



Tedaviyi yürütecek bir hekim bulmak

Pompe hastalığının tedavisi artık dünya çapında pek çok hastaya sunulabilmektedir ve bu çok büyük bir başarıdır. Ancak, bazı ülkelerde geri ödeme hala bir sorun olmaktadır. Bir Pompe hastası olarak kuşkusuz bu fırsat hakkında ve Myozyme tedavisinden nasıl yararlanabileceğiniz hakkında daha fazla bilgi edinmek isteyeceksiniz. Bunun gerçekleşebilmesi için, önce Myozyme'in geri ödenip ödenmeyeceğini öğrenmeniz gerekmektedir. Daha sonra, sizi tedavi etmek isteyen ve tedavi edebilecek yetkin bir hekim bulmanız gerekecektir. Bu biraz zaman ve çaba harcanmasını gerektirebilir. Ancak, bu arayışınızı kolaylaştırabilecek kaynaklar bulunmaktadır. Tedavinizi üstlenecek bir hekimin yerini bulduktan sonra, bu tedaviyi almak için bir aday olup olmadığınızı kesinleştirmek üzere değerlendirilmeniz gerekecektir. Bu kitapçık, Myozyme tedavisine erişiminizi sağlayabilecek bir hekim bulabileceğiniz yerleri ve hangi tıbbi testleri yaptırmanız gerekebileceğini açıklamaktadır.



S Beni değerlendirecek ve Myozyme ile tedavi edecek bir hekimi nasıl bulabilirim?

C Myozyme ile tedavi alabilmeniz için, önce sizi tedavi etmek isteyen bir hekim bulmanız gerekmektedir. Bu, yaşadığınız ülkeye göre farklılık

göstermektedir. Bazı ülkelerde, Pompe hastalarının tedavisini izleyip, denetleyen uzmanlık merkezleri bulunmaktadır. Diğer ülkelerde, hastaların yerel bir hastanede istekli bir hekim bulmaları gerekmektedir.

Pompe hastalığının diğer adları

Asit alfa-glukozidaz yetersizliği, asit maltaz yetersizliği (AMY), tip II glikojen depo hastalığı (GDH), glikojenez II ve lizozomal alfa-glukozidaz yetersizliği.

Tedaviyi yürütecek bir hekim bulmak (devam)

Ülkenizde Pompe hastalığında uzman birisini bulmak için, Uluslararası Pompe Derneğinin (IPA) ülkenizdeki irtibat kişisi veya kuruluşuyla temasa geçmeniz iyi bir başlangıç noktası olabilir.

www.worldpompe.org/interpom.html web sitesini ziyaret ediniz. Eğer ülkenizdeki irtibat kişisini bulamıyorsanız, www.worldpompe.org/secretariat.html web sitesi aracılığıyla IPA ile temasa geçin.

Bazı bölgelerde, yerel Genzyme temsilciniz de bir uzman bulmanıza yardımcı olabilir.

S Beni Myozyme ile tedavi edecek bir hekim bulduktan sonra, sormak isteyebileceğim bazı sorular ne olabilir?

C Sizi Myozyme ile tedavi edecek bir hekim bulduktan sonra, tedaviye başlamadan önce karşılıklı bir konuşma yapmanız önemlidir. Bu konuşma için iyice hazırlıklı olun. Ön muayene, geri ödeme, allerjik reaksiyonlar, tıbbi testler ve rehabilitasyon gibi şeyleri içeren tüm sorularınızın bir listesini hazırlayın.

Sormak isteyebileceğiniz soru tiplerine ilişkin bazı örnekler aşağıda verilmiştir. Yaşadığınız ülkeye bağlı olarak, bazı sorular diğerlerinden daha anlamlı olabilir:

- Başka Pompe hastalarını da tedavi ediyor musunuz?
- Pompe hastalığı veya EYT’de deneyimli olan diğer uzmanlarla temasınız var mı?
- İnfüzyon tedavileriyle deneyiminiz nedir?

- Sigortayla ilgili formalitelerde beni destekleyecek misiniz?
- İnfüzyon tedavileri başlamadan önce herhangi bir tıbbi muayene veya test yaptırmam gerekiyor mu?
- Hangi günlerde ve hangi saatlerde tedavi almam mümkün olacak?
- İnfüzyon ne kadar sürecek?
- İnfüzyon nerede yapılacak – en yakın hastanede mi yoksa evde mi?
- Bir infüzyon gününde ne beklemeliyim?
- Bir port-a-catch’e ihtiyacım olacak mı yoksa her defasında yeni bir infüzyon iğnesi mi alacağım?
- Allerjik reaksiyonum olursa ne olacak?
- Enzimi evimde uygulamanız mümkün olacak mı?
- Siz tatile çıktığınızda ne olacak? Yerinize bakacak biri var mı?
- Tedaviye başladıktan sonra, rehabilitasyon uzmanı, fizyoterapist veya konuşma terapisti gibi başka hekimlere sevk edilmem gerekebilir. Bu sevk işlemlerinde bana yardımcı olabilecek misiniz?
- Geçmişte hastalık izleme kayıtları kullandınız mı? Pompe Kayıt Programı (Pompe Registry) kullanarak hastalık durumumu izleyecek misiniz?
- Durumumu düzenli olarak kaydedecek misiniz?

