איגוד סיסטיק פיברוזיס בישראל
לתת מכל הנשימה
CF

לנשום חופשי

יוני 2019

✔ נכנס לסל הבריאות

41819 | CF | דפוס | מגזין - לנשום חופשי אביב 2019 / גודל רוחב 21*29.7 | 20.5.19

דר' אורי ענבר
יו"ר איגוד CF

שירה זגורי
מנכ"לית איגוד CF

דבר מנכ"ל ויו"ר

השנה התחילה בבשורות מרגשות - אישור הסימדקו לסל הבריאות עבור 80 חולים. המאבק השנה היה קשה מאוד. התחרות בין ארגוני החולים וההצלחה של האיגוד להכניס כל שנה תרופה או טכנולוגיה לסל העצימה את הקושי.

השנה לאיגוד יש הזדמנות להיאבק על סקר הילודים מאחר ואין תרופה מצילת חיים להגשה לסל. זו ההזדמנות שלנו לקדם את הבקשה, שנדחית במשך שנים על ידי ועדת הסל.

כנס המשפחות התקיים השנה בתחילת השנה עקב ביקורו בארץ של ד"ר קמפבל פרסטון, יו"ר איגוד ה-CF האמריקאי. זו הייתה הזדמנות נהדרת לשמוע את הרצאתו המרתקת בנוגע לעתיד האופטימי הצפוי לחולי ב-CF.

בחודשים האחרונים מחבר האיגוד בין חולים לבין מחקרים בחו"ל על התרופות החדשות. מחקרים על אורגנואידים ומחקרים על ידי לקיחת דגימות מהאף, בגיליון תוכלו לקרוא את חוויתה של אסתר שנסעה לסן פרנסיסקו.

לצערנו נושא מימון מרפאות סיאף, עליו אנחנו עומלים בשנתיים האחרונות, טרם הגיעה לסיומו ואנו עדיין לא רואים צפי לסיום. אנו זקוקים לכל עזרה בגיוס כספים ובחיבור לאנשים שיכולים לסייע לאיגוד בנושא זה.

אסתר נשיאת העמותה נפרדה מאיתנו בכנס המשפחות, אנו מודים לה על עשור של עשייה ומסירות למען חולי סיאף ומחפשים את הנשיא הבא. נשמח לדעת אם יש לכם רעיונות וחיבורים לאנשים שיכולים לכהן כנשיא/ה העמותה. תפקיד הנשיא הוא לסייע בגיוס כספים וליצור קשרים עם העולם העסקי, הפוליטי והכלכלי לטובת העמותה.

קריאה מהנה.

פרידה של הצוות הסוציאלי משושי פלמור

שושי פלמור, פרשה לאחר שמונה שנים בהן שימשה פסיכולוגית במרפאת הדסה הר הצופים. במסגרת תפקידה ובמשך השנים ליוותה חולים ובני משפחה בהתמודדות עם ה-CF.

שושי הופיעה בכנסים בינלאומיים והביאה את הטיפול בחולים ובבני משפחותיהם לקדמת הבמה הטיפולית.

נפרדנו ממנה במסגרת פגישת הע"סיות שמתקיימת באיגוד בהשתתפות הפסיכולוגית, אדי לנדאו, ממרפאת ה-CF בשניידר. סיעור המוחות של הצוות הנהדר הזה מעורר השראה.

תודה לך שושי על שנים של ייעוץ ותמיכה.

גיוס עיגול לטובה

עיגול לטובה הוא אפשרות לתרומה קטנה וכמעט לא מורגשת, שמביאה לשינוי גדול ותרומה גדולה שמסייעת לאיגוד בפועלו לעזרה לחולים ובני משפחותיהם.

באמצעות הוראה קבועה ניתן לעגל כל עסקה בכרטיס האשראי או את תלוש המשכורת החודשי, ואת ההפרש כמה אגורות לתרום לאיגוד. למשל, בקניה בסך 84.8 ₪ ייתרמו 0.20 אג'. כך תרומה ממוצעת של 4 ₪ בחודש, הופכת את המציאות לטובה יותר. כסף קטן מביא לשינוי גדול.

סכומי תרומה פעוטים מאנשים רבים מצטרפים לתרומה משמעותית שמשפיעה על העשייה והחיים של חולי סיסטיק פיברוזיס. אלה לא סתם אגורות אלא כסף חברתי. כל מעגל חדש שנוסף מרחיב את מעגל ההשפעה ויוצר שינוי אמיתי בחייהם של החולים ובני משפחותיהם.

המנגנון המיושם בחברות האשראי מאפשר למי שבוחר בכך לעגל כל עסקה בכרטיס אשראי לשקל הקרוב, ולתרום את האגורות שיעוגלו במלואן. המנגנון המיושם בחברות השכר מאפשר לעגל את השכר נטו כלפי מטה ל- 5, 10 או 20 ש"ח ובכך לתרום שקלים ספורים בכל חודש.

להצטרפות ניתן להתקשר אלינו, או להירשם ישירות דרך האתר של עיגול לטובה.

עיגול לטובה
כסף קטן משנה הרבה

כנס משפחות

הכנס השנה התקיים בשיתוף **החברה הישראלית לסיסטיק פיברוזיס** בראשות **פרופ' איתן כרם**, מנהל מרפאת CF בהדסה. בכנס השתתף **ד"ר קמפבל פרסטון**, יו"ר איגוד ה-CF האמריקאי, שהיה אורחו של פרופ' כרם.

שירה זגורי, מנכ"לית האיגוד, סיכמה את הפעילות של האיגוד בשנה האחרונה והציגה את חברי הועד המנהל החדש. **ד"ר אורי ענבר**, יו"ר האיגוד עדכן אף הוא על המתרחש אצלינו.

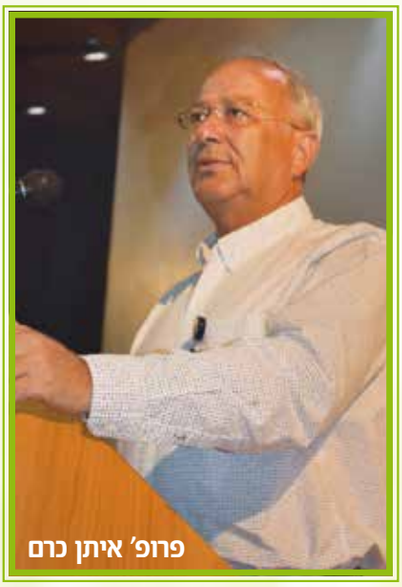
בכנס נפרדנו מ**אסתר בכרך יעקבי** אחרי כהונה של עשור בתפקיד נשיאת האיגוד. אנחנו יודעים שלמרות שאסתר לא תישא בתפקיד הרשמי, היא תמשיך לייצג ולקדם את האיגוד.

