

Što je novo u liječenju sklerodermije?

Saznanja iz Milana



HUOS
Hrvatska udruga
oboljelih od
sklerodermije



O FESCA-i i godišnjem sastanku

- FESCA – Federation of European Scleroderma Associations
- Okuplja udruge pacijenata iz cijele Europe
- Sastanak 2025. održan je u Milanu i trajao je dva dana

Ključne teme sastanka:

1. Uloga pacijent-advokata u europskom kontekstu
2. Inovativni terapijski pristupi
3. Novi zakonodavni okviri vezani uz procjenu zdravstvenih tehnologija
4. Primjena umjetne inteligencije i digitalne medicine
5. Predstavljanje inicijativa udruga članica iz cijele Europe



1. Uloga pacijent-advokata

🗣️ *Duties and Responsibilities of Patient Advocates*

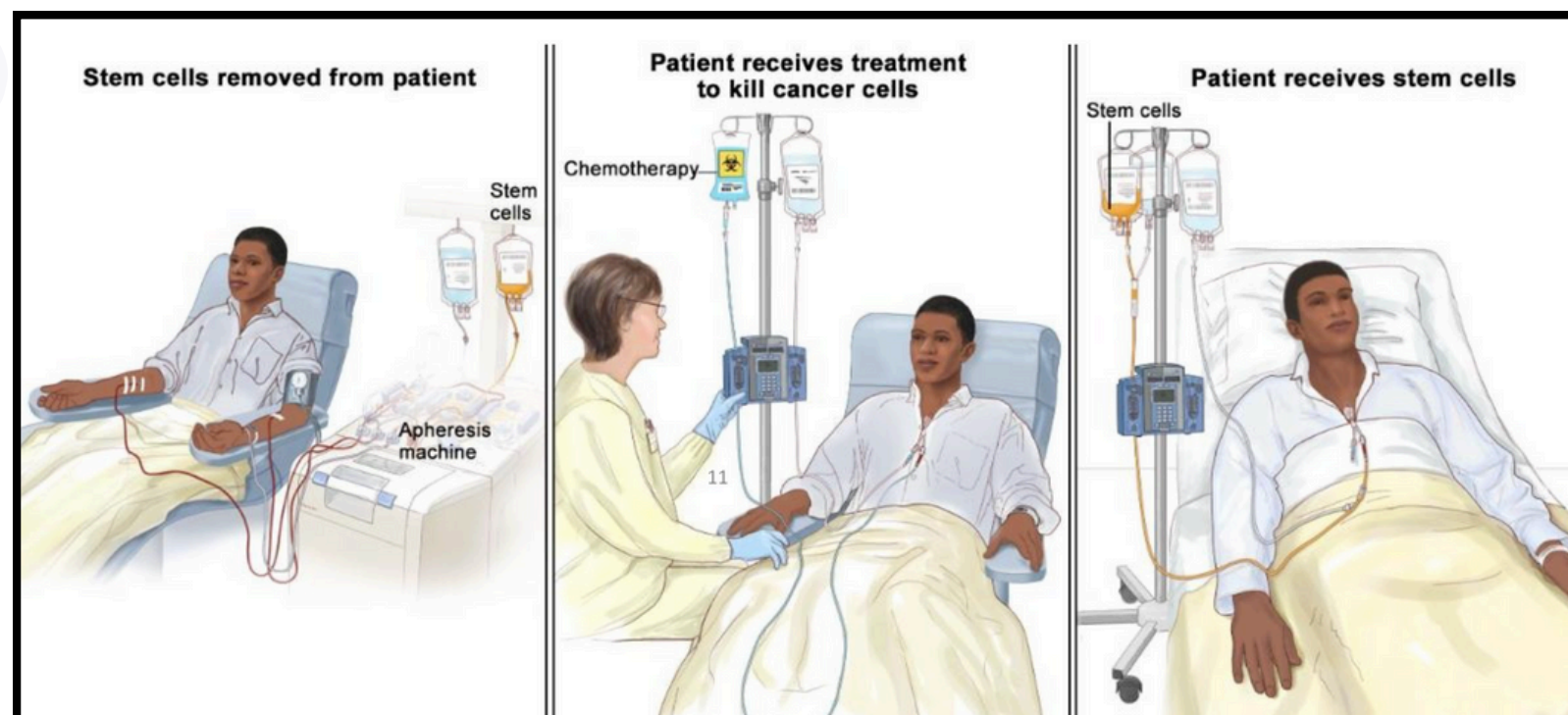
- Advocate = Glas pacijenata, most između sustava i zajednice - naši volonteri
- Etika i odgovornost u javnom nastupu
- Važnost kolektivnog glasa ("mi" umjesto "ja")
- Suradnja s liječnicima, regulatorima i farmaceutima
- Poticanje sistemskih promjena kroz dijalog, edukaciju i vidljivost

○

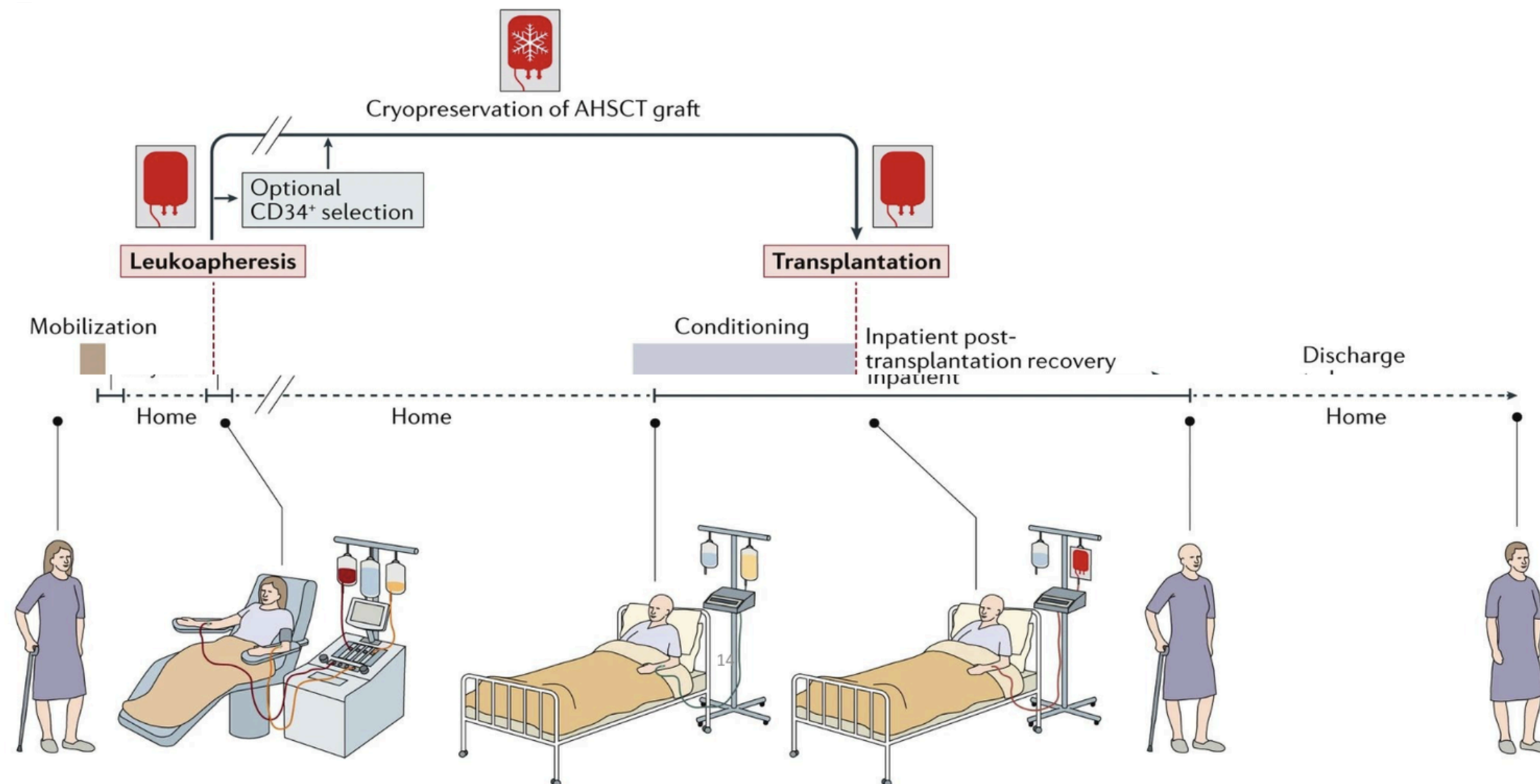


2. Inovativne terapije: Hematopoetska transplantacija matičnih stanica (HSCT)

- Dokazana učinkovitost kod progresivne i teške sistemske skleroze
- Najčešće se koristi autologna transplantacija- pacijentove vlastite zdrave matične stanice (stanice koje stvaraju krv) uzimaju se, najčešće iz krvi ili koštane srži, prije početka liječenja, a zatim se ponovno unose u pacijenta nakon završetka liječenja
- Dugoročni rezultati pokazuju poboljšanje funkcije organa i kože



Hematopoetska transplantacija matičnih stanica (HSCT) – postupak



Hematopoetska transplantacija matičnih stanica (HSCT) – nuspojave



Infekcije



Gubitak kose



Umor



Mučnina,
povraćanje



Tko može biti kandidat?

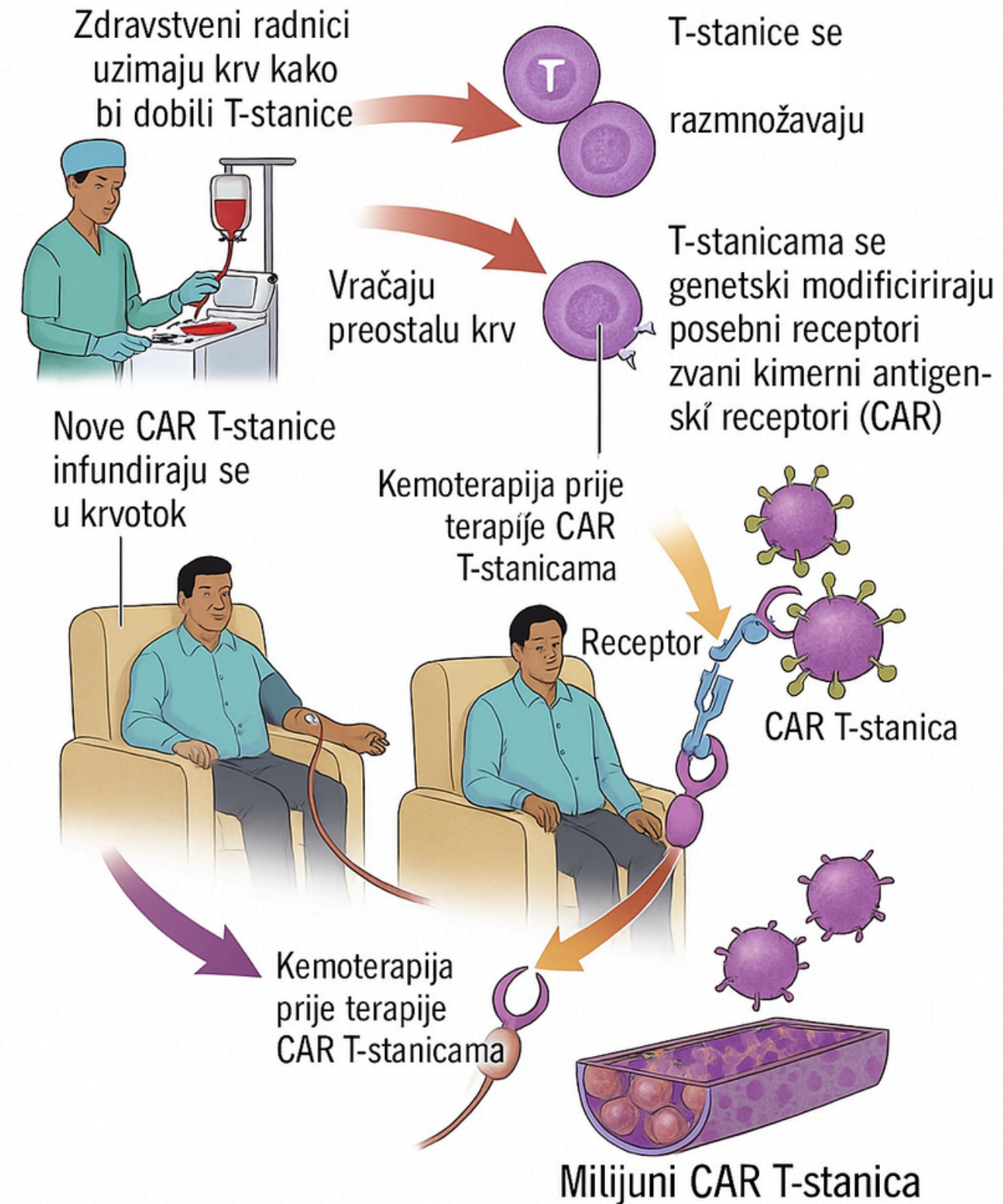
- Dob između 18 i 65 godina
- Dijagnoza SSc prema ACR-EULAR kriterijima iz 2013.
- Trajanje bolesti manje od 2 godine od početka prvih simptoma (isključujući Raynaudov fenomen)
- dcSSc podtip bolesti s mRSS > 15
- Klinički značajno zahvaćanje dišnog, bubrežnog ili srčanog sustava
- Potpisani informirani pristanak pacijenta



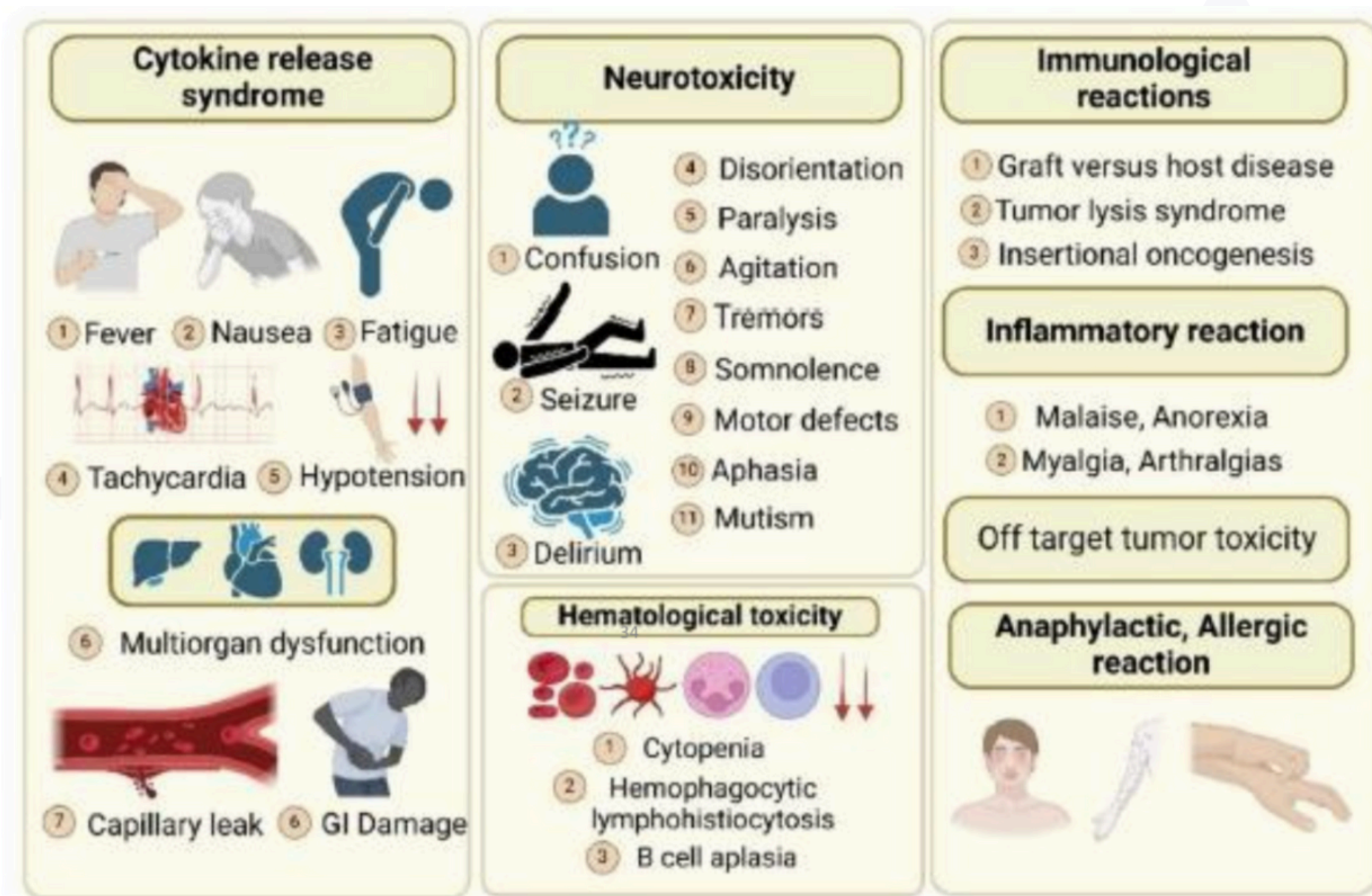
Inovativne terapije: CAR-T terapija

- Istražuje se kao nova terapija za teške slučajeve
- Genetski modificirani T-limfociti ciljaju patološke B-stanice
- Prvi rezultati obećavajući, ali još uvijek eksperimentalna faza
- Potrebno dulje praćenje i pažljivo odabiranje pacijenata

CAR T-stanice: terapija karcinoma



CAR-T terapija: nuspojave



Tko može biti kandidat?

- Muškarci i žene, dobi između 18 i 65 godina
- Dijagnoza sistemske skleroze prema ACR-EULAR kriterijima iz 2013.
- Podtip bolesti: dcSSc prema LeRoy klasifikaciji
- Početak bolesti (prvi simptomi osim Raynaudovog fenomena) unutar 5 godina prije probira
- Teški, progresivni oblik sistemske skleroze sa zahvaćanjem pluća, srca i kože
- Dokazana neučinkovitost prethodne terapije tijekom najmanje 6 mjeseci (uključujući MMF, MTX, AZA, RTX, TCZ, GCs)
- Potpisani informirani pristanak



Istraživanja na engleskom

974

EXTENDED REPORT

Autologous stem cell transplantation in the treatment of systemic sclerosis: report from the EBMT/EULAR Registry

D Farge, J Passweg, J M van Laar, Z Marjanovic, C Besenthal, J Finke, H H Peter, F C Breedveld, W E Fibbe, C Black, C Denton, I Koetter, F Locatelli, A Martini, A V N Schattenberg, F van den Hoogen, L van de Putte, F Lanza, R Arnold, P A Bacon, S Bingham, F Ciceri, B Didier, J L Diez-Martin, P Emery, W Feremans, B Hertenstein, F Hiepe, R Luosujärvi, A Leon Lara, A Marmont, A M Martinez, H Pascual Cascon, C Bocelli-Tyndall, E Gluckman, A Gratwohl, A Tyndall

