

ISSN 1429-8287

MATIO

**KWARTALNIK FUNDACJI POMOCY
RODZINOM I CHORYM NA MUKOWISCYDOZĘ**

PISMO BEZPŁATNE

nr 4 (106) 2024

MATIO



Głos „Matio”
z przeszłości...
(str. 3)

Łapiąc oddech
(str. 5)

Standardy opieki
w terapii specyficznej
dla danego wariantu
CFTR... (str. 8)

Zasady postępowania
z nebulizatorem...
(str. 12)

Konkurs poetycki
„Witaj szkoło”
(str. 23)

Cukrzyca związana
z mukowiscydozą
(str. 25)



mukowiscydoza

W Dzień Bożego Narodzenia

Wszystko jest, jak przed rokiem:
na szybach srebrne kwiaty
i ten sam obraz w ramach okien;
świat biały, jak opłatek...

Będzie wilia! – Uśmiechną się ludzie,
do świątecznej zasiądą wieczerzy –
błogosławiony grudzień!...
„W źłobie leży – któż pobieży...”

Zdzisław Kunstman

Kiedy ziemię pokrywa warstwa białego śniegu to widoczny znak – nadeszła zima. Kiedy mróz oczyszcza powietrze tak, że gwiazdy lśnią jeszcze intensywniej, zwracamy swoje myśli ku nadchodzącym Świętom Bożego Narodzenia.

Podświadomie zadajemy sobie pytanie: które to już Święta w naszym życiu? Chociaż doskonale to wiemy, to mamy świadomość, że co roku przeżywamy je inaczej i tylko od nas zależy czy pozostaną na dłużej w naszej pamięci.

Dzisiejszy świat wciąż zwraca uwagę na magię, niesamowitość, ciepło tego rodzinnego czasu i oferuje coraz to nowe możliwości na ozdabianie domów czy choinek. Sklepy i reklamy kuszą nas wyjątkowymi propozycjami prezentów. W tym całym hałasie i zabieganiu przygotowań często gubi się ciszę i spokój oraz to, co tak naprawdę jest najważniejsze. Nawet jeśli zadbamy w najmniejszym szczególe o tradycyjne przygotowanie Wigilii, a nasze choinki zajaśnieją tysiącem światełek, jeśli nie zadbamy o swoje relacje z innymi ludźmi, a szczególnie bliskimi naszemu sercu, to nasze święta będą świecić wewnętrzną pustką. Czas przy wigilijnym stole powinien być również momentem na uświadomienie sobie priorytetów i wartości, które nadają sens naszej egzystencji, a o których tak często zapominamy.

Święta Bożego Narodzenia dla wielu z nas są też takim nostalgicznym, pełnym zadumy i refleksji czasem w którym wracamy do przeszłości i z optymizmem patrzymy w kierunku przyszłości. To dobra okazja, by spojrzeć wstecz, podsumować osiągnięcia, ale też wyciągnąć wnioski z porażek. Może to być także moment na postanowienia na przyszłość.

Święta Bożego Narodzenia niosą też ze sobą wiele emocji – radość, nostalgia, czasem smutek. To czas, który przypomina nam o wartości prostych chwil i o tym, co w życiu najważniejsze.

Życzymy Wam, aby te Święta Bożego Narodzenia przyniosły radość, spokój i miłość do Waszych serc. Niech magia tego czasu otuli Was ciepłem rodzinnych spotkań, a nowy rok obdarzy nadzieją i spełnieniem marzeń. Wspólnie spędzone chwile niech będą pełne uśmiechu, a wszelkie trudności niech staną się tylko wspomnieniem. Wesołych Świąt!

Reakcja i Zespół Fundacji MATIO

MATIO 4/2024 (106)

Redaktor Naczelny:
Paweł Wójtowicz

Zespół Redakcyjny:
Renata Dropińska, Ada Bryś

Współpraca:
Patrycja Kłysz, Agnieszka Sugden,
Jerzy Wicha, dr n.med. i n. o zdr. Anna Ziółko

Adres redakcji:
30-507 Kraków, ul. Celna 6
tel./fax (12) 292 31 80
www.mukowiscydoza.pl
e-mail: krakow@mukowiscydoza.pl

Opracowanie graficzne:
Jacek Zieliński

Druk:
Drukarnia Technet, Kraków

Wydawca:
Fundacja MATIO (nakład: 6000 egz.)

Redakcja nie odpowiada
za treść ogłoszeń i reklam.

Redakcja zastrzega sobie prawo do skracania i opracowania edytorskiego nadesłanych tekstów oraz do dokonywania zmian w przysłanych tekstach (korekta, tytuł, nagłówki itp.), jednak bez naruszania zasadniczej treści publikacji. Tekstów nadesłanych nie zwracamy. Nadesłanie tekstu nie jest równoznaczne z jego opublikowaniem. Za treść nadesłanej publikacji naruszającej prawa autorskie, odpowiedzialność ponoszą autorzy nadsyłanych prac.

Czasopismo dofinansowane ze środków PFRON w ramach programu „Sięgamy po sukces”



Państwowy Fundusz
Rehabilitacji Osób
Niepełnosprawnych

*Boże,
użyj mi pogody ducha,
abym pogodził się z tym,
czego nie mogę zmienić,
odwagi,
abym zmienił to, co mogę,
i mądrości,
bym odróżniał jedno
od drugiego.*



FUNDACJA POMOCY
RODZINOM I CHORYM
NA MUKOWISCYDOŻĘ

Na okładce: „Wioska Mikołaja”, 2021
– realizacja (wraz z zespołem) i fotografia –
Magda Warzecha

Głos „Matio” z przeszłości...

Leonardo Da Vinci

MATIO 1/2008

Fundacja zawsze dokładała starań, aby chorzy na mukowiscydozę byli zaopiekowani przez wysoko wykwalifikowanych specjalistów. W 2008 r. z angielskim CF TRUST, dzięki wsparciu Wspólnoty Europejskiej, realizowaliśmy projekt „Leonardo Da Vinci”.

Mukowiscydoza okiem genetyka

MATIO 2/2008

Zagadnienia genetyki w mukowiscydozie są tak istotne, że co jakiś czas piszemy o nich na łamach naszego czasopisma, jeden z takich artykułów znajdziecie Państwo w numerze 2 z 2008 r.



Wybór zawodu

MATIO 4/2008

W tym numerze kwartalnika podjęliśmy problem, który dzisiaj jest tak samo, a może jeszcze bardziej aktualny, a mianowicie podjęcie przez chorego pracy zawodowej.



MATIO POLECA

BREATH TAKING. THE POWER, FRAGILITY, AND FUTURE OF OUR EXTRAORDINARY LUNGS

Michael J. Stephen, MD
Atlantic Monthly Press, New York
First Grove Atlantic hardcover edition: January 2021

Książka „Breath Taking. The Power, Fragility, and Future of Our Extraordinary Lungs,” (**Łapiąc oddech. Nasze niezwykle płuca, ich siła, słabości i przyszłość**) autorstwa Michaela J. Stephena, MD, to lektura, która

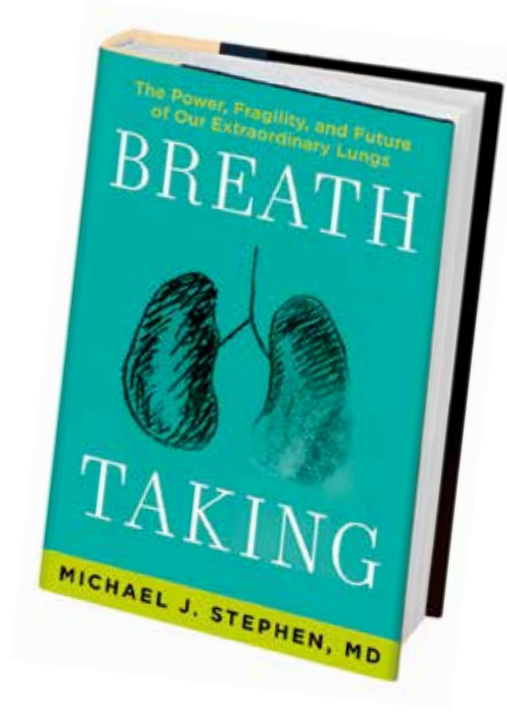
złębia temat ludzkich płuc z wielu perspektyw. W książce tej autor przedstawia nie tylko biologiczne i medyczne aspekty funkcjonowania płuc, ale również omawia ich wpływ na nasze zdrowie, jakość życia, a także zmieniające się wyzwania, przed którymi stają współczesne społeczeństwa w kontekście zmian klimatycznych, zanieczyszczeń powietrza i nowych chorób płuc.

Stephen, jako doświadczony lekarz, w przystępny sposób przekazuje skomplikowane zagadnienia dotyczące anatomii i fizjologii płuc, jednocześnie uwzględniając historie pacjentów, które ilustrują, jak poważne mogą być konsekwencje zaniedbań w dbaniu o zdrowie układu oddechowego. Książka podejmuje również temat mukowicydozy, która podobnie jak inne przewlekłe choroby

płuc, zmienia życie pacjentów i wymaga kompleksowego podejścia terapeutycznego oraz porusza kwestie związane z nowoczesnymi metodami leczenia.

Dla osób zainteresowanych biologią człowieka, zdrowiem publicznym oraz wyzwaniem współczesnej medycyny, „Breath Taking” jest wartościową pozycją, która zmusza do refleksji nad tym, jak wielką rolę w naszym życiu odgrywają płuca i jak krucha jest równowaga, którą zapewniają.

„Łapiąc oddech” składa się z czterech części: (1) omawiającej znaczenie płuc w ukształtowaniu naszych fizycznych i duchowych początków, (2) omawiającej zagrożenia dla płuc ze strony zmieniającego się otoczenia, (3) o przyszłości płuc oraz (4) zatytułowanej „Życie, miłość i płuca” w całości poświęconej mukowiscydozie, historii odkrycia tej choroby, badaniom nad jej leczeniem i odkryciu modulatorów białek – nowoczesnych leków przeciw tej chorobie. **Tę część, „Życie, miłość i płuca”, przedstawimy Państwu w polskim tłumaczeniu na łamach naszego kwartalnika, począwszy od tego numeru.**



WOKÓŁ MUKOWISCOZOZY...

Łapiąc oddech.

Nasze niezwykłe płuca, ich siła, słabości i przyszłość

(Część IV. Życie, miłość i płuca

Rozdział 14. Najwspanialsza medyczna historia nigdy nieopowiedziana)

część 1

Mukowiscydoza (*Cystic Fibrosis*, CF) łączy trzy główne tematy tej książki – centralne znaczenie płuc, męstwo pacjentów dotkniętych tą wyniszczającą chorobą oraz znaczenie ciężkiej pracy, przenikliwych obserwacji i współpracy dla postępów wiedzy medycznej.

W połowie 20-go wieku ludzie urodzeni z CF mieli średnią oczekiwaną długość życia mniejszą niż pięć lat, obecnie ten okres zbliża się do pięćdziesięciu lat.¹ Historia postępu w tej dziedzinie to nie tylko historia badań nad tym, jak rozpocząć leczenie choroby. Pewnego dnia w niezbyt odległej przyszłości to może być kwestia badań nad tym jak

zakończyć istnienie tej choroby. Osiągnięcia naukowców, a także pacjentów i ich rodzin, są zupełnie nadzwyczajne. Samo wykrycie tej choroby jest nadzwyczajną historią.

Bardzo ważnym dniem dla pacjentów dotkniętych mukowiscydozą był 25 sierpnia 1898 r. Tego dnia Francis Collins, wysoki, szczupły mężczyzna o brązowych włosach i niesfornych wąsach, stał w jasnym świetle reflektorów przed dwudziestoma kamerami na szeroko nagłośnionej konferencji prasowej. Znany z sukcesów uczonec z Uniwersytetu w Michigan i przyszły dyrektor Narodowego Instytutu Zdrowia (National Health Institute), Collins, z po-

tem na czole ze zdenerwowania ogłosił, że został odkryty fundamentalny defekt genetyczny mukowiscydozy, zdecydowanie oświadczając, że została założona „baza główna” do zdobycia Mount Everestu, którym jest mukowiscydoza. Zdobyć szczytu – wyleczenie CF – jest przypuszczalnie odległe o dwanaście miesięcy, albo blisko tego czasu.

Ale miesiące zmieniły się w lata, a lata zmieniły się w dekady i obietnica prostej wspinaczki na szczyt góry się nie spełniła. Chorzy na CF, ich rodzice i lekarze w całym kraju, mogli wysłuchać konferencji prasowej, ale ciało ludzkie jej nie zauważyło. Chociaż odkryto błąd genetyczny, nie nastąpił przełom w terapiach, a postęp się zatrzymał.

Choroba genetyczna, mukowiscydoza, prawdopodobnie występowała przez tysiące lat. Opis tego, co było prawie na pewno mukowiscydozą, pojawił się w średniowieczu, kiedy ludzie mówili „biada dziecku, pocałowanie którego w czoło zostawia słony smak, gdyż jest ono napiętnowane i musi wkrótce umrzeć”. Pierwsza znana autopsja pacjenta CF pochodzi z 1595 r. i została przeprowadzona przez Petera Pauw na Uniwersytecie w Leiden w Holandii. Dokonał on pośmiertnej sekcji „zauroczonego” dziecka i stwierdził, że trzustka dziecka jest zastąpiona tłuszczem – „opuchnięte, stwardniałe, błyszczące białe”.²

Później, w XIX wieku, udokumentowano opisy tego, co prawdopodobnie było mukowiscydozą, już w czasach, gdy zastosowanie autopsji w medycynie stało się przyjętym sposobem gromadzenia wiedzy o chorobach. Dr Carl von Rokitansky, na Uniwersytecie we Wiedniu, wykonał około trzydziestu tysięcy sekcji w okresie od 1830 do 1878 r. W jednym przypadku opisał on zablokowane jelita przez nie mogący się wydostać stolec u dziecka, które zmarło wkrótce po urodzeniu. Ten objaw – zablokowanie jelit – prawie zawsze wskazuje na CF.