הן פרופ כרם והן ד"ר פרסטון דיברו על העתיד האופטימי הצפוי לחולי סיסטיק פיברוזיס, עם התקדמות המחקר והתרופות החדשות שהגיעו ועוד יגיעו. המשפחות שהגיעו לאולם נהנו מתרגום סימולטני מאנגלית לעברית ולערבית. תודה ל**מוחמד סאלחי** על התרגום לערבית.

בסוף ההרצאות נהנו מאתנחתא מוזיקלית מהנה עם הנגנית והזמרת **סוניה יעקב**. סוניה הגיעה בהתנדבות ועשתה לנו שמח וטוב בלב.

תודה לפרופ' כרם ולצוות בבית החולים, תודה לסוניה יעקב ותודה ל**חברת מדיסון**, שתומכת בכנסי המשפחות.

אורי ענבר, יו"ר האיגוד


פרופ' איתן כרם

סוניה יעקב

פרופ' איתן כרם, שירה זגורי וד"ר קמפבל פרסטון

יוני 2019

גשר של תקווה - אסתר אסכנדרני, חברת הועד המנהל

באמצע מרץ 2019 נסעתי למחקר בסן פרנסיסקו בזכות הסיוע של איגוד סיסטיק פיברוזיס.

זאת הייתה הטיסה הראשונה שלי אחרי השתלת הריאות שעברתי לפני כשנתיים, כך שהנסיעה הייתה מוצפת רגשות. מצד אחד טיסה ראשונה במטוס אחרי השתלה, מפחדת לטוס כל כך רחוק מהמעקב הצמוד והסביבה המגוננת. מצד שני, הרצון לטעום מהחיים עצמם, לטייל, להעז לראות עולם.

אז אחרי שיחות עידוד עם ריקי היקרה, אורי ענבר המקסים ותמיכה גדולה מאחי ואחיותי המושתלים, קיבלתי מספיק אומץ לפרוש כנפיים ולטוס.

בזכות תרומה ייעודית שהגיעה לאיגוד למען המחקר, הגעתי לסן פרנסיסקו למרפאה של פרופסור אלן ורקמן. פרופסור ורקמן, הוא בין החוקרים הראשונים שהתחילו לחקור מוטציות נדירות וקשות. עד היום לא התרחשו ניסויים על סוג המוטציה שלי והצפי לטיפולים מותאמים גנטית היה מאוד פסימי.

הניסוי הוא בשלב מאוד ראשוני , עוד אין פיתוח של תרופה ייעודית אלא נדרשתי לבוא לדגימת תאים. ההליך עצמו מאוד קצר, פשוט וללא תופעות לוואי (השילוש הקדוש של כל מטופל) הצוות היה מאוד מתחשב וסבלני, הם אפילו גרמו לי להרגיש גאווה בתאים שלי, אמרו לי שאני מיוחדת ונדירה, האמריקאים יודעים לפרגן ולהרים גם את הדברים השלילים. אבל מצד שני אין כמו הרופאים שלנו בארץ, שאיתם אפשר לדבר חופשי, לצחוק ולשבור את הדיסטאנס במהלך הבדיקות.

הבדיקה עצמה כללה הרדמה מקומית שלא ממש הייתה נחוצה, שטיפות פשוטות של מי מלח לנקות את האזור ולבסוף הברשות מהאף - לוקחים מברשת מיוחדת שאוספת כמה תאים מהאף, את התאים מכניסים למבחנה קטנה וסטרילית והמטרה היא לגדל את התאים האלה, ולנסות עליהם מגוון של חומרים.

בסיום הבדיקה עשו לי סיור במעבדות, ראיתי את המכשירים את המחשבים, את החומרים המיוחדים, וכמובן את הצוות הגדול שדואג לתאים לכל התנאים הכי טובים. הסיור במעבדה היה חוויה בפני עצמה, לראות את הפיתוחים הטכנולוגים, התקציבים והתוכנות מחשב היה סוג של נסיעה אל העתיד.

בסיום הניסוי, הגשמתי חלום קטן ויותר ממשי, לראות את גשר הזהב של סן פרנסיסקו כמו בסרטים ההוליוודים. אז על אוטובוס הקומתיים בכניסה לגשר הזהב, אני לוקחת נשימה עמוקה וחיה את החלום. מי היה מאמין שאני אגיע לרגע הזה - אני על הגשר של סן פרנסיסקו.

מה נראה לכם, זה הבונוס הקטן, החלום שהתגשם הוא להגיע לרגע הזה שלפני 30 שנה, מי בכלל היה מאמין? שיהיו בכלל תרופות מותאמות גנטית לסי אף והנה עכשיו במציאות של היום, המחקרים הגנטיים והפיתוחים הטכנולוגים בעידן של שיא שרק הולך ומתפתח.

העתיד של חולי סי אף צעירים הרבה יותר ורוד ואופטימי וכולי תקווה שהתאים "המיוחדים" שלי יתרמו ויעזרו לסיאפניקים אחרים וימנעו מהם אשפוזים, החמרות והשתלות.

באופן אישי , אני ממליצה לכם לגלות מעורבות לשאול את הרופאים, להתייעץ עם הצוות הרב תחומי ולהתעדכן דרך האיגוד. להתעניין ולשאול תמיד כדאי ושווה, יש כיום הרבה מחקרים וניסויים בארץ ובעולם, אני במשך שנים קיבלתי תשובות שאין שום מחקרים והנה דווקא ממקום לא צפוי (דרך האיגוד) הגיע אליי המידע על הניסוי. אז פשוט , תקראו, תשאלו , תברר ותבדקו עם הרופאים, בפורומים באיגוד או עם מטופלים אחרים כי אין לכם מה להפסיד.

לחיי גשר הזהב של כל אחד מאיתנו. הרבה בריאות, אושר ושמחה.

נפרדנו לפני מספר חודשים משמעון צומת, שהיה פעיל באיגוד ואף שימש כיו"ר כמה שנים. יהי זכרו ברוך. להלן דברים שריקי מכלין, ראש השרות הסוציאלי כתבה לזכרו:

שמעון צומת

שמעון היה יו"ר של איגוד סיסטיק פיברוזיס בישראל במשך כמה שנים. זה תפקיד שהוא שימש בו בהתנדבות.