Tedaviyi yürütecek bir hekim bulmak (devam)

S Doktorumun yanı sıra başka kimler bana bakabilir?

C Size Pompe hastalığı tanısı koyulduğu anda, multidisipliner bir bakım – yani bir uzmanlar ekibinden tıbbi bakım almanız önemlidir. Tipik olarak, bir genetikçi, bir pediatri uzmanı ve bir nöromüsküler uzman ilerlemenizi izler ve spesifik semptomları tedavi eden fizyoterapist, konuşma terapisti, diyetisyen ve pulmonolog gibi çeşitli tıbbi uzmanlara sizi sevk eder. Klinisyenler ve yardımcı sağlık meslek mensupları da destekleyici bakım sağlayabilir. Bu multidisipliner ekibin üyeleri tüm tedaviniz süresince birbiriyle iletişim halinde olacaktır. Multidisipliner bakım hakkında daha fazla bilgi edinmek için, www.worldpompe.org/pompeconnections.html adresinde 'Pompe Hastalığı için doğru tedaviyi almak' başlıklı Pompe Connections'a bakınız.

S Myozyme alabilmemden önce neler yapmalıyım?

Myozyme almaya başlayabilmenizden önce, doğrulanmış bir Pompe hastalığı tanınızın olması gerekir. Bu, enzim aktivitenize ilişkin tıbbi bir rapor ve/veya bir DNA mutasyon analizine ihtiyacınız olduğu anlamına gelmektedir. Doktorunuz da tedavinize başlamadan önce bazı testler yaptırmanızı

isteyebilir. Bu testler, kalp muayenesini (kalp hızı ve ritminizi ölçmek ve kalp kas dokusunun elektriksel aktivitesini görüntülemek için), nörolojik testleri (kas gruplarının güç ve işlevini ölçmek için), akciğer fonksiyon testlerini (belli bir zaman diliminde nefes alıp verdiğiniz havanın miktar ve hızını kaydetmek için), kan testlerini (kanınızdaki elektrolitler, yağlar, proteinler ve enzimlerin düzeyini ölçmek için), gebelik testi veya işitme testini içerebilir. Bu testlerin sonuçları doktorunuza bir taban veya başlangıç noktası sağlayacaktır. Tedaviniz ilerledikçe, gelişim düzeyinizi değerlendirebilmek için bu testler tekrarlanabilir.

Myozyme tedavisi damar içi (kan akımınız yoluyla) uygulandığından, doktorunuz damarlarınıza girişin ne kadar kolay olduğunu belirlemek üzere muhtemelen sizi muayene edecektir. Eğer damarlarınıza giriş zorsa ya da iğne yaptırmaktan korkuyorsanız, doktorunuz bir port-a-catch (veya benzer bir cihaz) takılmasını önerebilir. Port-a-catch, lokal veya genel anesteziyle göğüs bölgenizde deri yüzeyinin altına yerleştirilen bir cihazdır. Bu cihazın avantajı, damarlarınıza kolay girişi sağlamasıdır. Dezavantajı ise, bir damar içi girişime kıyasla daha yüksek enfeksiyon riskinin bulunmasıdır. Herhangi bir işleme başlamadan önce doktorunuzla bu seçeneği tartışmalısınız.

Bu yayın, kapsanan konuyla ilgili genel bilgi sağlamak amacıyla tasarlanmıştır. Uluslararası Pompe Derneği tarafından bir kamu hizmeti olarak dağıtılmaktadır ve Uluslararası Pompe Derneği, tıbbi veya diğer mesleki hizmetler sunma amacını taşımamaktadır. Tıp sürekli değişmekte olan bir bilimdir. İnsan hatası ve uygulamadaki değişiklikler, böylesi karmaşık materyallerin kesin doğruluğunu garanti etmeyi olanaksız kılmaktadır. Bu bilgilerin diğer kaynaklar, özellikle de hastanın kendi hekimi tarafından doğrulanması gerekmektedir. Myozyme'in etkililiğinin kişiden kişiye farklılık gösterdiğini lütfen unutmayınız.