W ciągu kolejnych lat pojawiły się inne opisy dzieci, które prawdopodobnie miały mukowiscydozę, a których większość zmarła z niedożywienia. To, co powodowało największą śmiertelność w CF było wówczas złe przyswajanie pożywienia. Żeby umożliwić nam przyswajanie składników pokarmowych nasza trzustka wytwarza enzymy, które przetwarzają tłuszcze, białka i węglowodany posiłku tak, że mogą one być absorbowane z cienkich jelit. Pacjenci z mukowiscydozą zwykle rodzą się ze zniszczoną już trzustką i bez enzymów, które dziś przepisujemy jako lekarstwo. Te niemowlęta nie były w stanie przyswajać składników pokarmowych, co pozwoliłoby na przybieranie na wadze, i umierają w przeciągu kilku miesięcy.

Liczba opublikowanych raportów chorobowych z klasycznymi oznakami i objawami mukowiscydozy zwiększyła

się w 1930 r. Autorzy tych publikacji prawie na pewno opisywali CF, ale nie zdawali sobie sprawy, że obserwują odrębną jednostkę chorobową, gdyż mukowiscydoza była często mylona z celiakią – inną chorobą powodującą złe przyswajanie pożywienia. Jeden z tych opisów pochodzi od dr Guido Fanconi, szwajcarskiego pediatry, który zostawił swój ślad w wielu dziedzinach medycyny. W 1936 r. opisał on dwoje dzieci mające obydwaj objawy – śluz w płucach i niewydolność trzustki. Jedno z nich zmarło w wieku trzech miesięcy, drugie – trzech lat. Termin *cystic fibrosis* został po raz pierwszy użyty w tym opisie, a odnosił się on nie tylko do zmian w płucach, ale także do patologicznego stanu trzustki z tłuszczowymi zagłębieniami (cystami) zmieszanyymi ze zwłóknieniem.

Dr Fanconi sądził, że nazywa coś nowego, ale nie znalazł za to odkrycie należytego uznania. Jak to bywa zwykle w świecie nauki, uczeni zyskują uznanie tylko wtedy, gdy przekonają resztę społeczności, że ich odkrycie jest naprawdę oryginalne. **Osobą, która tego dokonała i której publikacja z 1938 r. opisująca mukowiscydozę uważana jest za początek akademickich badań nad CF, jest dr Dorothy Andersen z Uniwersytetu Columbia.**

Dr Dorothy Andersen, urodziła się w 1901 r. w Karolinie Północnej jako jedyne dziecko ojca Duńczyka, który zmarł, gdy miała ona trzynaście lat, i matki Amerykanki borykającej się chronicznymi kłopotami zdrowotnymi. Na niej spoczywały liczne obowiązki związane z utrzymaniem rodziny. Dopiero po 1920 r., kiedy zmarła jej matka, mogła się poświęcić studiom medycznym podejmując naukę najpierw w Mount Holyoke College, a następnie w Johns Hopkins School of Medicine i uzyskując stopień naukowy doktora medycyny (MD) w 1928 r. Ukończyła też ona specjalizację w dziedzinie chirurgii w Strong Memorial Hospital w Rochester, Nowy Jork, lecz potem, ze względu na płęć, odmówiono jej przyjęcia na staż zawodowy. Niezrażona dyskryminacją kontynuowała pracę badawczą w dziedzinie patologii podejmując stanowisko asystenta w Uniwersytecie Columbia w 1930 r. Kilka lat później dołączyła już do grona samodzielnych pracowników naukowych.³

W 1935 r. przeprowadzając autopsję trzyletniego dziecka zmarłego, jak przypuszczano, z powodu celiakii, dr Andersen najpierw podejrzewała coś zupełnie innego. Trzustka dziecka, zwykle normalna przy takim schorzeniu, nosiła znamiona choroby. W tym przypadku była błyszcząco biała, podobnie, jak to opisał Pauw w 1595 r. Oględziny jej wycinka pod mikroskopem wykazały, że normalna tkanka w większości została zastąpiona komórkami tłuszczowymi połączonymi z fragmentami cyst i włókien. Najwyraźniej

ten organ nie był w stanie wytwarzać enzymów niezbędnych do trawienia.

Czułość badawcza została pobudzona. Dr Andersen zaczęła myśleć o zgonach innych dzieci, spowodowanych zaburzeniami trawienia i anomaliami trzustki. Takie zdarzenia chorobowe znalazła w swojej własnej instytucji, a o wielu innych dowiedziała się od patologów z całego kraju. Ostatecznie, zgromadziła ona czterdzieści dziewięć przypadków, które opisała w 1938 r. w pracy naukowej zatytułowanej „Cystic Fibrosis of the Pancreas and its Relation to Celiac Disease”.⁴

Ta publikacja dowodząca, że występuje uprzednio nierozpoznana choroba niemowląt i małych dzieci wywołała wielkie poruszenie w kręgach medycznych na całym świecie. Dr Andersen uwzględniła w niej również prace lekarzy z innych szpitali, co niewątpliwie zwiększyło zainteresowanie ze strony całego środowiska, ale tym, co w największym stopniu podniosło jej znaczenie była liczba opisanych przypadków ekspotencjalnie większa niż w jakichkolwiek innych artykułach naukowych na ten temat. Po ukazaniu się publikacji dr Andersen, lekarze na całym świecie zaczęli zdawać sobie sprawę, że opisywany przez nią zespół objawów nie ma nic wspólnego z celiakią i że mają do czynienia z chorobą dotąd nie diagnozowaną.

W ciągu dwóch następnych dekad dr Andersen kontynuowała badania kliniczne nad CF, osiągając pozycję wiodącego na świecie specjalisty. W 1946 r. wspólnie ze swoim zawodowym kolegą, dr Russellem di Sant’Agnese’em, opublikowała pierwsze sprawozdanie z zastosowania antybiotyków w walce z infekcją dróg oddechowych pacjentów z CF i w tym też roku prawidłowo rozpoznała, że mukowiscydoza jest autosomalną, recesywną chorobą genetyczną. Oznacza to, że jeśli jeden z rodziców jest nosicielem genu z defektem CF, to choroba nie dotknie dziecka. (W odróżnieniu od „autosomalnych dominujących” chorób genetycznych w których występowanie wadliwego genu już u jednego z rodziców powoduje chorobę).

Z tymi postęпами, dr Andersen i dr di Sant’Agnese zdołali zmienić mukowiscydozę z choroby rozpoznawalnej *post mortem* w chorobę diagnozowaną żywym pacjentom. Oni też opracowali pierwszy test na CF, w którym bada się cienkie jelito na obecność pewnego enzymu, później inny test, odkryty głównie dzięki przypadkowi i za sprawą dotkliwego ataku fali ciepła w Nowym Jorku w 1948 r.

W Nowym Jorku klimatyzacja wewnątrz nie była powszechnie stosowana i wiele małych dzieci trafiało do szpitala Uniwersytetu Columbia z powodu odwodnienia. Dr di Sant’Agnese zauważył, że znaczna część tych dzieci była zdiagnozowana jako chore na mukowiscydozę. Przyjął on

hipotezę, że tacy mali pacjenci mają większą skłonność do wydalania soli z potem, a woda jest wydalana łącznie z solą, co prowadzi do odwodnienia, które obserwował. Zebrał on ich pot i zbadał. Jak się okazało, poziom soli w pocie był tak wysoki, że nie mieścił się w skali znanych wykresów. (Teraz wiemy, od czego pochodzi średniowieczne powiedzenie „biada dziecku, pocałowanie którego w czoło zostawia słony smak”). Nawet dziś, kiedy dysponujemy zaawansowanymi testami genetycznymi, oznaczenie wysokiego poziomu soli w pocie jest „złotym standardem” przy diagnozowaniu mukowiscydozy.

Tłumaczenie Jerzy Wicha

Przypisy i odsyłacze literaturowe

1. Bruce C. Marshall, M.D. „Survival Trending Upward But What Does This Really Mean?” Cystic Fibrosis Foundation, CF Community Blog, November 16, 2017, <https://www.cff.org/CF-Community-Blog/Posts/2017/Survival-Trending-Upward-but-What-Does-This-Really-Mean/>.
2. James Littlewood, „The History of Cystic Fibrosis”, Cystic Fibrosis Medicine website, www.cfmedicine.com.
3. Stephanie Clague, „Dorothy Hansine Andersen”, Lancet Respiratory Medicine 2, no. 3 (March 1, 2014):184–185.
4. Dorothy H. Andersen, „Cystic Fibrosis of the Pancreas and Its Relation to Celiac Disease: a Clinical and Pathologic Study”, American Journal of Diseases of Children 56, no.2 (1938): 344–399.
5. Walter F. Naedele, „Dr. Milton Graub, 90, Pediatrician”, Philadelphia Inquirer, July 19, 2010, https://www.inquirer.com/philly/obituaries/20100719_Dr_Milton_Graub_pediatician.html.
6. L. C. Tsui, M. Buchwald, D. Barker, et al., Cystic Fibrosis Locus Defined by a Genetically Linked Polymorphic DNA Marker”, Science 230 (1985):1054–1057.
7. J. M. Rommens, M. C. Iannuzzi, B. Kerem, et al., „Identification of the Cystic Fibrosis Gene: Chromosome Walking and Jumping”, Science 245 (1989): 1059–1065.
8. „Warren Alpert Foundation Prize Symposium”, YouTube video, 4:00:20, poster by Harvard Medical School, October 5, 2017, https://www.youtube.com/watch?v=VE8yB_RA9k.
9. P. M. Quinton, „Chloride Impermeability in Cystic Fibrosis”, Nature 301, no. 5899 (February 3, 1983): 421–422.
10. Carl Zimmer, „Ancient Viruses Are Buried in Your DNA”, New York Times, October 4, 2017, <https://www.nytimes.com/2017/10/04/science/ancient-viruses-dna-genome.html>.
11. Robert F. Higgins, Sophie LaMontagne, and Brent Kazan „Vertex Pharmaceuticals and the Cystic Fibrosis Foundation: Venture Philanthropy Founding for Biotech”, Harvard Business School Case no. 9-808-005, October 2007 (revised July 2013).
12. Bonnie W. Ramsey, Jane Davies, N. Gerard McElvaney, et al., „A CFTR Potentiator in Patients with Cystic Fibrosis and the G551D Mutation”, New England Journal of Medicine 365, no. 18 (November 3, 2011): 1663–1672.
13. Claire E. Wainwright, J. Stuart Elborn, Bonnie W. Ramsey, et al., „Lumacaftor–Ivacaftor in Patients with Cystic Fibrosis Homozygous for Phe508del CFTR”, New England Journal of Medicine 373 (2015): 220–231.
14. Jennifer L. Taylor-Cousar, Anne Munck, Edward F. McKone, et al., „Tezacaftor–Ivacaftor in Patients with Cystic Fibrosis Homozygous for Phe508del”, New England Journal of Medicine 377, no. 21 (November 23, 2017): 2013–2023.
15. Peter G. Middleton, Marcus A. Mall, Pavel Dřevinek, et al., „Elexacaftor–Tezacaftor–Ivacaftor for Cystic Fibrosis with a Single Phe508del Allele”, New England Journal of Medicine 381, no. 19 (November 7, 2019): 1809–1819.
16. Kilniczne spotkania Autora 18 grudnia 2019 r. i 8 stycznia 2020 r.

Standardy opieki w terapii specyficznej dla danego wariantu CFTR (w tym modulatorów) dla osób z mukowiscydozą

Część 5

Płodność i karmienie piersią

Andrea Gramegna, Connie Takwira, Michal Shteinberg

Kobiety chore na mukowiscydozę wykazują zwiększone wskaźniki niepłodności z powodu wielu przyczyn, w tym zaburzeń endokrynologicznych i barierowych [102, 103].

Wzrost liczby ciąży odnotowano po terapii ivacaftorem [104]. Niedawno, niezamierzone ciąże zostały zarejestrowane w ciągu kilku tygodni od rozpoczęcia terapii elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor [104–107]. Kobiety z mukowiscydożą zgłaszają niedostateczne stosowanie antykoncepcji, a niezamierzone ciąże są rozpoznany problemem [108, 109].

Przed rozpoczęciem terapii VST kobiety powinny zostać poinformowane o ryzyku niezamierzonej ciąży (Stwierdzenie 19, tabela 2). Stosowanie środków antykoncepcyjnych powinno zostać poddane ocenie i, jeśli to konieczne, zmodyfikowane w celu uwzględnienia potencjalnych interakcji z innymi lekami.

U mężczyzn z mukowiscydożą całkowity obustronny brak nasieniowodów (CBAVD) powoduje niepłodność [110]. Badania na modelach zwierzęcych sugerują, że ekspozycja na VST w okresie życia płodowego może skorygować tę nieprawidłowość. Możliwość tę należy rozważyć u niemowląt płci męskiej z mukowiscydożą, urodzonych przez matki z mukowiscydożą na terapii VST, ponieważ możliwy jest przezłożyskowy transfer leku [51].