לא פשוט להיות יו"ר של איגוד קטן שתלוי בתרומות, לא מאד מוכר בציבור וכמעט שלא זוכה לתמיכה ממשלתית. גם לא פשוט להיחשף לכל מיני קשיים רגשיים שלא ניתן לברוח מהם כאשר אתה נמצא בתפקיד כזה ואת שני הדברים שמעון צלח בצורה מאד מרשימה. ההבנה הכלכלית שלו, שסייעה למנכ"לית דאז לנהל את העניינים הכספיים מחד, והחמלה שהיא חלק מהותי באישיותו סייעו לו לבצע את התפקיד בצורה הטובה ביותר.

אבל מעבר לתפקיד הרשמי, שמעון היה לנו חבר. הוא דאג לאנשי הצוות באופן אישי ודאג לרווחתנו, התעניין בשלומנו בצורה כנה ואיך אמרתי קודם? היה לנו חבר.

זיכרון נוסף חד שיש לי מהתקופה הזאת היוא דווקא ברמה האישית. שמעון היה גא מאד בבני משפחתו ושמח תמיד לספר על נפלאותיהם, וכך , בלי שאפילו תדעו, "הכרתי" את הבנים המוצלחים, הכלות האהובות והנכדים המקסימים...

לאחר פרישתו מהתפקיד, המשכתי להיות איתו בקשר, בעיקר סביב נושא האמנות. השילוב של איש מעשה ואיש רוח הקסים אותי אבל במיוחד ההתמדה וההתפתחות שלו כצייר. בעלי ואני , כמו רבים, ליווינו אותו בכל התערוכות שהיה שותף להן, עקבנו אחריו בפייסבוק וקבלנו ממנו ברכות מצוירות באירועים שונים וסתם ברכת בוקר טוב. הוא האיר את יומי ושימח אותי לעתים קרובות.

אני אזכור תמיד את שמעון בחיוך ובלב חם.

יהי זכרו ברוך.

הכנסת סימדקו לסל הבריאות

לאחר מאבק מאומץ של האיגוד, אנו נרגשים ושמחים לבשר כי לאחר מאבק מאומץ התרופה פורצת הדרך סימדקו (Symdeco)

נכללה בסל הבריאות 2019 עבור חולי CF עם מוטציה שאריתית (residual function) בני 12 ומעלה.

סימדקו הינה תשלובת תרופתית המכילה 2 חומרים פעילים: החומר הראשון הוא **התרופה קליידקו Kalydeco** הנקראת גם Ivacaftor. החומר הפעיל השני הוא **Tezacaftor**.

מה עושה כל אחד מהחומרים המרכיבים את סימדקו?

Tezacaftor - הוא CFTR corrector התרופה נקשרת לחלבון ה-CF הפגום מתקנת את המבנה שלו ובכך מעלה את כמות ה- CFTR הפעיל באתר בו הוא צריך לפעול ממברנת התא.

קליידקו - Ivacaftor - הוא CFTR potentiator גורם להפעלה מוגברת של חלבון ה- CF הממוקם בממברנת התא. קליידקו גורמת לחלבון ה- CF להפתח יותר פעמים והעביר יותר יונים של כלור.

שילוב של שני החומרים הפעילים הנ"ל מביא להגברת הכמות והפעילות של חלבון CFTR על שטח פני התאים והגברת הפעילות של חלבון ה-CF בהעברת יונים של כלור.

היעילות של סימדקו הוכחה במחקרים קליניים, נצפה שיפור משמעותי בתפקודי הריאות אשר הודגם **בעליה ממוצעת של 7.8% בערכי FEV_1**, שיפור משמעותי במדד **איכות החיים** וכן חלה **ירידה משמעותית של כ- 50% בתדירות ההחמרות הריאתיות**. מחקרים הראו שמעבר לשיפור במדדים לאחר התחלת מתן התרופה, היא גם גורמת **להאטת קצב התקדמות המחלה.** כאשר המשמעות היא **הארכת תוחלת החיים במעל ל- 8 שנים.**

מינונים: המינון המומלץ של Symdeko הינו טבליה אחת (המכילה Tezacaftor 100 מ"ג + Ivacaftor 150 מ"ג) בבוקר, וטבליה אחת של Ivacaftor 150 מ"ג בערב. סה"כ 2 טבליות ביום.

עלות התרופה גבוהה מאוד - חצי מיליון ₪ לחולה לשנה ובארץ החולים יקבלו את התרופה **ללא כל עלות** במסגרת הסל.

להלן רשימת המוטציות המתאימות לתרופה. אנו מבקשים מחולים עם מהמוטציות האלו לפנות בהקדם לאיגוד ולמרפאת CF.

תודה לכל החולים והמשפחות שתמכו במאבק וכן לחברת מדיסון שסייעה ללא לאות.

Table 4: List of *CFTR* Gene Mutations that Produce CFTR Protein and are Responsive to SYMDEKO

E56K	R117C	A455E	S945L	R1070W	3272-26A→G
P67L	E193K	F508del*	S977F	F1074L	3849+10kbC→T
R74W	L206W	D579G	F1052V	D1152H	
D110E	R347H	711+3A→G	K1060T	D1270N	
D110H	R352Q	E831X	A1067T	2789+5G→A	

חברי ועדת סל התרופות במשרד הבריאות

לחיות עם סיסטיק פיברוזיס, זה כמו לטבוע מבפנים!

תרופת Symdeko היא תרופה מאריכת חיים ופורצת דרך שיכולה לשנות חיים לחולים רבים, ילדים ובוגרים. עזרו לנו לשכנע את חברי ועדת סל התרופות להכניס את התרופה **חתמו על העצומה בכתובת: Atzuma.co.il/cfnow**

איגוד סיסטיק פיברוזיס בישראל CF
לתת מכל הנשימה

לתרומה ישירה: 03-6702323 או באתר: **cff.org.il**

רפואת CF לבוגרים

ד"ר מיכל שטיינברג
מנהלת שירות ברונכיאקטזיות ו-CF במבוגרים במכון הריאות ומרכז CF, בי"ח כרמל

הצורך ברופאי מבוגרים כמטפלים בחולי CF אינו חדש, והתעורר עם השיפור בתוחלת החיים.

ד"ר מיכל שטיינברג, מנהלת שירות ברונכיאקטזיות ו-CF במבוגרים במכון הריאות ומרכז CF, בי"ח כרמל, מסבירה שהצורך מגיע הודות לעבודה מסורה של צוותי CF בישראל כמו ברחבי העולם, והתקדמות הטיפול ב-CF. פגשנו אותה לשיחה אודות הצורך במרפאות מבוגרים בישראל.

היכן קיימות היום בעולם מרפאות מבוגרים?

