

Centraliserad vård grundläggande i vårdprogram för blödarsjuka

Vikten av centraliserad vård kan inte nog betonas vad gäller handläggningen av blödarsjuka. Det framgår av ett vårdprogram som tagits fram av Sveriges tre hemofilicentrum och Förbundet Blödarsjuka i Sverige, med stöd av stimulansbidrag från Socialstyrelsen. Detta ska garantera bästa möjliga och likvärdig vård för Sveriges blödarsjuka och är ett steg mot nationella riktlinjer.

Företrädare för Sveriges tre hemofilicentrum (Universitetssjukhuset MAS, Malmö, Sahlgrenska Universitetssjukhuset, Göteborg, Karolinska sjukhuset, Stockholm) har i samarbete med Förbundet Blödarsjuka i Sverige (FBIS) utarbetat ett vårdprogram för att ge patienter med blödarsjuka en likvärdig, kunskapsbaserad och effektiv vård. För att konkretisera vården för den enskilde patienten har även individuella vårdplaner och patientinformation framtagits. I denna artikel vill vi ge en sammanfattning av vårdprogrammets syfte och innehåll. Termen »blödarsjuka» syftar i detta sammanhang på hemofili (klassisk blödarsjuka) samt på von Willebrands sjukdom.

Blödarsjuka – en bakgrund

Blödarsjuka orsakas av medfödd brist på eller total avsaknad av fungerande koagulationsfaktor VIII (hemofili A), koagulationsfaktor IX (hemofili B) eller von Willebrandfaktorn. Hemofili A och B är könsbundet nedärvda och drabbar nästan uteslutande pojkar, medan kvinnor blir anlagsbärare [1]. von Willebrands sjukdom nedärvs autosomalt, vanligen dominant, varför den drabbar båda könen lika [2]. Hemofili A är fem gånger vanligare än hemofili B, och tillsammans förekommer hemofili hos 1/10 000 individer. Det finns i dag cirka 700 personer diagnostiserade med

hemofili i Sverige. Sjukdomens svårighetsgrad är beroende av koncentrationen av koagulationsfaktorn i blodet (Tabell I).

von Willebrands sjukdom förekommer i en rad olika typer (Tabell II). Typ 1 är vanligen kliniskt mild, nedärvt dominant och utgör den vanligaste formen. I Sverige har ett par tusen fall diagnostiserats, men i vissa utländska studier har prevalensen angivits så hög som 1 procent av befolkningen. Ett stort mörkertal av åkomman skulle alltså kunna finnas. Typ 2 är ovanlig och föreligger i en rad subtyper. Typ 3 saknar von Willebrandfaktorn och har därmed också kraftigt sänkt faktor VIII-halt. Typ 2 leder ibland och typ 3 alltid till en svår form av sjukdomen som förekommer hos ett 50-tal personer i Sverige.

Man kan räkna med att det finns uppemot 350 personer i Sverige som lider av de svårare formerna av blödarsjuka eller von Willebrands sjukdom.

Symtomen vid svår och moderat form av hemofili karakteriseras främst av blödningar i leder och muskler, antingen spontant eller av mindre trauma. Ledblödningarna medför efter hand destruktion av ledkapsel, ledbrosk och ben, och patienterna kan utveckla allvarlig invaliditet med rörelseinskränkning och kroniska smärttillstånd. Vid slag mot skalle eller buk kan livshotande blödningar uppstå. Vid mild form av hemofili är ledblödningar relativt ovanliga, men vid trauma, som kirurgi, kan även livshotande blödningar uppstå. Termen »mild» är alltså olyckligt vald och kan invägga patient och vårdgivare i en falsk trygghet.

von Willebrands sjukdom karakteriseras av slemhinneblödningar; rikliga menstruationer är ofta det som för patienten till diagnos. Gynekologerna har alltså ett stort ansvar att misstänka diagnosen och remittera dessa kvinnor till koagulationsmottagning. Rikliga blödningar vid trauma och kirurgi samt efter förlossning är vanliga.