Stosowanie terapii VST podczas ciąży

Dane dotyczące bezpieczeństwa terapii VST podczas ciąży są ograniczone. Wstrzymanie terapii podczas ciąży lub przed nią jest pewną opcją, ale wiąże się z pogorszeniem stanu klinicznego u kobiet w ciąży i niebędących w ciąży [111–113].

Dostępne dane dotyczące zwierząt i ludzi nie wykazały teratogenności, ale wykazano, że wszystkie składniki VST

przenikają przez łożysko u zwierząt [114]. Ten przezłożyskowy transfer miał niewielki wpływ na wyniki ciąży przy normalnych dawkach u ludzi i nie był związany z toksycznością dla chromosomów płodu lub organogenezy [112].

Dwie serie przypadków zawierają dane dotyczące ciąży i terapii VST. Nash *et al.* opisują 64 ciąży poddane ekspozycji na ivacaftor, lumacaftor-ivacaftor lub tezacaftor-ivacaftor, a Taylor-Cousar *et al.* opisują 45 ciąży poddanych ekspozycji na elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor [112, 113]. Dane z tych serii przypadków sugerują wskaźniki poronienia podobne do tych w populacji ogólnej i brak powiązanych powikłań u niemowląt po ekspozycji w fazie płodowej [112, 113].

Decyzja o kontynuowaniu lub wstrzymaniu terapii VST podczas ciąży powinna zostać podjęta przez zespół zajmujący się mukowiscydożą i kobietę chorą na mukowiscydozę, z uwzględnieniem ryzyka dla matki i dziecka (Stwierdzenie 20, Tabela 2). Dzieci z mukowiscydożą narażone na terapię modulatorem w okresie płodowym mogą mieć obniżone stężenie IRT w osoczu, co może prowadzić do fałszywie ujemnych wyników badań przesiewowych noworodków.

Karmienie piersią

Brak danych na temat bezpieczeństwa terapii VST podczas karmienia piersią. Charakterystyka produktu elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor podaje, że wszystkie trzy składniki są obecne w mleku matki w badaniach na zwierzętach, bez żadnych działań niepożądanych zgłaszanych przy równoważnych dawkach u ludzi. Jeden opis przypadku wykrył mierzalne poziomy lumacaftoru i ivacaftoru w mleku matki karmiącej piersią z mukowiscydożą na tej podwójnej terapii [115]. Zgłoszono przejściowe podwyższenie poziomu enzymów wątrobowych i bilirubiny u niemowlęcia bez mukowiscydozy [115]. W kolejnym badaniu nie zgłoszono żadnych skutków ubocznych u 26 niemowląt

narażonych na działanie elexacaftor- tezacaftor-ivacaftor podczas karmienia piersią, chociaż badanie wzroku przeprowadzono tylko u dwóch z tych niemowląt [113].

Decyzja o tym, czy karmić piersią podczas stosowania terapii VST, powinna zostać podjęta po dyskusji między zespołem zajmującym się mukowiscydozą a matką, z uwzględnieniem wszystkich dostępnych informacji (Stwierdzenie 21, tabela 2). W przypadku matek karmiących piersią stosujących terapię VST należy rozważyć obserwację (badanie wzroku i czynności wątroby) niemowlęcia.

Zalecenia dla pacjentów z wariantami genu CFTR niereagującymi na leczenie

Peter van Mourik, Michael D. Waller, Jobst Roehmel

Około 10–20% chorych na mukowiscydozę na całym świecie ma genotypy, które sprawiają, że nie kwalifikują się do terapii modulatorami CFTR, w tym te z wariantami nonsensownymi (przedwczesne zatrzymanie), w przypadku których nie wykazano korzyści klinicznych z nowych środków leczenia [116, 117]. Pochodzenie i geograficzne różnice w częstotliwości występowania niereagujących wariantów CFTR prowadzą do różnych proporcji wśród pacjentów z genotypami kwalifikującymi się do terapii modulatorami. Może to prowadzić do nierównych możliwości leczenia [118, 119]. Pozwolenie na dopuszczenie do stosowania modulatora często ogranicza stosowanie obecnie licencjonowanych modulatorów tylko do zatwierdzonych wariantów CFTR, przy jednoczesnym braku danych z badań klinicznych i na skuteczność dla innych, rzadkich wariantów CFTR. Pomiary funkcji CFTR *ex vivo* mogą potencjalnie określić funkcję rzadkich wariantów CFTR i ocenić możliwą reakcję na zatwierdzone terapie modulatorowe [120]. Podejście to nie jest jednak rutynowo dostępne w praktyce klinicznej.

Najnowsze badania wskazują, że poprawa biomarkerów funkcji CFTR *ex vivo*, takich jak organoidy jelitowe i komórki nabłonka nosa, koreluje z poprawą wyników, takich jak zwiększenie FEV₁ i zmniejszenie stężenia chlorków w pocie [120–126]. Gdy badania *ex vivo* sugerują, że wariant CFTR może wykazywać pewną reakcję na określoną terapię, wówczas uzasadnione jest przeprowadzenie badania klinicznego n-of-1 tej terapii [127] pod kątem poprawy czynności układu oddechowego i jakości życia (stwierdzenie 22, tabela 2).

W przypadku braku dostępnej terapii VST istotne jest, aby pacjenci z mukowiscydożą nadal otrzymywali wysokiej jakości opiekę świadconą przez specjalistyczny wielodyscyplinarny zespół mukowiscydozy w specjalistycznym

lub akredytowanym ośrodku mukowiscydozy (stwierdzenie 23, tabela 2) [128]. Utrzymanie wysokiej jakości opieki jest koniecznością dla wszystkich chorych na mukowiscydozę w erze terapii VST.

Eksperymentalne leki będące w fazie rozwoju i badań klinicznych oferują nowe możliwości korygowania defektu powodującego mukowiscydozę lub następstw choroby. Może to poprawić możliwości leczenia wszystkich chorych na mukowiscydozę, zwłaszcza tych, którzy uzyskali ograniczone korzyści z dostępnych na rynku modulatorów CFTR. Świadczeniodawcy opieki zdrowotnej powinni być na bieżąco z aktualnymi i przyszłymi badaniami klinicznymi. Pacjenci z mukowiscydożą powinni być informowani o możliwych badaniach i aktywnie zachęceni do wzięcia w nich udziału (<https://apps.cff.org/trials/pipeline>) (Stwierdzenie 24, Tabela 2).

Stosowanie terapii VST poza wskazaniami określonymi w licencji (na przykład po przeszczepie lub u pacjentów z rozpoznaniem CFTR-RD, CFSPID itp.)

Thomas Daniels Carsten Schwarz, Carlo Castellani

Pacjenci z mukowiscydożą a przeszczep organów wewnętrznych

Wykazano, że terapia VST znacząco poprawia kilka aspektów mukowiscydozy, jednak badania kliniczne VST nie obejmowały pacjentów z mukowiscydożą, którzy byli po przeszczepie narządów wewnętrznych (SOT). Na przykład w Europie elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor nie jest zalecany do stosowania u pacjentów z mukowiscydożą po przeszczepie, podczas gdy etykieta FDA nie odradza stosowania w populacji po przeszczepie.

W przypadku pacjentów po przeszczepie wątroby zespoły opieki zdrowotnej muszą wziąć pod uwagę ryzyko toksyczności dla wątroby i istotnych interakcji z lekami powszechnie stosowanymi po przeszczepie tego narządu. Działania niepożądane VST (takie jak podwyższony poziom transaminaz) i interakcje powinny być monitorowane. Decyzje o rozpoczęciu terapii VST powinny być podejmowane indywidualnie dla każdego przypadku i po dokładnym rozpatrzeniu przez zespół mukowiscydozy i zespół transplantacyjny, we współpracy z pacjentem (Stwierdzenie 25, tabela 2). W większości przypadków znaczące korzyści w zakresie czynności układu oddechowego i częstości zaostżeń będą uważane za przewyższające ryzyko możliwych skutków ubocznych. W niedawnym raporcie z amerykań-

skiego rejestru pacjentów opisano wskazania i wyniki dla 94 pacjentów z mukowiscydozą, którzy rozpoczęli stosowanie elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor po przeszczepie płuc (czasu trwania, 4,6 roku) [129]. Znaczna liczba (42%) przerwała stosowanie terapii elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor (średnio, 56 dni po rozpoczęciu).

W przypadku pacjentów z mukowiscydozą po przeszczepie płuca, można uznać, że przeszczepione płuco nie wykazuje dysfunkcji CFTR (choć dawca może być nosicielem mukowiscydozy), dlatego wszelkie nieprawidłowości w przeszczepionym płucu nie powinny być zwykle uważane za wskazanie do terapii VST. Można ją rozważyć w wyjątkowych okolicznościach, gdy istnieją dowody na istotną pozapłucną mukowiscydozę pomimo zastosowania maksymalnej terapii medycznej. Jednym z takich objawów pozapłucnych jest przewlekłe zapalenie błony śluzowej nosa i zatok (CRS), które powoduje bardzo nieprzyjemne objawy i obniża jakość życia. Wykazano, że terapia elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor poprawia objawy CRS (mierzone za pomocą narzędzia Sino-Nasal Outcome Tool i domeny oddechowej CFQ-R) [60]. CRS wiąże się ze zwiększonym ryzykiem przewlekłej dysfunkcji przeszczepu płuc (z ang. Chronic Lung Allograft Dysfunction)(CLAD). Pozostaje kontrowersyjnym, czy agresywne leczenie CRS po przeszczepie płuc zmniejsza ryzyko rozwoju CLAD [130, 131]. Jednak u wybranych pacjentów po przeszczepie płuc, u których CRS utrzymuje się pomimo maksymalnego leczenia farmakologicznego, należy rozważyć próbę VST i odpowiednio ją monitorować. Innym pozapłucnym objawem mukowiscydozy, który może uzasadniać rozważenie VST, jest niedożywienie. U pacjentów z mukowiscydożą poddanych transplantacji płuc BMI < 20 kg/m² i > 28 kg/m² wiązało się z gorszym wskaźnikiem przeżycia w badaniu rejestrowym, przy czym największy wpływ obserwowano przy skrajnych wartościach BMI [132]. VST ma pozytywny wpływ na stan odżywienia osób z mukowiscydożą bez SOT [34]. Zaleca się rozważenie zastosowania VST w celu poprawy stanu odżywienia pacjentów z zaburzeniami odżywiania po przeszczepie płuc, gdy inne standardowe metody wsparcia żywieniowego zawiodły, z zastrzeżeniami i monitoringiem opisanym powyżej.

Terapia VST wiąże się z poprawą kontroli glikemii [72], a lepsza kontrola glikemii jest ogólnie związana z lepszymi wynikami zdrowotnymi [133]. Wstępne dane z amerykańskiego badania rejestrującego sugerują, że terapia elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor u biorców po transplantacji płuc również poprawia kontrolę glikemii w tej grupie [129].

Objawy jelitowe pozapłucnej mukowiscydozy są często lekceważone, ale mają duży wpływ na jakość życia [134].

Problemy te często utrzymują się po przeszczepie płuc [135]. Wpływ terapii VST na objawy żołądkowo-jelitowe mukowiscydozy u biorców przed przeszczepem jest mniej ugruntowany, a efekty nie osiągnęły istotności statystycznej w badaniach klinicznych [136]. Biorąc jednak pod uwagę znaczący wpływ objawów żołądkowo-jelitowych na jakość życia i ich utrzymywanie się po przeszczepie płuc, rozsądne byłoby rozważenie próby VST u osób, u których wszystkie inne opcje leczenia zawiodły. Jeśli rozważana jest terapia elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor, warto zwrócić uwagę na potencjalną interakcję między E-T-I i inhibitorami kalcyneuryny (zwłaszcza takrolimusem) zgłoszoną przez Ramosa i et al. [129]. W grupie złożonej z 55 pacjentów nieprzyjmujących azolowych leków przeciwgrzybiczych, 30 wymagało zmiany dawki takrolimusu (7% wymagało zwiększenia dawki, 47% zmniejszenia dawki, a 38% nie wymagało zmiany dawki). Doświadczenie to podkreśla znaczenie starannej kontroli poziomów takrolimusu.

Zaburzenia związane z CFTR (CFTR-RD) i dodatni wynik badania przesiewowego w kierunku mukowiscydozy, niejednoznaczna diagnoza (CFSPID)

CFTR-RD to stany kliniczne związane z dysfunkcją CFTR, które nie spełniają kryteriów diagnostycznych dla mukowiscydozy [9]. Ich fenotyp jest zwykle jednonarządowy, a ich genotyp obejmuje co najmniej jeden wariant z poziomem resztkowej funkcji CFTR większym niż typowa postać mukowiscydozy {Sermet, niepublikowane #1465}. Hipotetycznie, modulatory CFTR mogą być korzystne, w zależności od wariantów genu CFTR związanych z CFTR-RD. Nie można jednak sformułować żadnych zaleceń, dopóki 1) jasne wskazania dotyczące standardów diagnostyki i opieki CFTR-RD nie zostaną udostępnione społeczności medycznej, 2) dowody in vivo i ex vivo na ratowanie CFTR w wariantach CFTR-RD nie zostaną udokumentowane, oraz 3) badania kliniczne terapii VST nie zostaną podjęte w tych populacjach i nie zostaną wykazane lepsze wyniki (Stwierdzenie 26, Tabela 2).