מזה כמה שנים קיימים מרכזי CF נפרדים לילדים ולמבוגרים בארה"ב, בריטניה ועוד מדינות באירופה.

מה החשיבות שבמרכז CF למבוגרים?

ברפואת מבוגרים הצרכים שונים: התמודדות עם נושאי פוריות, הריון ולידה, עם מחלות של הגיל המבוגר ועם סיבוכי המחלה - מחלות לב, סוכרת, מחלות כליה, נזקי עישון- שיש גם במעט מחולי ה-CF, אוסטאופורוזיס, גידולים, ועוד. גם הגישה למטופל כבוגר כעצמאי, בעל תחומי חיים ואחריות נוספים מאשר מחלתו, וכשותף בטיפול- שונה מהגישה ברפואת ילדים. עם התרופות החדשות ל-CF שיעור המבוגרים רק ילך ויעלה ותוחלת החיים תעלה עוד, ולכן הצורך רק יגבר.

מה הביא אותך להתמחות ברפואת CF במבוגרים?

למדתי לימודי רפואה בטכניון במסגרת העתודה האקדמית, ושירתתי כרופאה ומפקדת מרפאת בסיס ההדרכה של חיל הים. עוד במהלך לימודי הרפואה התאהבתי בתחום של רפואת ה-CF, בשלב זה מהבחינה התיאורטית - קסם לי הקשר ההדוק בין הרפואה למדע בתחום הזה. במהלך ההתמחות ברפואה פנימית עזבתי בצער את התחום, אולם ב-2012, זמן קצר אחרי סיום התמחות העל במחלות ריאה, פנו אלי מהנהלת ביה"ח כרמל להצטרף למרכז CF שאז כלל רופא ילדים אחד בלבד. כמובן שראיתי בכך הזדמנות פז לחזור לאהבתי הישנה ונעניתי ברצון.

עם ההצטרפות למרכז בכרמל וההתמקדות ב-CF, יצאתי להשתלמות במרכז סיסטיק פיברוזיס מבוגרים בבלפסט, צפון אירלנד, בהנחייתו של פרופ' סטיוארט אלבורן, שהיה גם נשיא איגוד ה-CF האירופי.

מאז שחזרתי לפני שש שנים, אני מרכזת את הטיפול בחולי ה-CF המבוגרים במרכז CF בכרמל, לצד רופאי ריאות הילדים והצוות הרב מקצועי.

האם התפקיד של הצוות הרב תחומי ישתנה אף הוא במרכזים למבוגרים?

בהחלט. כבר כיום הצוותים הרב מקצועיים משנים גישה במעבר לטיפול במבוגרים: הרוקחים הקליניים נדרשים לשינויים במינוני תרופות ולאיזון בין טיפולים תרופתיים רבים, הדיאטנים- לגבי תוספי תזונה בחולים עם תחלואה נוספת (סוכרת, אי ספיקת כליות), וכמובן מצד העובדים הסוציאליים והפסיכולוגים - הצרכים הנפשיים השונים. ההתייחסות שונה (של ביטוח לאומי, מוסדות השכלה גבוהה ומקומות עבודה) מחייבת גישה ייעודית גם בפן הפסיכו - סוציאלי. יש צורך בצוות הרב תחומי, כפי שנמצא היום, יחד עם הבנה לצרכים ולגישות השונות.

איך את רואה את המעבר מ"חממת" מרפאת הילדים למרפאת המבוגרים?

זו בהחלט נקודה שצריך לשים עליה דגש. חייבים להתקיים תנאים דומים במרפאת מבוגרים כמו במרפאת ילדים - מבחינת הזמינות, היחס האישי והזמן המוקדש למטופל מכל אנשי הצוות הרב מקצועי - לפחות כמו לחולי ה-CF צעירים, אם לא הרבה יותר (בשל המורכבות הגדולה יותר). מצד שני, מדובר באנשים מבוגרים, והציפייה לאחריות ושותפות בטיפול גוברת בהתאמה.

האם את רואה מרכזי CF למבוגרים בעתיד הקרוב בישראל?

רופאי ה-CF בישראל מדברים כבר מספר שנים על מרכזים נפרדים שיעבדו בשיתוף פעולה- ילדים ומבוגרים. תנאי לקיום מרכזים הוא הכשרה מתאימה של רופאי ריאות מבוגרים, וכן קיום תכנית מעבר מסודרת של הבוגרים הצעירים ממרכז ילדים למרכז מבוגרים, עם העברת מידע ושמירה על רצף טיפולי לכל חולה. הקשיים רבים- בין היתר חסר ברופאי ריאות מבוגרים (בכלל, לא רק ב-CF).

אבל- אם בחו"ל ההסדר הזה קיים שנים - ודאי שהוא ייתכן וחשוב גם בישראל. יש "סנוניות" ראשונות- רופאי ריאות מבוגרים שמתעניינים בתחום. כך למשל, בכרמל ובבילינסון מכשירים רופאים נוספים בנושא של CF. לדעתי יש צורך, למסד תכנית בכלל המרכזים בישראל.

תרופות חדשות לסיסטיק פיברוזיס

ד"ר משה אשכנזי
יו"ר ועדת הרופאים המייעצת של האיגוד, מרפאת CF שיבא

מאת: ד"ר משה אשכנזי, יו"ר ועדת הרופאים המייעצת של האיגוד, מרפאת CF שיבא

מאז השקתה של התרופה קליידקו דומה שאנחנו נמצאים בעידן חדש בכל מה שקשור לסיסטיק פיברוזיס. ליין התרופות של חברת ורטקס, ולא רק שלה, התרחב מאוד וישנן היום הרבה תרופות מבטיחות שנמצאות בשלבים שונים של הפיתוח וניסוי. פיתוחי התרופות נחלקים לקבוצות שונות, תרופות העובדות על תעלת CFTR, תרופות העוזרות לפינוי הליחה, תרופות אנטי-דלקתיות ואנטיביוטיות. בסקירה הזו אנסה לתת מבט מקרוב על הפיתוחים הללו.

תרופות הפעולות על ה-CFTR - התרופות החדשות נחלקות לשלוש קבוצות, מתקנות - CORRECTOR, פותחות תעלה-POTENTIATOR, ו-AMPLIFIER המגבירות את כמות החלבון המיוצר בתעלה.

שלוש תרופות כבר מאושרות, קליידקו (פותחת תעלה), אורקמבי וסימדקו (שתיהן גם פותחות תעלה וגם מתקנות אותה). שתי תרופות עם שלושה מרכיבים (פתיחה + תיקון) סיימו מחקר פאזה 3, וצפויות להיות מאושרות בארה"ב לקראת סוף 2019 ובאירופה תחילת 2020, המשמעות היא ככל הנראה הגשה לסל התרופות שלנו לשנת 2021.