Blödarsjukvården skall vara centraliserad

Blödarsjuka är en ovanlig sjukdom med svåra symtom och komplikatio-

Författare

ERIK BERNTORP

docent, överläkare, sektionschef

STEFAN LETHAGEN

docent, överläkare; båda sektionen hematologi/koagulation

ROLF LJUNG

docent, chefsöverläkare, barn- och ungdomscentrum; samtliga Universitetssjukhuset MAS, Malmö

HANS JOHNSON

docent, överläkare, divisionen för medicin

PIA PETRINI

biträdande överläkare, koagulationsmottagningen, kliniken för infektion och hematologi

SAM SCHULMAN

docent, överläkare, koagulationsmottagningen; samtliga Karolinska sjukhuset, Stockholm

LILIAN TENGBORN

docent, överläkare, koagulationscentrum, Sahlgrenska Universitetssjukhuset/Sahlgrenska, Göteborg

BIRGITTA REHNBY

fil kand, ombudsman

EVA SARMAN

fil kand

BENNY ÅSBERG

ordförande; samtliga Förbundet Blödarsjuka i Sverige.

ner. Den komplicerade behandlingen har även inneburit allvarliga biverkningar. En viktig förutsättning för fullgott omhändertagande är en organisation med högspecialiserade hemofilicentrum. För att alla blödarsjuka, oavsett var man är bosatt, skall ha tillgång till samma vårdkvalitet krävs uppföljning av behandlingen och stöd från hemortssjukvården, till exempel med injektion av faktorkoncentrat vid allvarlig blödning, sjukgymnastik och kurativt stöd.

Vården i Sverige är uppbyggd i enlighet med rekommendationer från WHO och World Federation of Hemophilia (WFH), vilka starkt förordar cen-

traliserad vård [3, 4]. Vid Sveriges tre hemofilicentrum finns läkare med samtidig specialistkompetens i invärtesmedicin eller barnmedicin samt i koagulationssjukdomar, och med erfarenhet av vård av hemofili och von Willebrands sjukdom. Därutöver finns specialutbildad personal; vårdlaget varierar något mellan olika centrum, men gemensamt är sjuksköterska, sjukgymnast, ortopedkirurg, tandläkare, kurator. Vårdlaget samarbetar med specialister inom andra discipliner och har ett brett internationellt kontaktnät.

Eftersom blödersjuka har betydelse från konceptionen till graven för patienten och familjen måste alla aspekter på omhändertagandet beaktas, så kallad »comprehensive care». Vid ett hemofilicentrum finns nödvändiga laboratorieresurser för diagnostik och behandling samt uppföljning av blödersjuka. Patienterna genomgår regelbundna kontroller för att värdera effekten av behandling och biverkningar. Hemofilicentrum bedriver egen jourverksamhet. Utbildning, information samt forskning utgör väsentliga delar av verksamheten. Kontakterna med hemortssjukvården är viktiga, och det är vanligt att personal från hemofilicentrum besöker patienter i hemmet, den lokala sjukvården samt skolor, barnomsorg etc.

Diagnostik och behandling

I vårdprogrammet finns riktlinjer för hur diagnostiken skall bedrivas. Dessa inkluderar bärar- och fosterdiagnostik, där DNA-teknologin, särskilt vid hemofili men även alltmer vid von Willebrands sjukdom, nu definitivt har tagit över.

Målet för behandling av blödersjuka är att förebygga och förhindra blödnings, rörelseinskränkningar och andra komplikationer av sjukdomen. Under de senaste 20 åren har behandlingen av blödersjuka genomgått en revolutionerande utveckling, vilken inte minst skett i vårt land.

Det är först sedan slutet av 1980-talet som så kallade faktorkoncentrat blivit väsentligen fria från komplikationer i form av blodsmitta. Faktor VIII-koncentrat tillverkade med rekombinant DNA-teknik finns nu tillgängliga, vilket kan anses ytterligare ha ökat säkerheten, och rekombinant faktor IX-kon-

centrat är snart tillgängligt. Utvecklingen av von Willebrand-faktorkoncentrat har gått långsammare, och för närvarande förlitar man sig på ett kombinerat von Willebrand-faktor VIII-koncentrat tillverkat från plasma.