Niemowlęta z niejasną diagnozą po dodatnim wyniku badania przesiewowego w kierunku mukowiscydozy otrzymują oznaczenie „Pozytywny Wynik Badania Przesiewowego pod kątem Mukowiscydozy, Niejednoznaczna Diagnoza” (ang. *CF Screening Positive, Inconclusive Diagnosis*) (CFSPID) [137]. Niemowlęta te są zdrowe i większość z nich pozostaje zdrowa bez powikłań po badaniu noworodków. Niektóre dzieci mogą otrzymać diagnozę mukowiscydozy w miarę wzrostu lub rozwoju objawów klinicznych zgodnych z CFTR-RD. Dzieci z oznaczeniem CFSPID, które przejdą w diagnozę mukowiscydozy, powinny być brane pod

uwagę do terapii VST, jeśli mają kwalifikujący się genotyp (Stwierdzenie 27, Tabela 2).

Ocena opłacalności i etyka dostępu

Ciaran O'Neill, Jurg Barben, Clemence Martin

Różne rządy wykorzystują analizy efektywności ekonomicznej do oceny względnego stosunku jakości do ceny nowych terapii w porównaniu z innymi sposobami wykorzystania zasobów opieki zdrowotnej. Przemysł przeprowadza takie analizy – często wraz z badaniami klinicznymi – które przedstawia jako część uzasadnienia biznesowego komisjom oceniającym (takim jak NICE w Wielkiej Brytanii), które doradzają rządowi. Często stanowi to część negocjacji dotyczących ceny, po której lek może zostać przyjęty do refundacji w systemie finansowanym ze środków publicznych (Stwierdzenie 28, Tabela 2).

Analiza efektywności kosztów ma na celu zapewnienie rygorystycznego i przejrzystego procesu, w ramach którego można generować dane i podejmować właściwe decyzje. Jednak coraz częściej, gdy wskaźnik efektywności kosztów przekracza akceptowalne progi, decyzje dotyczące ceny, po której leki są zatwierdzane do refundacji, są podejmowane za zamkniętymi drzwiami. Umożliwia to dostęp do leku po cenie niższej niż wymieniona, bez uszczerbku dla możliwości producenta do negocjowania z innymi potencjalnymi nabywcami. Z perspektywy poszczególnych krajów model ten może umożliwić im dostęp do nowych terapii poniżej ceny katalogowej. Z perspektywy przemysłu może pozwolić im działać skuteczniej jako dyskryminujący monopolista, aby zmaksymalizować zyski i inwestować w dalsze badania i rozwój. Z perspektywy użytkownika tych terapii może to zapewnić dostęp do terapii zmieniających życie, które w innym przypadku nie byłyby dostępne.

Podejście to wiąże się jednak z ryzykiem i kwestiami etycznymi. W jednym kraju refundacja terapii, która narusza przyjęte normy opłacalności, skutecznie zapewnia preferencyjny dostęp do zasobów opieki zdrowotnej jednej grupie pacjentów, a innym grupom społecznymi już nie. Może to być ułatwione przez grupy wsparcia, które mogą łatwo przedstawić pacjentów, którzy skorzystaliby z nowej terapii, podczas gdy decydenci mają trudności z przedstawieniem opinii publicznej tych pacjentów, którzy tracą, ponieważ ich opieka nie może być dłużej nabywana. Kolejną kwestią jest to, że nie wszystkie zyski są ponownie inwestowane w badania i rozwój, a sprawowanie władzy monopolistycznej i tajemnica cenowa mogą zniechęcać konkurencję na tym rynku.

Ustalanie cen nowych leków zwykle rozpoczyna się w Stanach Zjednoczonych, ponieważ Stany stanowią największy rynek. Po zatwierdzeniu leku przez FDA pod względem bezpieczeństwa i skuteczności, firma ustala cenę, którą uważa za odpowiednią. Konkurencja jest następnie ograniczana przez prawo patentowe, które może zostać rozszerzone w przypadku chorób rzadkich i chorób sierocych. Cena amerykańska wyznacza punkt odniesienia, który może wpływać na negocjacje cenowe w innych krajach. Patenty nie są ani złe, ani dobre. Mogą przynieść korzyści lub zaszkodzić społeczeństwu i jego gospodarce. Mają one jednak sens tylko wtedy, gdy ogólne korzyści dla ogółu społeczeństwa przeważają nad szkodami. Jest to jedyny sposób, aby politycznie uzasadnić przyznanie przez państwo monopolu osobom lub firmom, które mogą przekształcić go w biznes wolny od konkurencji (Stwierdzenie 29, Tabela 2).

Znaczące korzyści płynące z terapii VST zostały nieco umniejszone przez globalną nierówność w dostępie. Koszt jest niewątpliwie ważnym czynnikiem, a branża powinna zastanowić się, w jaki sposób przyszły rozwój może przynieść korzyści wszystkim kwalifikującym się osobom z mukowiscydozą, niezależnie od ich okoliczności lub lokalizacji (Stwierdzenie 30, Tabela 2) [138, 139].

Podsumowanie

VST stanowi zmianę paradygmatu w leczeniu pacjentów z mukowiscydozą z kwalifikowalnymi wariantami genu CFTR. Modulatory CFTR są pierwszymi środkami, które wyraźnie wykazały, że korekta podstawowej wady molekularnej jest możliwa i że skutkuje to głęboką i znaczącą poprawą wyników klinicznych. Podobnie jak w przypadku większości nowych terapii, wprowadzenie tych środków było złożone i nadal jest to obszar rozwijający się. Niniejszy dokument zawiera jasne, oparte na dowodach i praktyczne wytyczne dla pacjentów z mukowiscydozą i ich zespołów.

Uznanie dla autora

Główny komitet (KWS, CC, AD, AS, SvKR, DvD, EL) stworzył ramy dla badań i wybrał ekspertów do opracowania każdej sekcji (wyróżnionej w artykule). Wszyscy członkowie wydziału uczestniczyli w procesie delphi i mieli nadzór nad ostateczną wersją artykułu. Fiona Dunlevy zapewniła ogólne wsparcie administracyjne i merytoryczne pisanie tekstów medycznych w celu stworzenia spójnego tekstu. Oświadczenia o konflikcie interesów są w pełni zapisane w materiałach uzupełniających.

Podziękowania

Autorzy dziękują Fionie Dunlevy, która zapewniła wsparcie redakcyjne i koordynowała konsultacje Delphi. Dziękujemy również zarządowi ECFS, który wspierał projekt. Dziękujemy zespołowi mukowiscydozy Cochrane Review Group za wsparcie podczas całego projektu. Dziękujemy również zarządowi ECFS i CF Europe za ich wkład.

Tłumaczenie Agnieszka Sugden

Materiały uzupełniające związane z tym artykułem można znaleźć w wersji online pod adresem doi: 10.1016/j.jcf.2022.10.002.

Tytuł oryginalny: Standards of care for CFTR variant-specific therapy (including modulators) for people with cystic fibrosis

Autorzy: Kevin W. Southern, Carlo Castellani, Elise Lammertyn, Alan Smyth, Donald VanDevanter, Silke van Koningsbruggen-Rietschel, Jurg Barben, Amanda Bevan, Edwin Brokaar, Sarah Collins, Gary J. Connett, Thomas W.V. Daniels, Jane Davies, Dimitri Declercq, Silvia Gartner, Andrea Gramegna, Naomi Hamilton, Jenny Hauser, Nataliya Kashirskaya, Laurence Kessler, Jacqueline Lowdon, Halyna Makukh, Clémence Martin, Lisa Morrison, Dilip Nazareth, Jacqueline Noordhoek, Claran O'Neill, Elizabeth Owen, Helen Oxley, Karen S. Raraigh, Caroline Raynal, Karen Robinson, Jobst Roehmel, Carsten Schwarz, Isabelle Sermet, Michal Shteinberg, Ian Sinha, Constance Takawira, Peter van Mourik, Marieke Verkleij, Michael D. Waller, Alistair Duff

Bibliografia i tekst źródłowy dostępne online: <https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S1569199322013856>

Źródło: Journal of Cystic Fibrosis Volume 22 (2023), "Standards of care for CFTR variant-specific therapy (including modulators) for people with cystic fibrosis", str. 17-30

FIZJOTERAPIA

Zasady postępowania z nebulizatorem w domu chorego na mukowiscydozę

Nebulizator, to sprzęt medyczny powszechnie używany przez osoby chore na mukowiscydozę. Mimo to aktualnie brak jest jednoznacznych i merytorycznych zaleceń opisujących sposób postępowania z nebulizatorem, a chory i jego rodzina zmuszony jest do korzystania z różnych, często sprzecznych i niejasnych informacji podawanych przez innych użytkowników lub producentów nebulizatorów.

Dlatego, postanowiono przedstawić i szczegółowo omówić zasady postępowania z nebulizatorem w domu chorego na mukowiscydozę. Poniższe zasady opracowano na podstawie dostępnych publikacji, badań naukowych i rekomendacji. W artykule omówiono zalecenia ogólne, metody mycia i dezynfekcji oraz sposoby suszenia i przechowywania nebulizatora. Dodatkowo przedstawiono metody chemicznej i termicznej dezynfekcji nebulizatorów.

Zalecenia ogólne

I. Jeden nebulizator używany jest przez jednego pacjenta

Przestrzeganie tej zasady chroni chorego przed kontaktem z nebulizatorem, który może być zanieczyszczony materiałem (ślina, plwocina) innego chorego.

II. Przed i po każdym kontakcie (myciu, dezynfekcji, suszeniu, przechowywaniu i używaniu) z nebulizatorem należy wykonać higienę rąk

Higiena rąk w warunkach domowych polega na myciu rąk mydłem lub dezynfekcji alkoholowym preparatem do higienicznej lub chirurgicznej dezynfekcji rąk (nie kosmetykiem).

Z jednej strony zapobiega przenoszeniu skażenia z brudnego nebulizatora na inne powierzchnie, z drugiej, wtórnemu zanieczyszczeniu czystego nebulizatora.

Stosowanie jednorazowych rękawiczek NIE zastępuje higieny rąk. Ich używanie w warunkach domowych nie jest wymagane.

III. Przed myciem i dezynfekcją należy odłączyć zasilanie i rozmontować nebulizator

Rozmontowanie nebulizatora ułatwia dostęp czynnika myjącego lub dezynfekującego do wszystkich potencjalnie zanieczyszczonych elementów umożliwiając skuteczne mycie, dezynfekcję i suszenie nebulizatora.

Mycie nebulizatora

IV. Nebulizator należy myć jak najszybciej po każdym użyciu

Mycie nebulizatora niezwłocznie po jego użyciu zapobiega zasychaniu ewentualnych zanieczyszczeń (ślina, plwocina, resztki leku), jest łatwiejsze w wykonaniu i bardziej skuteczne. W sytuacji, gdy umycie nebulizatora bezpośrednio po jego użyciu nie jest możliwe, należy przynajmniej dokładnie wypłukać resztki leku. Zapobiega to zasychaniu leku, zatykaniu urządzenia i w konsekwencji zmniejszaniu jego wydajności.

Płukanie NIE zastępuje mycia nebulizatora. Badania potwierdziły, że nebulizatory, które przez okres miesiąca lub dłużej były wyłącznie płukane – były znacznie bardziej skażone patogenami niż nebulizatory myte.

V. Nowy nebulizator (lub jego nowe części), należy umyć przed pierwszym użyciem

W nieumytych nowych komorach na lek, obserwowano zwiększone przywieranie leku do wewnętrznych ścian komór, co zmniejszało ilość leku uwalnianego podczas nebulizacji.

VI. Po upływie 24-godzinnej przerwy w używaniu nebulizatora, należy go bezpośrednio przed użyciem umyć i zdezynfekować

Mycie i dezynfekcja nie likwiduje całkowicie skażenia biologicznego (produkt NIE jest sterylny). Pozostawienie pojedynczych komórek bakterii rodzaju *Pseudomonas aeruginosa* lub *Burkholderia cepacia* może powodować ich namazanie na powierzchniach czystych i ponowne skażenie całego urządzenia.

VII. NIE wolno myć nebulizatora bezpośrednio w zlewie kuchennym, zmywarce do naczyń lub umywalce łazienkowej

Badania potwierdziły, że odpływy umywalek i zlewów – podczas mycia rąk, brudnego sprzętu lub wylewania brudnej wody – ulegają skażeniu patogenami. Z kolei zastój wody lub ograniczanie jej temperatury, przyczyniają się do wytwarzania biofilmu, który sprzyja rozwojowi bakterii takich jak *Pseudomonas aeruginosa*.



W badaniach stwierdzono także skażenie zmywarek do naczyń grzybem *Exophiala dermatitidis* („czarne drożdże”), który może przetrwać w trudnych warunkach – silnie zasolona, zawierająca detergenty woda. Ponadto, wykorzystywana w zmywarkach coraz niższa temperatura, nie stwarza warunków do skutecznej dezynfekcji termicznej.

VIII. Nebulizator należy myć w szklanym, plastikowym lub metalowym pojemniku

Należy używać pojemnika przeznaczonego tylko do mycia nebulizatora.

Umyty i suchy pojemnik należy zabezpieczyć przed wtórnym skażeniem, czyli przechowywać w odległości co najmniej 1 metra od zlewu, umywalki lub innych powierzchni roboczych.

IX. Nebulizator należy myć w roztworze ciepłej wody z kranu i detergentu

Detergent usuwa zanieczyszczenia (ślina, plwocina, resztki leku). Ponieważ rekomendacje nie definiują rodzaju (jego składu chemicznego i stężenia) zalecanego detergentu – na ogół stosowane jest mydło lub płyn do mycia naczyń. Jednocześnie należy pamiętać, że detergent złej jakości, może wtórnie skażać nebulizator podczas mycia.

X. Do mycia i płukania nebulizatorów należy używać ciepłej lub gorącej wody z kranu

Zalecenie to jest prawidłowe, tylko gdy po myciu następuje dezynfekcja. Woda z kranu może być zanieczyszczona różnymi drobnoustrojami w tym *Pseudomonas aeruginosa*.

Problemem w tym zaleceniu jest brak definicji określającej konkretną wysokość temperatury „ciepłej” lub „gorącej” wody.

XI. Gdy nebulizatora po umyciu nie można zdezynfekować, do ostatniego płukania należy użyć wody sterylnej lub mikrobiologicznie czystej

Woda kranowa może być zanieczyszczona drobnoustrojami – w tym *Pseudomonas aeruginosa*. Jej zanieczyszczeniu

przeciwdziała dbałość o drożność perlatora – odkamienianie lub wymiana.

Woda mikrobiologicznie czysta to woda pozbawiona drobnoustrojów chorobotwórczych (ale nie jałowa!). W warunkach domowych to woda przegotowana (po osiągnięciu wrzenia gotowana przez 5 minut) lub woda filtrowana.

Warunkiem dobrej jakościowo wody filtrowanej jest odpowiednia wielkość (zalecana $\leq 0,2 \mu\text{m}$) i częsta wymiana filtra. Problemem pozostaje pytanie jak często – producent zaleca wymianę filtra po określonym czasie, a nie po określonej ilości filtrowanej wody.

Wodę sterylną lub mikrobiologicznie czystą należy przechowywać w szczelnie zamykanych pojemnikach.

XII. Wodę po umyciu nebulizatora należy wydać do toalety, przed spłukaniem zamykając pokrywę

Nie wolno wylewać zanieczyszczonej wody do zlewu lub umywalki, bo zwiększa to zanieczyszczenie odpływu, a tym samym powoduje wtórne skażenie podczas mycia rąk lub sprzętu.

Zamykanie pokrywy zapobiega skażeniu otoczenia aerosolem wytworzonym podczas spłukiwania.

Dezynfekcja nebulizatora

XIII. Umyty i wypłukany nebulizator po każdym użyciu należy dezynfekować. Aktualnie rekomendowane jest zastosowanie jednej z trzech metod termicznej dezynfekcji:

- w elektrycznym parowym dezynfektorze butelek dla niemowląt
- w kuchenke mikrofalowej (w naczyniu z wodą, praz 5 min, 2.45 GHz)
- gotowanie przez 5 min (po wcześniejszym umieszczeniu we wrzącej wodzie)

Wybór metody uzależniony jest od rodzaju nebulizatora, jego budowy i wskazań producenta. Dlatego przed kupnem nowego nebulizatora warto sprawdzić czy można zastosować zalecaną metodę dezynfekcji.

Jednocześnie należy pamiętać, że wyparzacz do butelek dla niemowląt nie jest sterylizatorem. Likwiduje większość patogenów, ale nie sterylizuje, a uzyskany produkt NIE jest sterylny.

Aktualnie zrezygnowano z wielu wcześniej zalecanych metod dezynfekcji – szczególnie metod chemicznych oraz stosowania zmywarek do naczyń (patrz tabela nr 1).

W tabeli nr 1 przedstawiono dotychczas stosowane metody dezynfekcji chemicznej i termicznej. Omówiono ich skuteczność, wady i zalety oraz aktualne zalecenia dotyczące ich stosowania w codziennej praktyce.

Tab. 1 Przegląd metod dezynfekcji nebulizatorów

METODA	KOMENTARZ
METODY CHEMICZNE	
Ocet	Brak badań potwierdzających działanie biobójcze octu. Ocet to produkt spożywczy a nie produkt biobójczy. Ocet to nie to samo co produkt biobójczy na bazie kwasu octowego. METODA AKTUALNIE NIE ZALECANA
Alkohol (etanol [alkohol etylowy], propanol [alkohol izopropylowy])	Odparowuje, przez co obniża się jego stężenie co prowadzi do utraty aktywności biobójczej. Dlatego konieczna jest jego wymiana, przy czym trudno określić po jakim czasie powinna nastąpić. Uszkadza elementy wykonane z pleksi. Powoduje denaturację białek (ślina, piwocina) przez co na źle oczyszczonej powierzchni utrudnia penetrację preparatu do drobnoustroju, co ogranicza jego skuteczność. METODA AKTUALNIE NIE ZALECANA
3% nadtlenek wodoru (woda utleniona)	W Polsce zarejestrowany jako produkt do dezynfekcji skóry a nie do dezynfekcji powierzchni nieożywionych. Nieudowodniona skuteczność, ponieważ brak badań. METODA AKTUALNIE NIE ZALECANA
Podchloryn sodu	Z uwagi na działanie drażniące może uszkadzać elementy nebulizatora. METODA AKTUALNIE NIE ZALECANA
Inne preparaty stosowane w obszarze medycznym	Z uwagi na działanie uboczne na organizm ludzki, sprzęt i otoczenie – NIE WOLNO ICH STOSOWAĆ W WARUNKACH DOMOWYCH
METODY TERMICZNE	
Gotowanie	Nebulizator należy umieścić w naczyniu z wrzącą wodą (całkowicie zanurzając wszystkie elementy) i gotować przez 5 minut. Metoda nie zalecana do urządzeń z elementami elektrycznymi, elektronicznymi, bateriami. Może zmniejszyć wydajność niektórych nebulizatorów – m.in. uszkadza gumowe części urządzeń. METODA AKTUALNIE ZALECANA
Elektryczne parowe dezynfektory butelek dla niemowląt	Zgodnie z zaleceniami producenta dezynfektora METODA AKTUALNIE ZALECANA
Kuchenka mikrofalowa	W bezpiecznym dla działania kuchenki mikrofalowej naczyniu z wodą. Zalecana częstotliwość – 2.45 GHz, zalecany czas – 5 minut. Nie polecana w przypadku metalowych elementów nebulizatora METODA AKTUALNIE ZALECANA
Zmywarka do naczyń	Aktualnie nie zalecana ze względu na skażenie zmywarek do naczyń grzybem <i>Exophiala dermatitidis</i> („czarne drożdże”). Zbyt niska temperatura zmywania (np. 45–65 °C) uniemożliwia dezynfekcję termiczną. METODA AKTUALNIE NIE ZALECANA

Suszenie nebulizatora

XIV. Zalecane jest suszenie na powietrzu lub pozostawienie nebulizatora do następnego użycia (w ciągu 24 godzin) w dezynfektorze do butelek dla niemowląt

Suszenie na powietrzu powoduje najmniejsze skażenie wtórne – pod warunkiem, że odbywa się w odległości powyżej 1 metra od zlewu, umywalki lub powierzchni roboczych.

Energiczne potrząsanie nie usuwa pozostałej wody, a pozostała w nebulizatorze wilgoć sprzyja namnażaniu *Pseudomonas aeruginosa*.

Osuszanie jednorazowym ręcznikiem jest skuteczne, ale sprzyja zatykaniu porów i zmniejszeniu wydajności nebulizatora.

Przechowywanie nebulizatora

XV. Umyty, zdezynfekowany i wysuszony nebulizator należy przechowywać w szczelnie zamkniętym pojemniku lub w zamkniętej komorze dezynfektora do butelek

Właściwe przechowywanie zapobiega wtórnemu skażeniu i eliminuje konieczność ponownego mycia i dezynfekcji.

Podsumowanie

Proponowane w artykule zalecenia opisują wyłącznie zasady postępowania z nebulizatorem w domu chorego na mukowiscydozę. Celowo nie poruszono w nim postępowania podczas pobytu w szpitalu, ponieważ wtedy obowiązują procedury danej placówki medycznej.

Przedstawione w artykule zasady postępowania opracowano na podstawie analizy dostępnej literatury, ze świadomością, że nadal wiele publikacji zaleca dezynfekcję octem, wodą utlenioną lub przy użyciu zmywarki do naczyń. Jednocześnie autor artykułu ma nadzieję, że omawiając poszczególne zagadnienia umożliwił osobom stosującym nebulizatory bardziej świadomy wybór metody postępowania, która z biegiem lat może ulec zmianie.

Dr n. med. i n. o zdr. Anna Ziółko

Literatura

1. Saiman L., Siegel J., *Infection control recommendations for patients with cystic fibrosis: Microbiology, important pathogens, and infection control practices to prevent patient-to-patient transmission*, *American Journal of Infection Control*, 2003, vol. 31 No 3
2. Saiman L., Siegel J. D., *at all „Infection Prevention and Control Guideline for Cystic Fibrosis”*, *Infection Control and Hospital Epidemiology*, 2014, vol. 35, No S1, DOI:10.1086/676882
3. Bell J., Alexander L., *at all „Nebuliser hygiene in cystic fibrosis: evidence-based recommendations”*, *Breathe*, 2020, vol. 16, No 2, DOI:10.1183/20734735.0328-2019

KĄCIK SOCJALNO-PRAWNY

Szczepionka przeciw krztuścowi dla kobiet w ciąży

Od 15 października 2024 r. kobiety w ciąży będą mogły bezpłatnie zaszczepić się przeciw krztuścowi w przychodniach podstawowej opieki zdrowotnej (POZ). To szczepienie chroni kobiety zarówno w ciąży, jak i po porodzie oraz noworodka przed zachorowaniem i hospitalizacją w pierwszych miesiącach życia.

Ministerstwo postanowiło zwiększyć dostęp do szczepień przeciw krztuścowi dla kobiet w ciąży, umożliwiając im bezpłatne szczepienie. Szczepienie przeciw krztuścowi od wielu lat jest szczepieniem płatnym, zalecanym (zgodnie z Programem Szczepień Ochronnych). Od 15 października kobiety w ciąży będą mogły się zaszczepić szczepionką finansowaną przez Ministra Zdrowia w swoich przychodniach POZ.

Kto może skorzystać z bezpłatnych szczepień

Szczepienie obejmuje kobiety między 27. a 36. tygodniem ciąży. Będą one mogły się zaszczepić w schemacie jednodawkowym – bez dodatkowych skierowań i zaświadczeń. O kwalifikacji do szczepienia zdecyduje lekarz POZ.

Jeśli ciąża będzie zagrożona przedwczesnym porodem, kobieta będzie mogła się zaszczepić już po 20. tygodniu ciąży – o tym zdecyduje lekarz, który prowadzi ciążę.

Jak się zaszczepić

Jeśli jesteś w ciąży i chcesz się zaszczepić przeciwko krztuścowi, to od 15 października:

- zgłoś się do swojego lekarza POZ i umów termin wizyty,
- przyjdź do POZ na szczepienie w wyznaczonym terminie.

Warto się zaszczepić

Szczepienie kobiet w ciąży chroni niemowlęta przed zachorowaniem na krztusiec od dnia porodu. Dzięki bez-



płatnym szczepieniem dostęp do tej ochrony będzie miało więcej kobiet ciężarnych.

Źródło: <http://www.gov.pl/>

Z ŻYCIA FUNDACJI

XXXIII FORUM EKONOMICZNE, „CZAS NOWYCH LIDERÓW: RAZEM KSZTAŁTUJĄC PRZYSZŁOŚĆ”

3 września rozpoczęło się w Karpaczu XXXIII Forum Ekonomiczne. Przez 3 dni spotkań i dyskusji w ponad 500 wydarzeniach wzięło udział niemal 6000 gości.

Forum Ekonomiczne w Karpaczu jest największą w Europie Środkowo-Wschodniej platformą spotkań, na której nie tylko dyskutuje się o bezpieczeństwie, perspektywach rozwoju gospodarczego, współczesnych wyzwaniach i przezwyciężaniu kryzysów, ale także przedstawia konkretne rozwiązania i innowacyjne idee.

Forum Ochrony Zdrowia to od 15 lat integralna część Forum Ekonomicznego w Karpaczu, gromadząca najważniejsze postacie z sektora medycznego. Forum Ochrony Zdrowia to przede wszystkim platforma dyskusji o tema-

tach zdrowotnych z uwzględnieniem aspektu ekonomicznego w oparciu o fakty oraz dostępne dane z udziałem wszystkich interesariuszy sektora zdrowotnego w Polsce i w Europie w następujących obszarach: finansowym, regulacyjnym i innowacyjnym. Nasza Fundacja była obecna na Forum, a Prezes Paweł Wójtowicz brał udział w panelu „Okrągły Stół dla Chorób Rzadkich”. Podczas tego wydarzenia po raz pierwszy zostały zaprezentowane wyniki najnowszego audytu potrzeb pacjentów z chorobami rzadkimi opracowane przez Krajowe Forum Orphan.

R.D.

Źródło: <https://www.forum-ekonomiczne.pl/>



„MUKOWISCYDOZA 2024” XXIV WARSZTATY SZKOLENIOWO-EDUKACYJNE

W ostatni wrześniowy weekend (27–29) spotkaliśmy się w Krakowie, w hotelu Campanile na kolejnej edycji warsztatów szkoleniowo-edukacyjnych dla rodziców i opiekunów chorych na mukowiscydozę. Tegoroczna edycja warsztatów przebiegała tylko w formie stacjonarnej i cieszyła się dużym zainteresowaniem słuchaczy.

