama: życzę każdemu hemofilikowi tego leczenia i nie życzę nikomu klucia dożylnego.

Mama, tata i syn, 17 lat, hemofilia A, postać ciężka, udział w badaniu klinicznym

Mama jest nosicielką, tata i wujek obaj chorowali na hemofilię. Wujek zaraził się wirusem C przez czynniki osoczo pochodne, jako dzieci biegali wymieniać mu zimne okłady z altacetem na stawy. Wiedziała, że będzie miała syna z hemofilią. Urodziła przez cesarskie cięcie, obudziła się na sali wybudzeniowej i pytała gdzie jest syn. Był na OIOM-ie, syn krwawił z główki przez 12 godzin po pobraniu krwi z żyły, na oddziale nie było podstawowych środków do tamowania. Mama kłóciła się z personelem. Wyszli w Wigilię na własne żądanie. Szybko okazało się, że syn ma inhibitor, jeszcze przed pierwszymi urodzinami. Przez lata przeprowadzili się bliżej szpitala i lekarki prowadzącej. Teraz syn jest na emicizumabie i ma 12 lat. W trakcie wywiadu telewizyjnego w połowie zdania zmienił temat i zaczął mówić o komiksie o Minecraftie. Wszyscy na sali spojrzeli po sobie. Mama mówi: nie wyobrażam sobie, gdyby odebrano im tę terapię.

Mama, tata i syn, 12 lat, hemofilia A, postać ciężka, inhibitor

Hemofilia pojawiła się bez żadnej historii w rodzinie. Diagnoza padła w czwartej dobie życia, kiedy krew z nakłucia pięty nie chciała przestać lecieć. W piątej dobie wylew do głowy, o którym rodzice dowiedzieli się dopiero nazajutrz, przyjeżdżając do szpitala. Nikt nie zadzwonił w nocy. Mama zrezygnowała z pracy, nauczyła się podawać czynnik, bo pielęgniarki w przychodni bały się dziecka dotknąć. Kiedy syn miał skurcz oskrzeli, lekarz był na łączu z Lublinem i tłumaczył, co robić. Leki podawała mama. Pielęgniarki stały dookoła i patrzyły. Po tej wizycie zapisała się na studia pielęgniarskie. Syn ma prawie dziewięć lat, od trzech lat na leku podskórnym raz w miesiącu. Mama mówi, że czasami zapomina zapisać datę podania, bo dziecko funkcjonuje jak zdrowe. W szkole wychowawczynie nie wie, jak wymówić nazwę choroby. W przedszkolu było inaczej.

Mama 9-letniego chłopca, hemofilia A, badanie kliniczne



Materiał przygotowany na zlecenie hematoonkologia.pl przez:

