

žanie gastrointestinálneho komfortu pacienti užívajú probiotiká (Tab. 2).

Rehabilitácia

Dôležitou súčasťou terapie je aj rehabilitácia pre správnu funkčnosť dýchacích ciest. Až 73 % respondentov sa rehabilitáciám venuje, z toho 46 % pacientov pravidelne a 27 % pacientov nepravidelne.

Analýza inovatívnej terapie modulátormi CFTR

Z 26 pacientov 92 % (24) respondentov užívalo kombináciu IVA/TEZ/ELX (Kaftrio) v kombinácii s IVA (Kalydeco) a 8 % (2) pacientov bolo liečených IVA/LUM (Orkambi). Z 24 respondentov liečených kombináciou IVA/TEZ/ELX a IVA 54 % (14) pacientov užívalo túto terapiu 24 mesiacov, 30 % (7) pacientov ju užívalo až 36 mesiacov a 12 % (3) pacientov menej ako 12 mesiacov. Kombináciu IVA/LUM užíval jeden pacient (4 %) 24 mesiacov a jeden pacient (4 %) 36 mesiacov (Tab. 3).

Nežiaduce účinky inovatívnej terapie

Iba 35 % (9) respondentov uvádza nežiaduce účinky, medzi ktoré najčastejšie patrila bolesť brucha a hnačky, bolesť hlavy či výskyt vyrážok (Tab. 3).

Efektívnosť inovatívnej terapie

Parameter FEV₁

Účinnosť inovatívnej terapie bola vyhodnotená prostredníctvom otázok, ktoré sa venovali hlavným parametrom, ktoré sa sledujú a vyhodnocujú počas predpísanej terapie. Týka sa to hodnoty FEV₁ (expiračný objem vzduchu za jednu sekundu), ktorá patrí medzi hlavné ukazovatele funkcie pľúc, zníženej koncentrácie chloridov v pote a zvýšenia telesnej hmotnosti. Z odpovedí respondentov vyplýva, že u všetkých (100 %) respondentov spôsobila inovatívna terapia zvýšenie parametra FEV₁ a tým zlepšila funkciu pľúc. Konkrétne hodnoty FEV₁ uviedlo iba 8 respondentov. Najväčšie zlepšenie nastalo u 2 pacientok, ktorým sa hodnota FEV₁ zvýšila o 23 %. Najmenšie zlepšenie nastalo u muža, ktorému sa hodnota zvýšila z pôvodných 76 % na 79 %. Minimálne FEV₁ pred nasadením terapie bolo 24 %,

maximálne 117 %. Po nasadení inovatívnej terapie sa minimálna hodnota FEV₁ zvýšila na 31 %, maximálna na 124 %. V priemere pred inovatívnou terapiou dosiahli hodnoty FEV₁ 61,25 % ± 30,93, ktoré pri užívaní modulátorov signifikantne vzrástli na 73,25 % ± 28,17 (Tab. 4).

Chloridy v pote

K zníženiu koncentrácie chloridov v pote došlo u 96 % (25) respondentov. Len jedna pacientka (4 %) (26 rokov) uviedla, že po troch rokoch od nastavenia na inovatívnu terapiu zaznamenala zvýšenie chloridov v pote, ale presné hodnoty neuviedla. Terapie sa jej však nezmenila z dôvodu iných pozitívnych zdravotných výsledkov, ktoré prinášajú benefit. Konkrétne hodnoty chloridov uviedlo iba šesť respondentov. Najväčší zaznamenaný pokles chloridov v pote bol až o 71 mmol/l a najmenší pokles chloridov bol len o 39 mmol/l. Priemerné hodnoty chloridov boli u pacientov na úrovni 104,58 ± 20,54 mmol/l pred ino-

vatívnu terapiou a po pravidelnom užívaní modulátorov CFTR sa signifikantne znížili v priemere na 47,66 ± 17,92 mmol/l (Tab. 4). Z toho vyplýva, že priemerne sa chloridy v pote u respondentov znížili o 54,42 %.

Hmotnosť pacientov

Neposledným faktorom je aj hmotnosť pacienta, ktorá po inovatívnej terapii vo väčšine prípadov stúpila, čo taktiež poukazuje na účinnosť a výnimočnosť tejto terapie. U 19 % (5) pacientov sa hmotnosť nezmenila, avšak 81 % (21) respondentov uviedlo zvýšenie hmotnosti. Konkrétny údaj hmotnosti uviedlo iba osem respondentov. Priemerný nárast hmotnosti bol 5,5 kg. Koeficient zvýšenia ich hmotnosti sa pohyboval od + 3 kg až do + 7 kg.

Rodičovstvo

Aj vďaka inovatívnej terapii rapídne stúpol počet tehotných CF pacientok, ktoré pred niekoľkými rokmi nad tehotenstvom ani len nepremýšľali z dôvodu rizík, ktoré toto ob-

Tab. 2. Analýza štandardnej symptomatickej terapie, N = 26

Liečivo	Počet pacientov v (%)
Alfadornáza	100 %
NaCl roztok	100 %
Expektoranciá (acetylcysteín, erdosteín)	100 %
Pankreatické enzýmy	100 %
Hepatoprotektíva (silymarín, kyselina ursodeoxycholová)	100 %
Inzulín	19 %
Pravidelné užívanie ATB tobramycín, azitromycín, kolistimetát sodný (p. o. aj inhalačne)	42 %
ATB inhalačné	31 %
■ tobramycín	31 %
■ kolistimetát sodný	28 %
ATB p. o.	
■ azitromycín	
Vitamíny (D, E, K, A), minerály (vápnik, horčík, železo, selén) a výživové doplnky (nutridrinky)	31 %

Tab. 3. Analýza inovatívnej terapie modulátormi CFTR, N = 26

Dĺžka terapie modulátormi CFTR	Výskyt nežiaducich účinkov
IVA/TEZ/ELX a IVA 36 mesiacov (30 %) 24 mesiacov (54 %) menej ako 12 mesiacov (12 %)	výskyt nežiaducich účinkov (35 %) hnačka, bolesť brucha (19 %) vyrážka (12 %) bolesť hlavy (12 %)
IVA/LUM 24 mesiacov (4 %) 36 mesiacov (4 %)	meteorizmus (8 %) upchatie prínosových dutín (4 %)

Tab. 4. Účinnosť inovatívnej terapie modulátormi CFTR

Parameter	Efektívnosť terapie	Pred inovatívnou terapiou (priemer ± SD)	Po inovatívnej terapii (priemer ± SD)
FEV ₁ (%)	zvýšenie (100 % pacientov)	61,25 ± 30,93 (N = 8)	73,25 ± 28,17** (N = 8)
Chloridy (mmol/l)	zníženie (96 % pacientov)	104,58 ± 20,54 (N = 6)	47,66 ± 17,92*** (N = 6)
Hmotnosť (kg)	zvýšenie (81 % pacientov)	55,13 ± 11,52 (N = 8)	60,75 ± 12,10**** (N = 8)

p – úroveň významnosti stanovená párovým t-testom, ****p < 0,0001, ***p = 0,001, **p < 0,01