Zaproszeni lekarze w swoich wykładach przedstawiali problematykę dotyczącą mukowiscydozy i chorób współistniejących, opartą na aktualnym stanie wiedzy naukowej, jaką na ten moment posiadają. Zaprosiliśmy również specjalistów zajmujących się dziedzinami, które ściśle powiązane są z mukowiscydozą i które były w kręgu zainteresowań rodziców i opiekunów naszych podopiecznych. W związku ze zmieniającą się sytuacją chorych, którzy coraz częściej (w związku z leczeniem przyczynowym) wkraczają na rynek pracy, zaprosiliśmy doradcę zawodowego, który podjął temat zmian w życiu człowieka. „Zmiana rodzi zmianę, czyli o stawianiu się osobą aktywną zawodowo” to zagadnienie, którego przedstawieniem zajął się doradca, miało być wsparciem i dać wskazówki dla podopiecznych i ich rodziców, którzy stanęli w nowej sytuacji życiowej.

Na warsztatach gościliśmy wielu rodziców po raz pierwszy, mogli więc porozmawiać z innymi rodzicami, pracowni-



tak, jak osoba będąca w podobnej sytuacji. Cieszymy się, że możemy tworzyć przestrzeń do takich spotkań.

Tak, jak co roku organizując warsztaty staramy się, aby dobrać tematykę interesującą naszych słuchaczy. Mamy nadzieję, że również tegoroczne warsztaty były ciekawe i poszerzyły wiedzę uczestników. Cieszymy się również, że przebiegały one w miłej, serdecznej atmosferze, o czym świadczyło zadowolenie i uśmiechy widniejące na twarzach uczestników.

Dziękujemy wszystkim Wykładowcom za ciekawe wykłady, przekazaną wiedzę i poświęcony czas. Uczestnikom za aktywny udział i miłe słowa skierowane do Fundacji.

Czekamy na spotkanie z Wami w przyszłym roku. Do zobaczenia.

Warsztaty „Mukowiscydoza 2024” zostały sfinansowane ze środków 1,5% podatku przekazanego przez podatników na rzecz statutowych działań Fundacji MATIO.

Renata Dropińska



kami fundacji, bo to jest również miejsce wymiany doświadczeń, spostrzeżeń i wsparcia dla wszystkich, którzy tego potrzebują. Wszyscy uczestnicy mieli możliwość zadawania pytań wykładowcom, nie tylko ogólnych, ale i osobistych. Warsztaty to także miejsce nawiązywania znajomości z osobami będącymi w podobnej sytuacji, a mianowicie opiekującymi się dzieckiem przewlekle chorym. Takie spotkania mają swoje znaczenie, gdyż nikt nie zrozumie drugiej osoby



MATIOMED.PL

Sklep medyczny Matio Med informuje, że z dniem 31.10.2024 r., po trzynastu latach funkcjonowania **zakończył działalność stacjonarną i przeszedł wyłącznie na sprzedaż internetową.**

Sklep medyczny Matio Med informuje również o zakończeniu współpracy z Narodowym Funduszem Zdrowia (NFZ). Oznacza to, że od teraz sklep nie będzie już realizować zamówień na sprzęt medyczny oraz inne produkty zdrowotne w ramach refundacji NFZ.

Zmiana ta może wpłynąć na osoby, które korzystały z możliwości uzyskania dofinansowania na zakup sprzętu

medycznego przez NFZ. Klienci, którzy wcześniej korzystali z tego typu refundacji, będą musieli wybrać inny sklep, który ma umowę z Funduszem lub kupując w naszym sklepie będą musieli pokrywać pełny koszt zakupu.

Mimo zakończenia współpracy z NFZ, Matio Med kontynuuje działalność sprzedaży internetowej, oferując szeroką gamę produktów medycznych i rehabilitacyjnych, które nadal można zakupić bezpośrednio **w sklepie online (<https://www.matiomed.pl/>).**

Aby sprawdzić pełną ofertę lub złożyć zamówienie, klienci powinni odwiedzić stronę internetową Matio Med, gdzie znajdą wszystkie szczegóły dotyczące dostępnych produktów oraz opcji dostawy.

„MOJE ŻYCIE Z MUKOWISCYDOZĄ

25 września 2024 r. w budynku Sejmu Rzeczypospolitej Polskiej została otwarta wystawa pod nazwą „Moje życie z mukowiscydozą”. Wystawa została przygotowana przez członków Mukokolacji. W uroczystym otwarciu wzięli udział przedstawiciele Fundacji MATIO – Paweł Wójtowicz i Przemysław Marszałek.

Zaraz po otwarciu wystawy odbyło się posiedzenie Parlamentarnego Zespołu ds. Chorób Rzadkich. Tematem posiedzenia była: „Ocena leków sierocych – najlepsze praktyki europejskie dla wypracowania optymalnego modelu krajowego”.



KONSULTACJE PSYCHOLOGICZNE I DIETETYCZNE

W listopadzie i grudniu Fundacja zrealizowała serię indywidualnych konsultacji psychologicznych oraz dietetycznych skierowanych do podopiecznych, odpowiadając tym na zgłaszane dotychczas przez nich potrzeby. Dzięki wsparciu firm Vertex Pharmaceuticals oraz MATIO MED uczestnicy mieli możliwość skorzystania z bezpłatnych porad, w preferowanej przez nich formie – online lub stacjonarnie, co ułatwiło dostęp do specjalistycznego wsparcia osobom z różnych regionów. Inicjatywa spotkała się z dużym zainteresowaniem i aprobatą uczestników, którzy zauważyli, że tego typu wsparcie jest bardzo ważne

w codziennym radzeniu sobie z mukowiscydozą. Podopieczni podkreślali, że możliwość spotkania ze specjalistami poprawiła ich stan samopoczucia oraz dała narzędzia, by móc lepiej zadbać o swoje zdrowie i jakość życia. Z tego względu mamy nadzieję, że w przyszłym roku uda nam się przeprowadzić ponownie tego typu konsultacje.

Dziękujemy naszym Sponsorom.



WARSZTATY PSYCHOEDUKACYJNE DLA RODZICÓW I OPIEKUNÓW CHORYCH NA MUKOWISCYDOZĘ

Po raz kolejny w październiku 2024 r., Fundacja MATIO zorganizowała warsztaty psychoedukacyjne dla rodziców i opiekunów chorych na mukowiscydozę. Spotkaliśmy się z Wami w pięknym miejscu jakim „Natura Residence” – przepiękny hotel w Siewierzu, położony w sercu natury, z widokiem na las i jezioro, zapewniający idealne warunki do relaksu i nauki, a który znowu otworzył dla nas gościnne progi.



Nasze warsztaty miały na celu wsparcie rodziców w rozwoju umiejętności wychowawczych oraz budowaniu zdrowych relacji z dziećmi, poprzez zrozumienie emocji dziecka i własnych. Rodzice i opiekunowie uczyli się zarządzania swoimi emocjami oraz technik efektywnej komunikacji.

Spśród wielu umiejętności, które rodzice nabyli na warsztatach, to między innymi, nauczyli się jak planować czas i jednocześnie zadbać o swój dobrostan, wykładowca zwrócił uwagę na jakość życia – to pojęcie, które odnosi się do subiektywnego odczucia dobrostanu, obejmującego różne aspekty życia, takie jak zdrowie fizyczne, emocjonalne, relacje społeczne, sytuację materialną oraz możliwości rozwoju osobistego. Specjalista, mamy nadzieję, pomógł w zrozumieniu i pokazał możliwości wspierania jakości życia.

To tylko niektóre z zagadnień, które zostały poruszone w bogatym programie warsztatów.

Wierzymy, że zanurzeni w atmosferze spokoju, zdobyliście nowe umiejętności i nawiązali wartościowe relacje z innymi rodzicami i że była to idealna okazja, aby zainwestować w siebie i swoje dziecko w inspirującym otoczeniu!

Sponsorami warsztatów byli: LPP, Vertex i Matio Med. Dziękujemy



FUNDACYJNY MIKOŁAJ 2024

Święty Mikołaj to postać, która od pokoleń fascynuje zarówno dzieci, jak i dorosłych, choć każda grupa patrzy na niego nieco inaczej. Dla dzieci jest to postać magiczna, pełna tajemniczości i niesamowitości, natomiast dla dorosłych symbolizuje często coś głębszego – radość dzielenia się, wspomnienia z dzieciństwa oraz ducha świąt. Mikołaj jest symbolem świątecznej magii. To ktoś, kto przybywa z dalekiej północy, przemierza świat na saniach zaprzężonych w renifery, by dostarczyć prezenty pod choinkę. Dzieci wierzą w jego moc i w to, że potrafi spełniać marzenia, co czyni święta jeszcze bardziej wyjątkowymi. Mikołaj to postać, która ocenia, kto był „grzeczny”, a kto nie. Dzieci postrzegają go jako wszechwiedzącego opiekuna, który nagradza za dobre zachowanie, ale równocześnie wybacza drobne przewinienia. To uczy je, że dobroć i odpowiedzialność są wartościami, które się oplacają.

Oczekiwanie na przyście Mikołaja buduje w dzieciach ekscytację i radość. Pisanie listów, wspólne dekorowanie domu, śpiewanie kolęd – wszystko to buduje napięcie przed nocą, w której mają nadzieję znaleźć wymarzone prezenty pod choinką, a Fundacja MATIO jak zawsze pomaga Mikołajowi w jego misji i przygotowała w tym roku swoim podopiecznym ok. 100 paczek, które, mamy nadzieję, wywołają uśmiechy na twarzach i dla wielu dzieci będzie to niezapomniane przeżycie.

Żeby Wasze marzenia mogły się spełnić pomogli nam nasi Darczyńcy. Ich hojność i otwarte serca sprawiły, że mogliśmy przygotować wyjątkowe paczki pełne radości i niespodzianek. To dzięki Wam, każdy z naszych podopiecznych poczuł magię świąt, otrzymując nie tylko materialne wsparcie, ale przede wszystkim poczucie, że ktoś o nich pamięta. Bardzo dziękujemy: Bahlsen Polska,

Wooden Story, Apis Natural Cosmetics, Wydawnictwo Aksjomat, oddziałom JCI, A.H.U. ADAR Dariusz Adamiec, Celiko, Vobro, Liwocz, Szkoły i Przedszkola z Miasta i Gminy Kraków oraz indywidualni Darczyńcy

Z całego serca chcemy podziękować wszystkim wolontariuszom za Wasze ogromne wsparcie i zaangażowanie w przygotowanie paczek mikołajowych dla naszych podopiecznych. Bez Waszej pracy, energii i poświęcenia ten projekt nie mógłby się udać. To Wy z oddaniem poświęcając swoje wolne chwile na sortowanie, pakowanie i organizację paczek. Wasze zaangażowanie i radość z pomagania stworzyły atmosferę, w której każda paczka była przygotowana z miłością i troską.

Wasza obecność i wsparcie sprawiają, że możemy działać skutecznie i z uśmiechem.

W imieniu całej naszej fundacji oraz wszystkich podopiecznych, którzy otrzymali paczki mikołajowe, chcemy raz jeszcze wyrazić naszą ogromną wdzięczność wszystkim biorącym udział w projekcie. To dzięki Wam te święta będą dla wielu osób czasem pełnym ciepła, radości i nadziei na lepsze jutro.

Niech dobro, które ofiarowaliście, wróci do Was ze zdwojoną siłą. Życzymy Wam radosnych i spokojnych świąt oraz wielu powodów do uśmiechu w nadchodzącym roku.



IV MIĘDZYNARODOWA KONFERENCJA NAUKOWO- -MEDYCZNA V4-CF

Dwa lata pracy i przygotowań, których zwieńczeniem była czwarta **Międzynarodowa Naukowo-Medyczna Konferencja V4-CF** pod nazwą „**On the other side of the bridge**”, odbywająca się w dniach 21–23 listopada 2024 roku zorganizowana we współpracy ze słowackim partnerem Slovak Cystic Fibrosis Association. Konferencja w całości poświęcona była omówieniu aktualnej sytuacji chorych na mukowiscydozę w Krajach Europy Centralno-Wschodniej. Było to jedno z ważniejszych wydarzeń dla europejskiej wspólnoty mukowiscydozy, która skupia jednocześnie przedstawicieli środowiska naukowego, medycznego i reprezentantów pacjentów w tym roku z 17 krajów.

Po raz pierwszy konferencja V4-CF odbyła się w Polsce w 2008 r., kolejne miały miejsce w roku 2017 i 2021. Tegoroczna edycja Konferencji V4-CF odbyła się w Krakowie i Wieliczce, a uczestniczyło w niej ponad 100 osób z 17 krajów. Wykładowcami byli światowej klasy eksperci zajmujący się mukowiscydozą. Program merytoryczny wydarzenia był wynikiem pracy komitetu naukowego pod przewodnictwem prof. Doroty Sands.

Głównym zagadnieniem tegorocznej edycji była dyskusja o przyszłości chorych na mukowiscydozę w kontekście przyjmowania modulatorów białka CFTR.

Pierwszy dzień konferencji przebiegał w Kopalni Soli w Wieliczce i był to tzw. „Twinning day”, poświęcony w całości projektowi o tej samej nazwie. Projekt polega na partnerstwie ośrodków eksperckich z krajów tzw. zachodnich z ośrodkami z krajów Europy Wschodniej. W projekcie



V4-CF



uczestniczy aktualnie 15 krajów. Wymiana doświadczeń i podsumowanie tego projektu w pierwszym dniu konferencji napawa optymizmem.