בנוסף לאלו, ישנן עוד שבע תרופות נוספות (מתקנות, פותחות ומגבירות) שנמצאות בפאזה 2 של מחקר, הבשורות החשובות הן שאנו מדברים על חברות תרופות נוספות ולא רק חברת ורטקס, כך שהתחרות בין החברות תשפר את התוצאות. אציין שהתרופות שמוזכרות עד כה הן בעיקר למוטציה F508del, שלרוב אוכלוסיית חולי ה-CF בעולם יש אותה (להבדיל מרוב החולים בארץ שאינם נושאים אותה).

הבשורה לחולים עם מוטציות פסק (stop), כמו W1282X למשל, נמצאת בעתיד הרחוק יותר. ישנן תרופות בפיתוח, אך רובן עדיין לפני פאזה ראשונה ורק תרופה אחת ממתינה להתחלת ניסוי פאזה 2 בארץ, תרופה של חברת ELOXX. החולים עם מוטציות אלו יכולים להתחיל לחוות את התקווה לפיתוח תרופות מהקבוצה הבאה - שיפור פינוי ליחה.

תרופות הפועלות על פינוי הליחה

(בשפה מקצועית פינוי מוקו-ציליארי) - תרופות אלו אינן תלויות מוטציה ומתאימות לכל החולים. התרופות המפורסמות בקבוצה זו הן הפולמוזיים ומי מלח היפרטוני, מוקוקליר ופלומוסאל. בקרוב מסתיים ניסוי פאזה 3 עם מאניטול (סוג של סוכר המושך אליו נוזלים) באינהלציה. לדעתי התרופה הכי מבטיחה בקבוצה זו הינה בשם 1265162BI, תרופה זו מעכבת את ספיגת הנתרן מתעלת ENaC ובכך מעלה ריכוז מלח בליחה, תיאורטית אפקט דומה לשפעול CFTR. תרופה זו אינה תלויות מוטציה ומאחוריה עומדת חברת ענק, בורינגר אינגלהיים. תרופה זו נמצאת בפאזה 2 עכשיו. בנוסף, ישנן לפחות עוד שתי תרופות בקבוצה זו בפאזה 2.

תרופות אנטי דלקתיות - שלוש תרופות שונות בפיתוח, כל אחת עובדת על ריסון של מרכיב אחר בתגובה הדלקתית המוגזת אצל חולי CF.

אנטיביוטיות - קבוצה גדולה של תרופות, מאז ההשקה האחרונה (קייסטון) עברו כמה שנים אבל בקרוב מסתיים ניסוי פאזה 3 עם לוופלוקסצין (מוכר בשם טבאניק) וגם עם ואנקומיצין, שתיהן באינהלציה. במחקר בפאזה 2 נמצאות מספר תרופות מאוד מעניינות. הכי מביניהן לטעמי זו הגאליום. גאליום זו מתכת שניתנת למתן באינהלציה או לוריד, המתכת הזו מתחרה עם ברזל וכאשר הפסאודומונאס המוקואידי בא איתה במגע אז הוא מכניס אותה אליו אבל היא לא מתפקדת כמו ברזל ולכן החיידק מת מחוסר ברזל. כרגע הניסוי למתן תוך ורידי מתקדם יותר מזה שבאינהלציה. אנו מחכים במתח לתוצאות.

לסיכום

מסקירה זו ניתן להבין את כמות התרופות שנמצאות בפיתוח, ברור שלא כולן יגיעו לשלב של אישור והפצה לחולים אולם גם אם חלק קטן מהן יגיע לשוק, אלו הן בשורות טובות. כמובן שלתרופות הללו יש מחיר גבוה והמשמעות הכלכלית למערכת הבריאות הינה עצומה מאחר וכידוע, גל הפיתוחים הוא לא רק בתחום ה-CF ואינו פוסח על שום תחום ברפואה והוא פורה בעיקר בתחום סרטן הדם.

דבר חשוב נוסף, איננו יודעים את ההשפעה של התרופות האלה לטווח הארוך. את התופעות לטווח הקצר אנחנו מכירים היטב (הופעה של קטרקט, הפרעה באנזימי כבד, כאבי בטן ועוד) אולם את ההשפעות רחוקות הטווח, אם ישנן כאלה, אנחנו נדע רק בעוד שנים.

אנחנו נמצאים בעידן חדש, מעולם לא היו כל כך הרבה תרופות בפיתוח לטובת חולי ה-CF. יש לזכור שהתרופות הללו לא יודעות לשקם רקמת ריאה פגועה ועל כן אני חושב שהיום יש חשיבות אדירה להיענות מלאה לטיפול מאחר והאור בקצה המנהרה מעולם לא היה גדול יותר.

היתרונות בשימוש תמיסת מי מלח היפרטוניים 7%

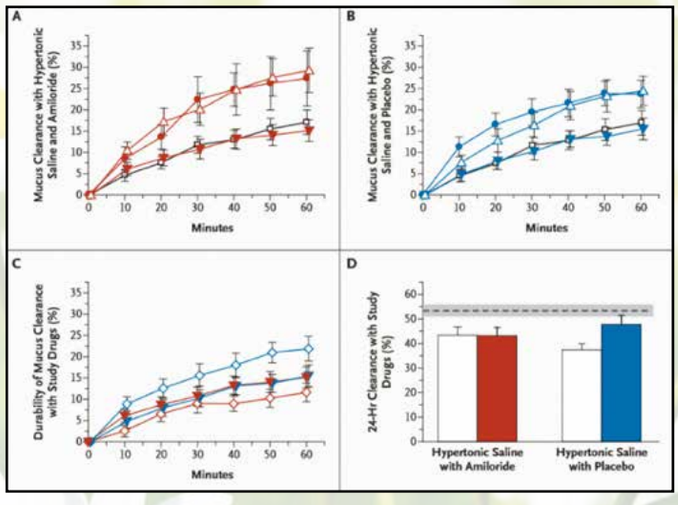
ד"ר משה אשכנזי
יו"ר ועדת הרופאים המייעצת של האיגוד, מרפאת CF שיבא

מאת ד"ר משה אשכנזי

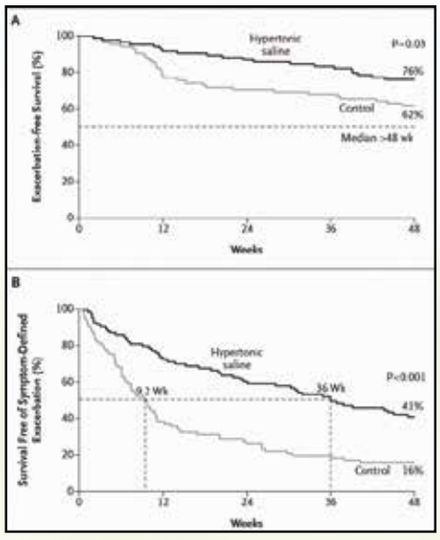
כידוע הפגם הבסיסי במחלת ה-CF הינו פגם בתעלת ה-CFTR, הגורם לכך שכלור יופרש בכמויות זעירות, אם בכלל לחלל של דרכי האוויר. התעלה CFTR משפיעה על עוד מספר תעלות ביניהן גם תעלת נתרן וגורמת לכך שריכוז הנתרן יהיה אף הוא נמוך בחלל של דרכי האוויר. לכן, ריכוז נמוך של יוני נתרן וכלור פירושו ריכוז נמוך של מלח, ומאחר ומלח מושך אליו מים. זוהי בעצם השיטה של הגוף להעביר מים אל איזור מסוים - להעביר מלח ואז המים מגיעים אליו. מכאן אנחנו מבינים שההפרשות הנמצאות בדופן דרכי האוויר הינן יבשות מהרגיל ועל כן קשה מאוד לנייד אותם אל מחוץ לריאות. מערכת הניקוי של הריאה המושתתת בעיקר על שעריות זעירות (הקרויות סיליה) המניעות את הליחה החוצה, לא מסוגלת להוציא את ההפרשות אצל חולי CF וזאת בגלל היובש שלהן.

הפתרון האינטואיטיבי אם כן הוא מתן מי מלח באינהלציה, מי מלח מרוכזים בריכוזים של 6% או 7%. ההמלצות הינן אינהלציה כזו, 15 דקות לפני הפיזיותרפיה הנשימתית היומית על מנת לרכך את הליחה ולהשיג אפקט מקסימלי של הטיפול. כמובן שלכל טיפול יש תופעות לוואי, הנפוצה שבהן הינה הגירוי של דרכי האוויר, הן העליונות והן התחתונות, בנוסף תתכן היצרות של הסינפונות (הברונכים) בשל כך, הופעה של שיעול ולעיתים נדירות גם דימום.

כבר בשנת 2006 פורסם במגזין הרפואי המוביל בעולם, New England Journal of Medicine, מאמר שהראה את היעילות בכיוח לאחר שימוש במי מלח 7% באינהלציה בחולי CF. (תמונה 1), בתמונה רואים את הבדלי כמויות הכיח כאשר משתמשים באינהלציה של מי מלח היפרטוניים 7% מול אלו שלא.



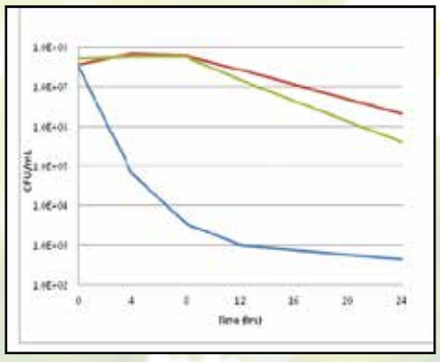
עוד באותה השנה פורסם מאמר שני באותו המגזין שהראה שיפור בתפקודי הריאות של חולי CF שהשתמשו באינהלציות מי מלח 7% לעומת כאלה שלא, ובנוסף הראה שהיו פחות החמרות ראתיות אצל חולים שהשתמשו דרך קבע באינהלציה הזו (תמונה 2) . השימוש הפעם נעשה לאחר אינהלציה עם מרחיבי סימפונות מאחר וחלק מהחולים אינם יכולים להגיב עם היצרות דרכי אוויר לאינהלציה. בתמונה רואים שאחוז גבוה יותר מהמשתמשים במי מלח 7% היו ללא החמרות לעומת קבוצת הביקורת.



פולמוסל - מוצר תמיסת מי מלח היפרטוניים חדש

יתרון חשוב שיש לפולמוסאל הינו הערך הגבוה של ה-pH שלו. באופן פיזיולוגי ה-pH שלנו בגוף הינו בין 7.35 ל-7.45, מעט בסיסי. ערך ה-pH של פולמוסאל הינו בדיוק 7.4, מה שמתאים מבחינה פיזיולוגית לגוף ואינו גורם לשינוי ערך זה בדרכי האוויר לאחר אינהלציה. תמיסות מי מלח היפרטוניות רגילות כגון מוקוקלייר הן לרוב קצת חומציות.

בנוסף לכל מה שצוין לעיל, יש לפולמוסאל אפקט ישיר של הרג פסאודומונאס ארגינוזה בשל ה-pH שלו. כפי שנראה בתמונה 3 הלקוחה ממחקר שפורסם בשנת 2014, שימוש בתמיסות בעלות pH חומצי יותר לא גרמו להרג החיידק בעוד שפולמוסאל (גרף כחול) הצליח לעשות כך.



מחקר נוסף שיצא בשנת 2016 ופורסם במגזין היוקרתי Science, תומך בממצאים האלה. המחקר הראה שמערכת ההגנה של הגוף עובדת פחות טוב בסביבה חומצית, מה שמאפשר לחיידקים לצמוח ללא תגובה ראויה של הגוף.

לסיכום, אינהלציות מי מלח הינן חלק אינטגרלי וחשוב מהטיפול היומיומי של חולי CF, שימוש בתמיסה בעלת ריכוז גבוה של 7% עם ערך גבה (pH) של 7.4 טומנת בחובה יתרונות רבים שנסקרו בכתבה זו. לציין שהיתרונות עולים בעשרת מונים על תופעות הלוואי של הטיפול ולכן אנחנו ממליצים בפה מלא לכל חולה CF לעשות את האינהלציות הללו.

מחקר מהפכני: CF-HIT

רפואה מותאמת אישית: בדיקת אורגנואידים היכולה להוביל ישירות לקבלת תרופה

המטרה של CF-HIT היא להעריך את יעילותן ובטיחותן של ארבע תרופות אפשריות במטופלים הסובלים מ-CF וממוטציות נדירות, שנבחרו מראש על פי האורגנואידים שלהם במעבדה. במסגרת חלקו הראשון של פרויקט CF-HIT אנו שואפים לגייס 500 חולי CF בוגרים עם שתי מוטציות CFTR נדירות מכל רחבי אירופה. תילקח ביופסיה מאנשים אלה, שתשמש ליצירת אורגנואידים. צפו בסרט כדי לראות כיצד נוטלים ביופסיה רקטלית. זה אולי נשמע קצת בעיתי... אבל **הבדיקה קלה, מהירה ואינה כואבת!!!**

https://player.vimeo.com/video/249936556

We take some tissue from	This tissue is cultured in the	The result is an organoid	On this organoid we test	And we bring the correct
לוקחים דגימת רקמה מהמעי	יוצרים תרבית מהרקמה במעבדה	מתקבל אורגנואיד	אנחנו בודקים את התרפות על גבי האורגנואיד	ומגישים למטופל את התרופות הנכונות

25 מטופלים ראשונים כבר משתתפים ב-CF-HIT

בניסוי נכללו עד כה 25 אנשים מחמש מדינות: 13 מהולנד, 8 מצ'כיה, שניים מישראל, אחד מאוסטריה ואחד מגרמניה. בנוסף, הצוות בבלגיה השלים את ההכנות והוא כעת מוכן להרשמת מטופלים. כעת ניתן לרשום מטופלים ל-CF-HIT בשש מדינות (מסומנות בירוק במפה). אנחנו צופים ש-23 בתי חולים נוספים בפורטוגל, ספרד, צרפת, בריטניה, איטליה, שבדיה, פולין, דנמרק ושווייץ (הצבועות בכתום במפה) יתחילו לגייס מטופלים בחודשים הבאים.

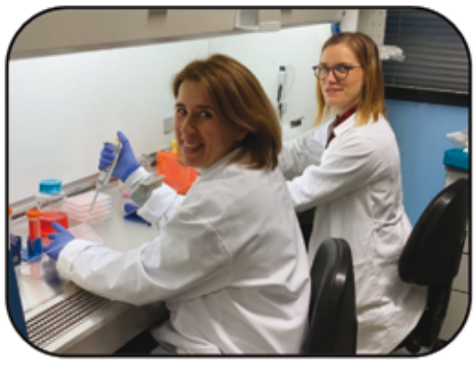
במחקר HIT-CF משתתפות 4 חברות תרופות שאת החומרים שלהם בודקים על האורגנואידים: Flatley Discovery Lab, Proteostasis Therapeutics, Galapagos ו- Eloxx Pharmaceuticals

שימו לב, חברת ELOXX מפתחת תרופה למוטציות STOP.

חלק מהחולים שהאורגנואידים שלהם יגיבו יקבלו את התרופה לה הגיבו.

משום שהתרופות העתידיות של חברות אלה מבקשות לשפר את התפקוד של CFTR בדרכים חדשות, **אנשים בעלי מוטציות CFTR מסוימות שבעבר לא יכלו להשתתף במחקר יכולים להצטרף כעת.** אנא עיינו בקריטריונים העדכניים להשתתפות במחקר:

https://www.hitcf.org/for-patients



המעבדות שלנו החלו לבצע בדיקות לתרופות העתידיות באורגנואידים הראשונים שכבר התקבלו

במהלך השנה האחרונה, טכנאי המעבדות שלנו באוטרכט, ליובן וליסבון עמלו על יצירת האורגנואידים. כעת הם השלימו בהצלחה את השלב הזה בניסוי. האורגנואידים שגודלו מרקמת המעי של המטופלים הראשונים שנכללו במחקר נשלחו לשלוש המעבדות שלנו. שם החלו טכנאי המעבדות שלנו בבדיקת התרופות העתידיות על גבי האורגנואידים.

שוקלים להשתתף במחקר, CF-HIT?

דברו עם רופא ה- CF שלכם או הרימו טלפון לאיגוד.

מידע נוסף באתר הפרויקט: https://www.hitcf.org/

פרידה מאסתר בכרך יעקבי

אסתר הצטרפה לאיגוד בתפקיד הנשיאה לפני כעשר שנים. במסגרת פעילותה היא הפיצה את פעילותנו ברבים וגייסה תרומות רבות לאיגוד. היא לא הסתפקה רק בזה, ואף הקימה שתי תערוכות (את אחת מהן אף אירחה בביתה) לגיוס כספים לאיגוד.

היא יצרה קשר עם איגוד ה-CF האמריקאי ואף השיגה מימון להשתתפות של אורי ענבר כנציג שלנו בכנס האמריקאי.

אסתר, אדריכלית פנים, אשר זכתה לעצב בתי שגרירים ברחבי העולם, הייתה רעייתו של גד יעקבי ז"ל, שהיה חבר כנסת, שר התחבורה ושגריר ישראל באו"ם.

תודה לך אסתר
על שנים של עשייה עבורנו.

להלן דברי הפרידה שנשאה אסתר בכנס המשפחות.

ידידות וידידים יקרים, מטופלים, בני משפחותיהם, מטפלים וצוות ההנהלה של הארגון הישראלי לציסטיק פיברוזיס.

מזה עשור אני משמשת נשיאת האיגוד. הצטרפתי אליכם בשעתו בהכרה שהמלאכה הנעשית בידיכם אין כמוה לחשיבות ולהקלה על סבל אנושי. תפקידי העיקרי היה גיוס כספים לשם הטיפולים והתרופות שנעשו בהדרגה מפותחים, מתקדמים ויקרים הרבה יותר משהיו - וזאת לעומת המיעוט הזעום של העזרה הכספית הניתנת לחולי סיסטיק פיברוזיס אזרחי ישראל מידי המדינה. כמו כן השתדלתי לטפח את הקשרים בין האיגוד הישראלי לבין מקבילו האמריקאני רב העצמה.

כל זה נעשה, כמובן, בהתנדבות וללא כל תגמול חומרי. אדרבא, תרמתי לארגון את הרחווים שהרווחתי מעבודתי כאדריכלית פנים;

ביקשתי מכל אורחי ומוקירי שהוזמנו ליום ההולדת השמונים שלי לכבד אותי בכך, שמתנותיהם תופנינה בצורת צ'קים של תרומות לאיגוד. נסיעותי לאמריקה ובתוך אמריקה, שבמהלכן פעלתי בענייני האיגוד, נעשו על חשבוני הפרטי. התגמול היחידי והחשוב כל כך שקיבלתי התגלם בעזרה שיכולתי להגיש לאיגוד ובעיקר למטופליו, שמצבם הגופני והנפשי לא סר מנגד עיני.