Förebyggande behandling, profylax med faktorkoncentrat, har visats vara nyckeln till ett liv utan förstörd rörelse-



Vårdprogram och faktablad kan beställas från Förbundet Blödersjuka i Sverige och från respektive hemofilicentrum.

apparat. Profylaxbehandlingen går till så att patienten eller vårdnadshavaren ger intravenös injektion med faktor VIII- eller faktor IX-koncentrat, vanligtvis 2–3 gånger i veckan. En del patienter med von Willebrands sjukdom behandlas också profylaktiskt.

Även vid mildare former där profylaxbehandling inte anses nödvändig utgör hembehandling ett fundament eftersom patienten då snabbt kan behandla sig så fort tecken på blödning uppstår.

Vid mildare former av hemofili A och vid flertalet former av von Willebrands sjukdom utgör desmopressin (Octostim) ett effektivt och säkert behandlingsalternativ. Tranexamsyra (Cyklokapron) är ofta ett gott komplement till nämnda behandlingar.

Behandlingskomplikationer – ett hot mot vården

Substitutionsbehandling har revolutionerat blödersjukvården men också givit en rad allvarliga komplikationer.

Blodsmitta: Eftersom de plasmabaserade faktorkoncentrat utvinns ur plasmapooler, till vilka en mängd blodgivare bidragit, är det lätt att förstå att blodsmitta kan komma in i preparaten. Hepatit B-problematiken övervanns för många år sedan med effektivt urval och screening av plasmagivare samt vaccination. Hepatit A har inte utgjort något egentligt problem för de blödersjuka. Däremot har de flesta patienter som be-

handlats fram till omkring 1988 drabbats av hepatit C. Fortfarande är det ovanligt att blödersjuka drabbas av klinisk leversjukdom, men då risk för detta finns på sikt har behandling med interferon och ribavirin i många fall inletts.

Den största tragedin inträffade i och med att HIV kom in i koncentrationen och många blödersjuka, framför allt hemofilpatienter, smittades i början av 1980-talet. Av de ursprungliga cirka 100 smittade har drygt 60 personer avlidit i aids. Även om preparaten numera är HIV- och hepatitsäkra är det många patienter som fortfarande bär på dessa virusjukdomar, och detta kräver naturligtvis extra insatser från såväl sjukvård som patientorganisation.

Inhibitorer: En annan allvarlig komplikation är utveckling av antikroppar mot faktor VIII eller faktor IX. Dessa hämmare, eller inhibitorer, utvecklas hos cirka en femtedel av de blödersjuka med svår hemofili, varvid behandlingen med faktorkoncentrat omöjliggörs. Stora insatser för att försöka behandla dessa patienter görs avseende akuta blödnings, inte minst för att försöka inducera immuntolerans och därmed eliminera antikropparna.

Ortopedisk vård, stöd och egenvård viktigt

Den ortopediska vården är viktig för de blödersjuka eftersom de äldre patienterna inte kommit i åtnjutande av den effektiva profylaxbehandlingen. Därför bedöms patienterna av specialkunnig ortoped, och ledplastikoperationer är numera vanliga. I detta sammanhang är sjukgymnastisk vård och smärtvård också viktiga.

Blödersjuka är ett livslångt funktionshinder, och sjukdomen kräver ett förhållningssätt som bygger på helhets-syn och långsiktighet. Även om den medicinska och ortopediska vården utgör fundamentet för de blödersjuka så behövs även stöd av psykologisk och kurativ natur, inte minst mot bakgrund av de allvarliga biverkningarna till medicineringen. Egenvården är naturligtvis mycket viktig och kräver stöd och pedagogisk uppbackning från vården samt ett fungerande informationsmaterial.

För att vårdprogram inte skall förbli abstrakta skrivbordsprodukter är det

Tabell I. Svårighetsgrader av hemofili. Normalbefolkningen har 50–150 procent av respektive faktor.

Svår form	<1 procent faktor
Moderat form	1–<5 procent faktor
Mild form	5–cirka 25 procent faktor

Tabell II. von Willebrands sjukdom. Karakteristika avseende von Willebrandfaktorn i plasma.

Typ 1	Sänkt koncentration
Typ 2	Förändrad struktur
Typ 3	Saknas

ANNONS

mycket viktigt att de också efterlevs i den konkreta patientsituationen. Därför har individuell vårdplan framtagits. Varje patient får således ett eget häfte där till exempel målsättningen för vården, checklistor och analysresultat finns, och fortlöpande uppdateras gemensamt med vårdgivaren.