Drugi dzień koncentrował się na sytuacji pacjentów po wprowadzeniu modulatorów białka CFTR (leków przyczynowych) i zmianach jakie zaistniały w systemie opieki zdrowotnej nad pacjentami chorymi na mukowiscydozę, m.in. równości dostępu do leczenia.

W trakcie tego dnia konferencji prelegenci nie tylko przedstawili krajowe standardy opieki nad chorymi na mukowiscydozę, ale poruszyli również problemy dotyczące aktualnej opieki oraz przyszłości chorych z mukowiscydozą. W dużym skrócie, można powiedzieć, że było od narodzin (przesiewu), poprzez genetykę po problemy ciężarnych w mukowiscydozie.



Kluczowe było przedstawienie aktualnej sytuacji i pokazanie w jakim miejscu znajdują się polscy chorzy w porównaniu z chorymi w innych krajach, które później rozpoczęły leczenie modulatorami. Niestety Polska, kiedyś będąca w awangardzie dostępu do leków przyczynowych, aktualnie została wyprzedzona przez pozostałe kraje. Co bardzo zasmuca zwłaszcza, że dotyczy równości dostępu do leczenia Kaftrio. Piszę tu o dostępie do modulatorów pacjentów od drugiego roku życia. W takiej samej sytuacji jest w Europie tylko Słowacja!

W tym dniu Przewodnicząca Rady Naukowej Fundacji MATIO – prof. Halina Woś oraz prof. Tomasz Grodzicki **wręczyli Pani Profesor Dorocie Sands, Medal im. Stanisława Sitko** przyznawany za wybitne osiągnięcia na rzecz polskich chorych na mukowiscydozę. Działalność naukowa i kliniczna Pani Profesor miała i nadal ma kluczowe znaczenie w leczeniu mukowiscydozy, a także w szerzeniu świadomości na temat tej choroby. Gratulujemy serdecznie tego wyróżnienia i życzymy dalszych sukcesów



w misji niesienia pomocy pacjentom oraz dalszego rozwoju w dziedzinie medycyny.

To bardzo miłe, że konferencja spotkała się z tak wysoką oceną uczestników i udowodniła, że jesteśmy w stanie zorganizować tak duże i ważne wydarzenie o randze światowej, jednocześnie prezentując nasze osiągnięcia.

Pragnę osobiście oraz w imieniu komitetu organizacyjnego podziękować całemu zespołowi Fundacji MATIO oraz wolontariuszom za ich ciężką pracę i poświęcenie, a także wykładowcom, uczestnikom i wszystkim anonimowym osobom, które miały wpływ na realizację konferencji.

Dziękuję też Patronom, Sponsorom, Partnerom wspierającym to przedsięwzięcie, przede wszystkim pani Katarinie Stepankowej reprezentującej naszego głównego partnera Słowacką Organizację Pacjentów.

Patronat honorowy nad przedsięwzięciem „V4-CF” objęli: Marszałek Województwa Małopolskiego – Łukasz Smółka, Wojewoda Małopolski – Krzysztof Jan Kłęczar, Prezydent Miasta Krakowa – Aleksander Miszański, Andrea Elschekova Matisova – Ambasador Republiki Słowackiej w Polsce, Uniwersytet Jagielloński – Collegium Medicum, Eurordis, Polskie Towarzystwo Mukowiscydozy, ECFS, CF Europe.



PATRONAT HONOROWY



Marszałek Województwa Małopolskiego
Łukasz Smółka



Prezydent Miasta Krakowa
Aleksander Miszański



PARTNERZY



Medyczne Centrum Kształcenia Podypłomowego



ZŁOTY SPONSOR



SPONSORZY



PATRONAT MEDIALNY



Złoty Sponsor: Vertex Pharmaceuticals (Poland). Sponsorzy: Pari, Norsa Pharma, Komtur Pharmaceuticals, Chiesi, MEDGEN.

Partnerzy: Krajowe Forum na Rzecz Terapii Chorób Rzadkich Orphan, Fundacja PRO Egenis, Wodociągi Miasta Krakowa, Matio-Med, Uniwersytet Jagielloński – Ośrodek ds. kształcenia podyplomowego na Wydziale Lekarskim UJCM, Medyczne Centrum Kształcenia Podyplomowego, Dom Development.



Konkurs poetycki

„Witaj szkoło”

Pod koniec wakacji zaprosiliśmy naszych podopiecznych do dzielenia się swoimi przemyśleniami i emocjami związanymi z powrotem do szkoły. Tematyka wierszy miała obejmować radość, wspomnienia, nowe wyzwania, przyjaźnie oraz wszystko, co kojarzy się z początkiem roku szkolnego, ale też trzy słowa kluczowe: mukowiscydoza, MATIO, szkoła. Na zwycięzców czekały nagrody oraz możliwość zaprezentowania swoich wierszy na łamach naszego kwartalnika.

I miejsce: Julia Otfinowska

Znowu wrzesień i znów szkoła.
Już się martwi moja głowa.
Jak uchronić swoje zdrowie,
Kiedy chorób dookoła.
Tutaj katar, tam kaszelek,
Zosia, Maja i Kacperek.
Wciąż biegają nie zważając
by zasłonić twarz kichając.
Co tu robić i co począć?
By od chorób już odpocząć.
Z dobrym słowem rusza MATIO:
„W muko świecie nie jest łatwo.
Lecz się nie martw pomożemy,
w każdej chwili was wesprzemy”.
Trzeba dbać o swoje zdrowie,
Każdy mądry nam to powie.
Leki, dieta, drenaż, ruch.
Inhalacje, zdrowy brzuch.
Najważniejsze to są sprawy,
Jednak zawsze mam obawy...
Mukowiscydoza różne ma oblicze,
Lecz na pewno będzie dobrze, bardzo na to liczę.



Otrzymaliśmy wiele wyjątkowych zgłoszeń od utalentowanych poetów z całej Polski. Każdy nadesłany wiersz odznaczał się oryginalnością i głębią, co sprawiło, że jury miało trudne zadanie w wyborze najlepszych.

Ogłoszenie wyników miało miejsce 25 września 2024 r. na naszym Facebooku. Dziękujemy wszystkim uczestnikom za ich twórczość i zaangażowanie. Już teraz zapraszamy do śledzenia naszych przyszłych inicjatyw literackich!

Poniżej prezentujemy zwycięzców i ich wiersze.

II miejsce: Jan Suchara

„Witaj szkoło”.
Budzik dzwoni dziś od rana.
Wrzesień – szkoła woła Nas kochana.
Rano szybko inhalacje,
bo skończyły się wakacje.
Potem leki i do szkoły,
Szybko minie dzień wesoły.
W mojej klasie wszyscy wiedzą,
że z Mukowiscydozą dzieci mało jedzą.
W zaległościach pomagają mi jak mogą,
Nie jest lekko z tą chorobą.
Dlatego z fundacją MATIO
dużo współpracujemy,
By na temat Mukowiscydozy
przekazać co wiemy.
Super stronę prowadzą,
informacje udostępniają.
Bo MATIO jest fundacją,
którą muko-dzieci kochają



III miejsce: Igor Lewiński



Jestem Igor, mam za chwilę 7 lat,
z mukowiscydozą przemierzam świat.
I choć czasem bywa źle,
Ja Wam mówię: Nie poddam się.
Wiele osób, Fundacja Matio mi pomaga,
grunt to moja do życia odwaga.
2 września kolejna przygoda mnie zawołała,
a ta przygoda to szkoła, fajna i mała.
Mam fajną Panią, koleżanki i kolegów,
z nimi na korytarzach jest dużo biegów.
I już mi mówią: Igor, kreon weź,
w takiej szkole fajnie być i cześć.

Wyróżnienie: Ola Kalun

Jest taka Fundacja MATIO się nazywa,
Gdy szkoła się zaczyna Ona z pomocą przybywa.
„Wyprawka przedszkolaka” z której skorzystałam,
Ta właśnie Fundacja dla mnie wysłała.
Niech ten rok szkolny obfity będzie w zdrowie,
A mukowiscydozie żegnaj powiem.



Wyróżnienie: Anastazja Madziar

Muko w szkole straszy dzieci!!! 
Mukowiscydoza straszy dzieci.
Matio pomysł ma i chęci
Więc zabawę rozpoczyna.
Nastka poci się i spina
Wreszcie wierszyk rozpoczyna.
Bo jest mądra z niej dziewczyna, która szkołę już zaczyna.
Jest wesoły i z morałem,
żeby dzieci się nie bały.
Nastka kaszleć znów zaczyna,
rówieśnikom rzędzie mina.
W szkole wszyscy omijają
Trędownata... obrażając
Odpychana i nie chciana w szkole palcem wytykana. Nastka Wierszyk więc, „ulepia”
Niech dociera do człowieka
Nieporadny i z błędami nie jesteśmy idealni,
ale pragnie akceptacji,
móc się uczyć bez krępacji,
że choć chora kaszle, prychnie nie zaraża rówieśnika Matio pomysł dziś podsuwa
stworzyć wierszyk
Tak dla ucha, aby w szkole dzieci śmiało gdyby dziecko zakaszlało nie uciekły –
każdy słucha. Wierszyk trafia im do ucha.
Mukowiscydozę dziś wszyscy poznają
Nastki już nie omijają
No bo taka jest nauka
Że już w szkole dziecko słucha.
Morał z tego będzie taki,
że nie boją się dzieciaki
Wszyscy Nastki dziś słuchają i chorobę jej poznają Mukowiscydoza nie rujnuje
Lekcja empatii wszystkich ujmuje.
Dziecko dumnie kroczy śmiało z Matio szkołę pokochało.



**WSZYSTKIM
LAUREATOM
GRATULUJEMY**

**Przeznacz 1,5% podatku
na Fundację MATIO!**

Dzięki takiemu wsparciu
możemy działać dla Ciebie.
Dziękujemy!

KRS: 00 000 97 900



Cukrzyca

związana z mukowiscydozą (CFRD)

część 1

Cukrzyca związana z mukowiscydozą (Cystic Fibrosis-Related Diabetes, CFRD) to najczęściej występujące zaburzenie gospodarki węglowodanowej u osób cierpiących na mukowiscydozę (CF). CFRD łączy cechy zarówno cukrzycy typu 1, jak i typu 2, co czyni ją wyjątkową w porównaniu do innych form cukrzycy. CFRD charakteryzuje się zarówno upośledzeniem wydzielania insuliny, jak w cukrzycy typu 1, jak i insulinoopornością, jak w cukrzycy typu 2.

Mechanizm rozwoju CFRD

Mukowiscydoza to choroba genetyczna, która prowadzi do poważnych uszkodzeń trzustki, zarówno w jej funkcji zewnątrzwydzielniczej, jak i wewnątrzwydzielniczej. Uszkodzenie komórek beta trzustki, odpowiedzialnych za produkcję insuliny, oraz towarzyszący przewlekły stan zapalny mogą prowadzić do rozwoju cukrzycy. Insulinooporność u pacjentów z CF jest wynikiem stanu zapalnego, infekcji oraz problemów z masą ciała, takich jak nadwaga lub otyłość. Długotrwała insulinooporność, jest dodatkowym czynnikiem zwiększającym ryzyko rozwoju CFRD.

Epidemiologia

Cukrzyca związana z mukowiscydożą staje się coraz częstszym problemem w miarę starzenia się pacjentów z CF. U 10–20% dzieci i młodzieży z CF rozwija się CFRD, natomiast u dorosłych pacjentów odsetek ten wzrasta do 40–50%, szczególnie po 30. roku życia. Ryzyko powikłań, takich jak pogorszenie funkcji płuc oraz inne zaburzenia metaboliczne, rośnie, jeśli poziom glukozy nie jest odpowiednio kontrolowany.

Insulinooporność w CF

Insulinooporność to stan w którym komórki w ciele stają się mniej wrażliwe na działanie insuliny (mięśnie,

wątroba, tkanka tłuszczowa) – hormonu, który pomaga przенosić glukozę z krwi do komórek, gdzie jest używana jako energia. Gdy komórki nie reagują dobrze na insulinę, organizm produkuje jej więcej, aby utrzymać prawidłowy poziom cukru we krwi. Z czasem jednak to nadmierne wydzielanie insuliny może prowadzić do problemów zdrowotnych. U pacjentów z mukowiscydozą insulinooporność jest powszechnym problemem, pojawiającym się często jeszcze przed rozwojem pełnoobjawowej cukrzycy. Insulinooporność jest wynikiem przewlekłego stanu zapalnego, częstych infekcji oraz zaburzeń funkcji trzustki. Uważa się, że insulinooporność dotyka od 30% do 50% pacjentów z CF, zwłaszcza tych z zaawansowaną chorobą płucną.