במשך שנים לא מעטות הצלחתי להביא עזר ניכר לאירגון ולהשיג מילגות שאפשרו את נסיעותיו של יו"ר האיגוד לכינוסים מדעיים בארה"ב. פתחנו בארה"ב קרן שאפשרה לתרום לארגוננו תוך ניכוי התרומה ממס ההכנסה האמריקני. סייעתי בהעלאת האירגון הישראלי שלנו על מפת המאבק במחלת הסיסטיק פיברוזיס במערב. אולם בשנים האחרונות אני נוכחת שיעילותי פוחתת והולכת. הגיל המתקדם עושה את שלו; אבל אולי חשוב מזה, הגיל מחליש את הקשרים עם האנשים הצעירים הרבה יותר שהם כיום נותני הטון במערכת ההתרמה בישראל ובאמריקה למטרות הומאניות ומחקריות.

אני מרגישה שהגיעה העת להעביר את נשיאות האירגון לאיש או אשה צעירים ממני בהרבה, נמרצים ובעלי קשרים חברתיים וכלכליים עם בני דורם. משום כך אני פורשת מן הנשיאות של הארגון היקר ללבי מאוד, בהרגשה שסייעתי לו כמיטב יכולתי והוא, מצידו, העניק לי תחושת שליחות וקירבה לבני אדם יקרים. לעולם אשאר ידידתכם ואשמח בהצלחתכם.

מכל הלב: אסתר בכרך יעקב

41819 | CF | דפוס | מגזין - לנשום חופשי אביב 2019 / גודל רוחב 21*29.7 | 20.5.19

(CF Europe - Community Advisory Board) CAB

וועדה מייעצת מטעם אירגון הגג של עמותות ה-CF האירופאיות לחברות תרופות הפעילות בתחום - מאת ד"ר אורי ענבר

CF Europe הוא ארגון הגג של עמותות ה-CF האירופאיות. בשנים האחרונות הוא מארגן יותר ויותר פעילויות. כחלק מהאסטרטגיה שלנו כעמותה, אנו מבקשים לפעול בשיתוף פעולה עם גורמים נוספים הפועלים בתחום, ובהתאם אנחנו זוכים לשיתוף פעולה עם עמותות CF אירופאיות אחרות ובמיוחד במסגרת עמותת הגג - CF Europe.

אחת הפעילויות החשובות של האיגוד האירופי היא הקמה של CAB – Community Advisory Board. ה- CAB מורכב מחולי CF והורים מכל רחבי אירופה, שאיתם יכולות חברות תרופות הפועלות בתחום ה-CF להתייעץ. חברי ה- CAB זוכים להנחיה של נציג מארגון חולים כלל אירופאי בשם Eurordis המיומן בהקמה וקידום CAB עבור חולים בסדרה שונה של מחלות. ה-CAB פועל כבר כשנתיים. הועדה נפגשת באופן סדיר כל חצי שנה, עם חברת Vertex ועם עוד חברות כגון Novartis או Boehringer Ingelheim המפתחות תרופות ל-CF. במהלך הפגישות נדונים נושאים רבים הקשורים לתהליך הארוך של פיתוח תרופות והנגשתם. נדונות שאלות על דרכים שונות לביצוע ניסויים קליניים, אילו מדדים לקחת, מהו מבנה הניסוי הרצוי ועוד. נדונה השאלה של תרופות לחולים עם המוטציות הנדירות.

כמו כן, נדונים נושאים הקשורים גם בגישה לתרופות - המאבקים להכנסת התרופה לסל התרופות וכאן יש שונות רבה באירופה ובמיוחד במזרח אירופה. במובן מסוים ה-CAB היא דרך ישירה שבה החולים והמשפחות יכולים לדבר עם אנשים בכירים בחברות תרופות ולהשמיע את חוות דעתם.

בפגישת ה-CAB האחרונה זכיתי לייצג את האיגוד ולחוות את שיתוף הפעולה ביננו לבין עמותות נוספות וכמובן עם חברות התרופות במטרה להביא תרופה לכל חולה CF.

קישורים:

/https://www.cf-europe.eu
/https://www.cf-europe.eu/representation/cab
/https://www.eurordis.org

בתמונה: נציגי ה- CAB משוודיה, מולדובה, בלגיה, איטליה, הונגריה, הולנד, פינלנד ותורכיה וכן המנחה שלנו מארגון אירופאי בשם Eurordis

איגוד סיסטיק פיברוזיס בישראל
לתת מכל הנשימה
CF

בעלי תפקידים

ד"ר משה אשכנזי, יו"ר וועדת רופאים מייעצת docashkenazi@gmail.com

חברי הועד המנהל

אורי ענבר, יו"ר הועד המנהל ori_i@walla.com
אילן שופר ilanshufer@gmail.com
אסתר אסכנדרני, ועדת עזרה לפרט esteriii@gmail.com
ברוריה פלקסר, ועדת עזרה לפרט, ועדת משרדי ממשלה, ועדת שיווק דיגיטלי bflakser@gmail.com
דניאל איטליאנדר, ועדת שיווק דיגיטלי d.italiaander@gmail.com
חיים כהן haimge194@gmail.com
חן דניאל, גזבר, ועדת כספים, ועדת אירועים hddaniel81@gmail.com
ינקי שפיגל, ועדת משרדי ממשלה, ועדת ארועים yankey100@gmail.com
רבקי קליין, ועדת עזרה לפרט rivkak157@gmail.com

משקיפים: נעה טל, ניר קופרמן, מאיה אדרי, ירדן אבו חצירה כהן

רו"ח אהוד הלזינגר, ועדת ביקורת, ועדת כספים ehudhelz@gmail.com
רו"ח אלדד אופיר, ועדת ביקורת, ועדת כספים eofir@madanes.com

שעות פעילות משרד האיגוד 08:00-16:00. טלפון 03-6702323 פקס: 03-6702324

שירה זגורי, מנכ"לית shira@cff.org.il נייד: 052-5977027
ריקי מכלין, ראש השירות הסוציאלי riki.machlin@gmail.com נייד: 052-8873050
מירב מאיר, מנהלת פרויקטים merav@cff.org.il נייד: 052-7481874
ד"ר רחל פרידמן, רכזת זכויות ופיתוח שירותים סוציאליים rachelfr@clalit.org.il טלפון: 058-6090790

לתרומות: רח' קריניצי 79 רמת גן 5242311
טלפון: 03-6702323 | פקס: 03-6702324 | דוא"ל: cf@cff.org.il | אתר האיגוד: www.cff.org.il

חברי מערכת: שירה זגורי, אורי ענבר, מירב מאיר
ייעוץ רפואי: ד"ר משה אשכנזי
עיצוב וביצוע גרפי: באומן בר ריבנאי אקספרט.

בכל מקרה של פרסום רפואי יש להיוועץ ברופא המטפל.
ביטאון פנימי - לא למכירה.

באדיבות חברת Roche מובילת פרויקט "רוש מושיטה יד"
רוש מושיטה יד