Samarbete mellan vårdgivare och vårdtagare

Vad vi här beskrivit är en sammanfattning av det vårdprogram som gemensamt framtagits av de tre hemofili-centrumen och patientorganisationen. För att ett vårdprogram skall bli praktiskt tillämpligt och få trovärdighet tror vi att det är av yttersta vikt att det utarbetas i samråd mellan vårdgivare och vårdtagare. Lika viktigt är det att programmet individualiseras och konkretiseras för den enskilde patienten så att patienten blir välinformerad och delaktig i sin vård. Vårdplanen utgör också ett kommunikationsinstrument i vårdkedjan. Nästa steg, som vi snart hoppas skall bli verklighet, är att vårdprogrammet kan vinna gehör ute i landet och utgöra en grund för framtida nationella riktlinjer.

Blödarsjukvården i Sverige har sina anor sedan 1950-talet och anses fortfarande tillhöra de absolut främsta i världen. Vi vill med detta vårdprogram förankra och befästa denna ställning och ge alla patienter med blödarsjuka i vårt land rätt och möjlighet till likvärdig vård av absolut högsta internationella klass.

Referenser

1. Nilsson IM. Hemophilia. Stockholm: Pharmacia, 1994.
2. Lethagen S. Pathogenesis, clinical picture and treatment of von Willebrand's disease. *Ann Med* 1995; 27: 641-51.
3. Memorandum from a joint WHO/WFH meeting. Prevention and control of haemophilia. *Bulletin of the World Health Organization* 1991; 89: 17-26.
4. Kasper CK, Mannucci PM, Bulyzhenkov V, Brettler DB, Chuansumrit A, Heijnen L et al. Hemophilia in the 1990s: Principles of management and improved access to care. *Thromb Haemost* 1992; 18: 1-10.

Summary

Centralised care fundamental to the optimal management of haemophilia

Erik Berntorp, Stefan Lethagen, Rolf Ljung, Hans Johnsson, Pia Petrini, Sam Schulman, Lilian Tengborn, Birgitta Rehnby, Eva Sarman, Benny Åsberg

Läkartidningen 1999; 96: 1849-52

Haemophilia is a rare and potentially life-threatening disease. In Sweden, with a popu-

lation of approximately 8.5 million, about 350 people suffer from the more severe forms of haemophilia or von Willebrand disease. Meticulous management is important if the patients are to be spared chronic disability and serious treatment complications. The disease is lifelong and affects psychosocial aspects of life among patients and their families. With the help of a grant from the Swedish Board of Health and Welfare, a care programme has been designed to guarantee Swedish haemophiliacs comparable and optimal care. The programme has been drawn up by representatives of the three haemophilia centres in Sweden (at University Hospital, Malmö, Sahlgrenska University Hospital, Gothenburg, and Karolinska Hospital, Stockholm) in co-operation with the World Federation of National Haemophilia Organisations. To ensure optimal individual application of the programme, individualised management strategies and patient information leaflets have been prepared.

Correspondence: Associate Professor Erik Berntorp, Dept of Coagulation Disorders, University of Lund, Universitetssjukhuset Malmö, SE-205 02 Malmö, Sweden.



MISSÖDEN MISSTAG MISSBRUK

i sjukvården

Vad händer i slutna rum då läkare blir problem? Hur löser man konflikter vid missöden i vården? Vem kan ge ett bra stöd till anmälda läkare?

Under 1994-95 publicerade *Läkartidningen* 21 artiklar om problemläkare, läkarproblem, ansvarsfrågor och patientförsäkringen. De har nu samlats i ett 80-sidigt häfte, som kan beställas med kupongen nedan.

Pris 75 kronor. Vid 11-50 ex 67 kronor, vid högre upplagor 63 kronor/exemplar.

Beställer härmed

..... ex Missöden, Misstag,
Missbruk

.....
Namn

.....
Adress

.....
Postnummer/Postadress

Insändes till *Läkartidningen*,
Box 5603, 114 86 Stockholm

Märk kuvertet »Missöden»
Telefax 08-20 76 19