.....
Ann Rheum Dis 2004;**63**:974–981. doi: 10.1136/ard.2003.011205

Autologous stem cell transplantation for progressive systemic sclerosis: a prospective non-interventional study from the European Society for Blood and Marrow Transplantation Autoimmune Disease Working Party

Joerg Henes,¹ Maria Carolina Oliveira,² Myriam Labopin,³ Manuela Badoglio,⁴ Hans Ulrich Scherer,⁵ Nicoletta Del Papa,⁶ Thomas Daikeler,⁷ Marc Schmalzing,⁸ Roland Schroers,⁹ Thierry Martin,¹⁰ Gregory Pugnet,¹¹ Belinda Simoes,¹² David Michonneau,¹³ Erik W.A. Marijt,¹⁴ Bruno Lioure,¹⁵ Jacques Olivier Bay,¹⁶ John A Snowden,¹⁷ Montserrat Rovira,¹⁸ Anne Huynh,¹⁹ Francesco Onida,²⁰ Lothar Kanz,²¹ Zora Marjanovic²² and Dominique Farge²³ for the NISSC1 members

THE LANCET Rheumatology

COMMENT · Online first, April 30, 2025

A new toxicity syndrome in patients with autoimmune disease treated with CAR T-cell therapy

Samuel D Good · Elizabeth R Volkmann 



3.HTA: Procjena zdravstvenih tehnologija

Sustavan, multidisciplinarni proces koji procjenjuje učinkovitost, sigurnost i vrijednost lijekova, uređaja i terapija

Cilj HTA

- Omogućiti informirano odlučivanje o uvođenju i financiranju terapija
- Osigurati sigurnost i učinkovitost proizvoda

Nova EU HTA regulativa (od 2025.)

- Uvodi zajedničke kliničke procjene (Joint Clinical Assessments – JCA)
- Smanjuje kašnjenja i razlike među državama članicama
- Povećava uključenost pacijenata u procese

Zašto je važno za pacijente?

- ☒ Pristup inovativnim terapijama
- ☒ Brža dostupnost lijekova
- ☒ Bolja transparentnost odluka
- ☒ Vaš glas u sustavu odlučivanja



4. Primjena umjetne inteligencije u zdravstvu

Trenutna primjena:

- Segmentacija tumora na MR slikama
- Predikcija bolesti na temelju elektroničkih zdravstvenih zapisa (EHR)
- Planiranje terapije i kliničke odluke

Izazovi

- Kvaliteta i reprezentativnost podataka
- Objašnjivost modela („black box“ problem)
- Privatnost i sigurnost zdravstvenih podataka
- Validacija i certifikacija AI rješenja

Nove tehnologije

- Federativno učenje: treniranje modela bez razmjene osjetljivih podataka između bolnica
- Generativna AI: modeli koji stvaraju nove sadržaje (tekst, slike) — etički izazovi



4. Primjena umjetne inteligencije u zdravstvu

Trenutna primjena:

- Segmentacija tumora na MR slikama
- Predikcija bolesti na temelju elektroničkih zdravstvenih zapisa (EHR)
- Planiranje terapije i kliničke odluke

Izazovi

- Kvaliteta i reprezentativnost podataka
- Objašnjivost modela („black box“ problem)
- Privatnost i sigurnost zdravstvenih podataka
- Validacija i certifikacija AI rješenja