Diagnostyka CFRD

Diagnostyka CFRD opiera się głównie na teście doustnego obciążenia glukozą (OGTT), który jest uznawany za złoty standard w tej grupie pacjentów. U pacjentów od 10. roku życia, zaleca się wykonywanie OGTT, co roku. Innymi narzędziami diagnostycznymi są wskaźniki insulinooporności, takie jak HOMA-IR, oraz monitorowanie poziomu glukozy za pomocą systemów ciągłego monitorowania glukozy (CGM), które mogą wykrywać nieprawidłowości znacznie wcześniej niż tradycyjne metody.

$$\text{HOMA-IR} = \frac{\text{glukoza na czczo (mg/dl)} \times \text{insulina na czczo (\mu\text{U/ml})}{405}$$

$$\text{HOMA-IR} = \frac{\text{glukoza na czczo [mmol/L]} \times \text{insulina na czczo [\mu\text{U/mL}]}{22,5}$$

**Wartość powyżej 2,5
wskazuje na insulinooporność.**

Kalkulatory:

<https://cukrzyca.pl/homa-ir/>

<https://insulinoopornosc.com/kalkulator-homa/>

Test doustnego obciążenia glukozą (OGTT) z pomiarem insuliny: w trakcie tego testu pacjent wypija roztwór glukozy, a następnie mierzy się poziom glukozy i insuliny w różnych odstępach czasu (najczęściej po 30, 60 i 120 minutach).

Insulinooporność może być rozpoznana, jeśli poziom glukozy po 2 godzinach jest podwyższony (ale nie przekracza wartości diagnozujących cukrzyce) oraz poziomy insuliny są za wysokie.

Dodatkowym wskazaniem do wykonania OGTT jest tzw. nieprawidłowa glikemia na czczo. Mówimy o niej, gdy stężenie glukozy wynosi 100–125 mg/dl.

Klasyfikacja zaburzeń tolerancji glukozy na podstawie wyników doustnego testu obciążenia glukozą (OGTT) u chorych na mukowiscydozę

Kategoria	Glikemia na czczo	Glikemia w 120 min OGTT	Uwagi
prawidłowa tolerancja glukozy	<100 mg/dl	<140 mg/dl	glikemia kontrolna <200 mg/dl
nieprawidłowa glikemia na czczo	100–125 mg/dl		
hiperglikemia nieokreślona	<126 mg/dl	<140 mg/dl	glikemia w 60 min OGTT >200 mg/dl
nieprawidłowa tolerancja glukozy	<126 mg/dl	140–199 mg/dl	
cukrzyca bez hiperglikemii na czczo	<126mg/dl	≥200 mg/dl OGTT nie jest konieczny	
cukrzyca z hiperglikemią na czczo	≥126mg/dl		

<https://www.mp.pl/pulmonologia/artykuly-wytyczne/inne/217131,rozpoznanie-i-leczenie-mukowiscydozy-cz-9-cukrzyca-i-zmniejszona-gestosc-mineralna-kosci>

Objawy i powikłania

CFRD może rozwijać się bez wyraźnych objawów, dlatego regularne badania przesiewowe są kluczowe. Pacjenci mogą doświadczać objawów podobnych do infekcji, takich jak spadek masy ciała, zmęczenie czy częste oddawanie moczu, co może utrudniać szybkie rozpoznanie CFRD. Nieleczona CFRD prowadzi do poważnych powikłań, w tym pogorszenia funkcji płuc, większej częstotliwości infekcji oraz komplikacji, takich jak neuropatia cukrzycowa, nefropatia czy retinopatia.

Leczenie CFRD

Leczeniem z wyboru jest insulinoterapia, której dawkowanie musi być dostosowane do stanu zdrowia i wieku pacjenta, diety oraz ewentualnych zaostrzeń choroby płuc. Doustne leki przeciwcukrzycowe nie są zalecane w CFRD. Regularne monitorowanie poziomu glukozy oraz **prowa-**

dzenie szczegółowego dziennika żywieniowego są kluczowe, aby dostosować leczenie do potrzeb chorego.

Indeks glikemiczny (IG) to termin używany do opisu wpływu różnych pokarmów na poziom glukozy we krwi. IG określa, jak szybko każdy pokarm lub napój zawierający węglowodany podnosi poziom glukozy we krwi po spożyciu.

Pokarmy o wysokim IG, np. słodkie napoje, soki, dżemy, suszone owoce, ketchup, słodkie sosy, białe pieczywo powodują szybki wzrost poziomu glukozy we krwi (mają zastosowanie w leczeniu hipoglikemii). Metody gotowania, przetwarzanie oraz zawartość białka i tłuszczu w żywności wpływają na ich IG

Co zwiększa IG	Co zmniejsza IG
Pewien rodzaj skrobi (dokładnie amylopektyny: biały ryż arborio, białe pieczywo, kasza manna, ziemniaki, dojrzałe banany, skrobia modyfikowana, tapioka)	Obecność skrobi odpornej RS3 (np. schłodzone ziemniaki, ryż, makaron)
Stopień przetworzenia żywności (płatki górskie będą miały niższy IG niż błyskawiczne)	Współwystępowanie tłuszczu, białka
Silne rozdrobnienie produktów	Wszelkie substancje antyodżywcze (kwas fitynowy, szczawinowy, pektyny, taniny itd.)
Niektóre cukry poste – glukoza, sacharoza	Cukier prosty typowy dla owoców – fruktoza
Długie gotowanie/pieczenie	Przechowywanie w niskich temperaturach produktów skrobiowych
Stopień dojrzałości owoców i warzyw	Błonnik (przy IBS błonnik low fodmap np. oporna dekstryna i hydrolizowana guma guar, psylium)
Obróbka termiczna – rozgotowane	Obróbka termiczna – al' dente

Wyzwania dietetyczne w CFRD

Dieta pacjentów z CFRD musi być bogata w kalorie, białko i tłuszcze, a jednocześnie ograniczać węglowodany proste. Pacjenci muszą spożywać posiłki o niskim indeksie glikemicznym, unikać nadmiernych skoków poziomu cukru oraz regularnie monitorować swoje zapotrzebowanie kaloryczne. Warto prowadzić dzienniczek żywieniowy, aby lepiej dostosować dietę do zmieniających się potrzeb organizmu, zwłaszcza podczas zaostrzeń choroby płuc.

Nowoczesne terapie i przyszłość leczenia CFRD

Obecnie na świecie około 90% pacjentów z mukowiscydozą kwalifikuje się do leczenia modulatorami CFTR, głównie dzięki takim lekom jak Trikafta (kombinacja elxacaftor, tezacaftor i ivacaftor). W Polsce dostęp do tych terapii jest wciąż ograniczony, ale stopniowo rośnie.

Przykładowy dzienniczek dietetyczny

Dzień..... Data.....

Godz	Posiłek	Glikemia i insulina	Skład posiłku	Miara/g	WW	Uwagi, leki, suplementy, dolegliwości

AKTYWNOŚĆ FIZYCZNA/ FIZJOTERAPIA (RODZAJ, CZAS TRWANIA, PŁYNY PITE PODCZAS TRENINGU)

Obiecujące wyniki w leczeniu CFRD przynosi stosowanie modulatorów CFTR, takich jak iwakafator, elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor. Badania sugerują, że modulatory CFTR mogą poprawiać funkcję trzustki, zmniejszać wahania poziomu glukozy we krwi, a w niektórych przypadkach nawet zmniejszać zapotrzebowanie na insulinę. Jednak skuteczność tych terapii zależy od rodzaju mutacji CFTR oraz stopnia zaawansowania choroby.

mgr Patrycja Kłysz

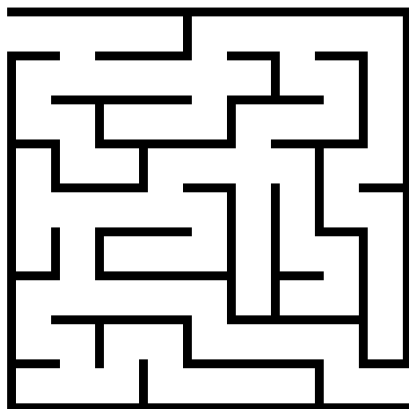
Bibliografia

- <https://www.mdpi.com/2077-0383/13/15/4491>
- https://link.springer.com/chapter/10.1007/164_2022_597
- <https://diety.nfz.gov.pl/plany-zywieniowe/cukrzyca>
- <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/33558149/>
- <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/32917547/>
- [https://www.cysticfibrosisjournal.com/article/S1569-1993\(20\)30862-6/fulltext](https://www.cysticfibrosisjournal.com/article/S1569-1993(20)30862-6/fulltext)
- <https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S1569199319308355#t0010>
- <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/36980112/>
- <https://ptdiab.pl/zalecenia-ptd/zalecenia-aktywni-czlonkowie-2023>
- https://pcfs.pl/wp-content/uploads/2024/02/ESPEN-ESPGHAN-ECFS-guideline-on-nutrition-care-for-cystic-fibrosis_2024.pdf
- <https://pcfs.pl/wp-content/uploads/2024/02/Standards-of-care-for-CFTR-variant-specific-therapy-including-CFTR-modulators.pdf>
- <https://pcfs.pl/edukacja-dla-profesjonalistow/>

EKO-ROZRYWKA

ŚWIĄTECZNY LABIRYNT

Pomóż Świętemu Mikołajowi dotrzeć do sań i uratuj te święta – dzięki Twojej pomocy prezenty zostaną dostarczone na czas!



ROZWIĄŻ RÓWNANIE

$$\begin{array}{r}
 \text{snowflake} + \text{snowflake} + \text{snowflake} = 18 \\
 \text{snowflake} + \text{snowflake} + \text{snowflake} = 22 \\
 \text{snowflake} + \text{snowflake} + \text{snowflake} = 28 \\
 \text{snowflake} + \text{snowflake} + \text{snowflake} = ?
 \end{array}$$

DZIĘKUJEMY!

„Pomaganie to jedyna inwestycja, która zawsze przynosi zyski – w sercach tych, którym pomagamy, i w naszych własnych.”

Szanowni Darczyńcy,
Para Prezydencka – Andrzej, Agata Duda, Premier RP – Donald Tusk, Marszałek Sejmu – Szymon Hołownia, Marszałek Senatu – Małgorzata Kidawa Błońska, Wojewoda Małopolski – Jan Krzysztof Klęczar, Wojewoda Mazowiecki – Mariusz Frankowski, Marszałek Województwa Małopolskiego – Witold Kozioł, Prezydent Krakowa – Jacek Majchrowski, Prezydent Gdańska – Aleksandra Dulciewicz, Prezydent Warszawy – Rafał Trzaskowski, Prezydent Wrocławia – Jacek Sutryk, Marszałek Województwa Mazowieckiego – Mariusz Frankowski, Apis Natural Cosmetics, Vertex, Pari, Dom Development, Bahlsen, Wooden Story, Wydawnictwo Aksjomat, LPP, PBS Conect Polska, Mattel Polska, Derform, Michalczyk i Prokop Sp. z o.o., A.H.U. ADAR Dariusz Adamiec, Celiko, Vobro, Liwocz, Expodum, Bogna Jarzemska Misztalska, Jan Ziobro, Ada Jarzębowska, Anna Lewińska, Marta Chrzan, Beata Prządka, Marcin Nowak, Hotel Pod Różą, Agnieszka Setner-Wilczyńska – Pracownia Krawiecka, Małgorzata Jaśkowiec, Maria Mydlak, Joanna Jaworska, Magdalena Tomczyk, Kamila Baraniok, s. Lucyna Semik, Just Paul Prive, Natura Residence Hotel, Drezyny Regulice, Hotel Stradom House, Edward Duda, Beskid Art-Deco, Ewa Kvet, Rafał Sonik, Maria Jasek, Hotel Pod Różą, Joanna Wietrzycka, Sady Bistro, Kesner Fryzjerzy, Anna Lewińska, RKS Raków Częstochowa, Volumin – Grzegorz Brehel, Rossman, Agnieszka Setner Wilczyńska, Dyrektor Zamku Królewskiego na Wawelu – Marcin Nowak, Filharmonia Krakowska, Termy

Chochołowskie, Lavito, Avatar Centrala Ruchu, Knockout, Stowarzyszenie „Razem dla Wszystkich”, Magdalena Jakubiak-Karpierz, Maria Jasek, Jerzy Tyburski, Fundacja Ludzki Gest, Dr Irena Eris, Nadleśnictwa: Gdańsk, Brzeg, Elbląg, Giżycko, Opole, Czarnobór, Krasnystaw, Czarna Białostocka, Świerklaniec, Czaplonek, Kup, Gościeradów, Kluczbork, Chojna, Szkoły i Przedszkola z Miasta i Gminy Kraków.

W imieniu naszej Fundacji pragniemy z całego serca podziękować za Państwa hojność, wsparcie i zaufanie. Dzięki Waszej ofiarności, mogliśmy zrealizować wiele ważnych inicjatyw, które przynoszą realne wsparcie naszych podopiecznych.

Wasza pomoc to nie tylko wsparcie finansowe czy rzeczowe, ale przede wszystkim dowód na to, że wspólne działania mają moc zmieniać świat na lepsze. Każda przekazana przez Państwa darowizna, każda chwila poświęconego nam czasu, każde dobre słowo i gest otuchy przyczyniają się do tego, że nasze cele stają się rzeczywistością.

Dziękujemy za to, że jesteście częścią naszej misji. Bez Waszej pomocy i zaangażowania nie byłibyśmy w stanie osiągnąć tak wiele. Mamy nadzieję, że dalej będziecie Państwo z nami i wspólnie będziemy kontynuować tę drogę, przynosząc nadzieję i wsparcie tam, gdzie jest ono najbardziej potrzebne.

Z wyrazami wdzięczności i szacunku
MATIO Fundacja Pomocy Rodzinom i Chorym
na Mukowiscydozę



FUNDACJA POMOCY
RODZINOM I CHORYM
NA MUKOWISCYDOŻĘ