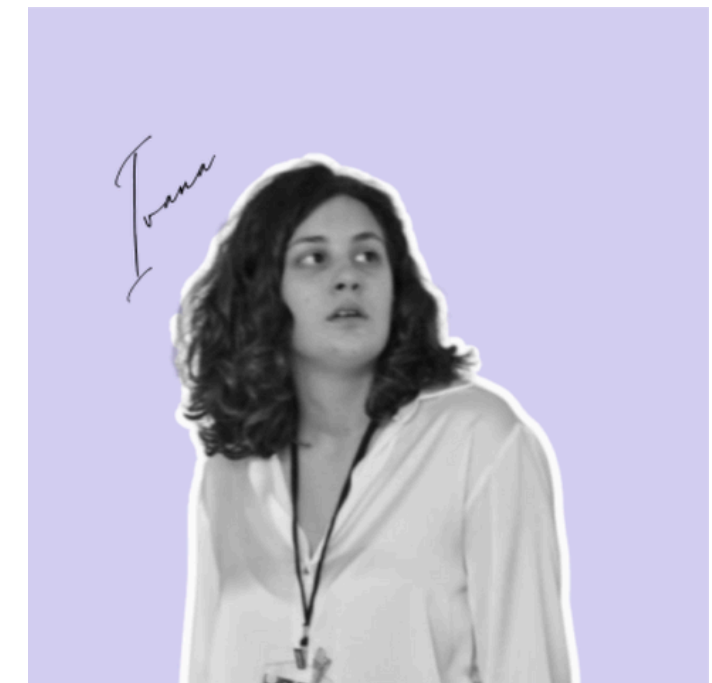
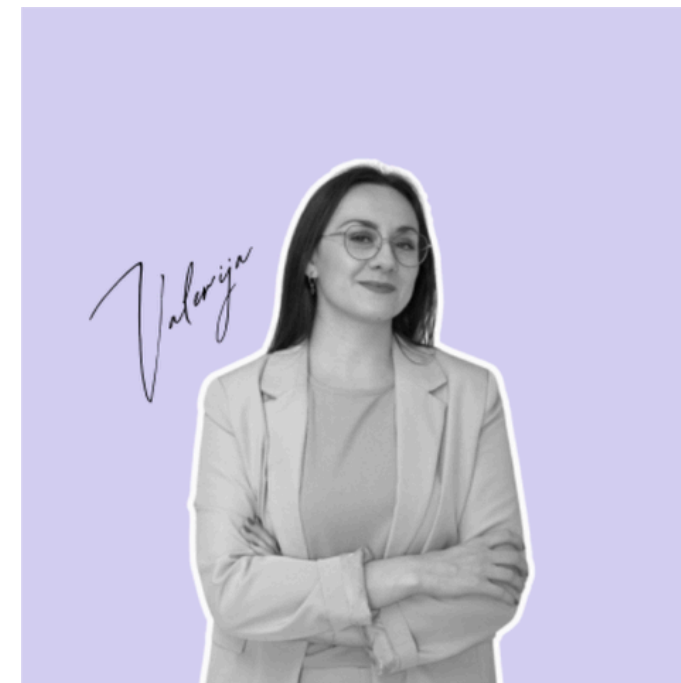
Nove tehnologije

- Federativno učenje: treniranje modela bez razmjene osjetljivih podataka između bolnica
- Generativna AI: modeli koji stvaraju nove sadržaje (tekst, slike) — etički izazovi



5. Kako se HUOS predstavio?

U ime HUOS-a predstavila sam inicijativu formiranja tima volontera koja zadnjih 10 mjeseci podržava naše aktivnosti u području komunikacije, prijevoda, edukativnog sadržaja i kampanja podizanja svijesti.



Što smo još pričali?

- materijali od FESCA-e će biti gotovi vjerojatno danas do kraja dana, te dostupni do kraja tjedna
- na novoj web stranici na kojoj radimo planiraju napraviti members portal putem kojega će sve udruge moći pristupiti banki sadržaja
- Moto ovogodišnje kampanje: See the unseen

Naši planovi za Svjetski dan sklerodermije?

