



GOŠE SKENER

Goše pacijenti u Srbiji:
Osnovni podaci, dijagnoza,
terapija i kvalitet života



UDRUŽENJE GRADJANA
ZA POMOĆ U LEČENJU
OBOLELIH OD GOŠEOVE BOLESTI

Udruženje građana za pomoć u lečenju
obolelih od Gošeove bolesti

© 2023 UGOŠ

Sva prava zadržana

01.

Uvod - 1

02.

Metodologija - 2

03.

Rezultati - 3

3.1.

Dijagnostika - 9

3.2.

Terapija - 17

3.3.

Kvalitet života - 23

3.4.

Odnos sa medicinskim osobljem - 32

3.5.

Članstvo u udruženju - 35

04.

Zaključak i preporuke - 39



Jedan od osnovnih ciljeva udruženja je da predstavlja glas pacijenata. Zbog toga je UGOŠ sproveo ispitivanje stavova i percepcije pacijenata o problemima koje se tiču Gošeove bolesti – od procesa i vremena potrebnog za dijagnozu, preko različitih opcija lečenja i uslova primanja terapije, sve do samoprocene kvaliteta života i odnosa sa medicinskim osobljem.

Do sada smo bili suočeni sa velikom fragmentiranošću osnovnih podataka o pacijentima koji žive sa Gošeovom bolešću. Naime, lekari i institucije poseduju detaljne medicinske podatke o svojim pacijentima, ali nedostaje integrisana i sveobuhvatna slika o tome kako se oni osećaju i koje probleme imaju u svakodnevnom životu. Postoje i prepreke koje se tiču poverljivosti informacija o zdravstvenom stanju i kvalitetu života. Zbog navedenog, mnogi članovi Goše zajednice nisu imali na raspolaganju ni osnovne podatke.

Očekujemo da će rezultati ankete biti od koristi svim organizacijama i institucijama koje se bave ovim pitanjima i da će poslužiti kao važan oslonac donosiocima odluka u budućnosti. Nalazi ovog istraživanja takođe će pomoći i u procesu kreiranja strategije i planiranja budućih aktivnosti Udruženja.

U nastavku će biti prikazani rezultati ankete i važni trendovi i zaključci.



Anketa je sprovedena u cilju ispitivanja percepcije Goše pacijenata i njihovih staratelja o problemima u vezi sa kvalitetom njihovog života. Pored toga, prikupljeni su i osnovni podaci o tipu bolesti, vremenu potrebnom za dijagnozu, korišćenim terapijama i sl.

Za potrebe istraživanja angažovani su konsultanti, psiholog i facilitatori. Istraživanje je nemedicinskog tipa, korišćena je kombinacija štampanog i elektronskog upitnika i struktuiranog intervjuja.

Kriterijum za učestvovanje u anketi je bio da je osoba dijagnostikovani Goše pacijent na teritoriji Srbije ili da je njen roditelj/staralac. Svi ispitanici su bili upoznati sa ciljem ankete i svi su dali dobrovoljno pristanak za učešće. Podaci su prikupljeni u periodu od 10 dana, a potom su analizirani korišćenjem statističkih metoda, uključujući deskriptivnu statistiku. Štampani upitnik popunilo je 23 ispitanika, 8 ispitanika je popunilo upitnik sa identičnim pitanjima elektronskim putem, dok su za ostale dopunjeni podaci iz dostupnih izvora Udruženja. Prosečno vreme popunjavanja upitnika bilo je oko 20 minuta. Istraživanje je sprovedeno u oktobru 2022. godine. Goše skener pruža ukupnu sliku na osnovu podataka o 43 pacijenta, koliko ih trenutno živi u Srbiji sa ovom dijagnozom.

REZULTATI



OSNOVNI PODACI

Gošeova bolest se u šifrarniku bolesti vodi kao E75.2 (druga sfingolipidoza).

Ukupno dijagnostikovano obolelih od Gošeove bolesti u Srbiji: 63

Preminulo: 11 (4 sa tipom 2, ostali su doživeli relativnu starost – sedamdesete)

Emigriralo (SAD, Italija, Austrija...): 8

Izgubljeni iz evidencije: 1

43

Broj pacijenata sa dijagnozom koji trenutno žive u Srbiji

POL ISPITANIKA / PACIJENTA

U anketi je obuhvaćeno 24 ispitanika ženskog pola i 19 ispitanika muškog.

Generalno, Gošeova bolest je podjednako zastupljena među polovima.

ŽENSKI

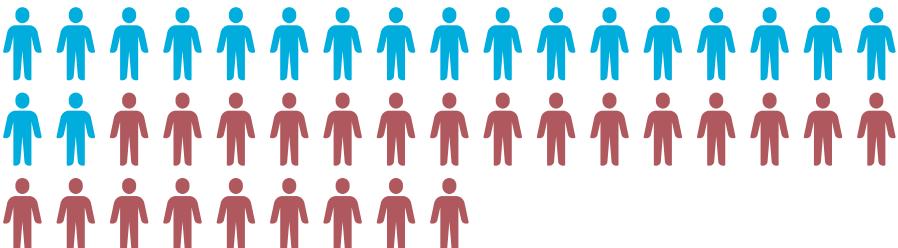
55,8%

24 pacijentkinje

MUŠKI

44,2%

19 pacijenata



KALENDARSKI UZRAST

Karakteristično je da postoji veliki raspon uzrasta - najstariji pacijent ima 89 godina, a najmlađi 3.

Uz odgovarajuću terapiju, Goše pacijenti mogu da dožive relativnu starost.

Ovo ne važi za pacijente sa tipom 2 Gošeove bolesti.

39.2

*Prosečna starost pacijenta
obolelog od Gošeove bolesti.*

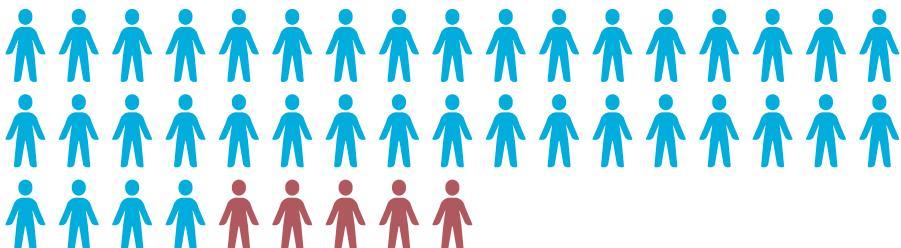
ZA KOGA POPUNJAVATE UPITNIK?

Napomena: Oni koji su popunjavali upitnik za drugu osobu (npr. za svoje dete) imali su instrukciju da odgovaraju kao da su oni ta osoba.

za dete	5
za sebe	26
treća osoba	12
total	43

TIP GOŠEOVE BOLESTI

TIP 1
88,4%
38 pacijenata



TIP 3
11.6%
5 pacijenata

Postoje 3 tipa Gošeove bolesti:

Tip 1 je neneuropatski - ne utiče na centralni nervni sistem.

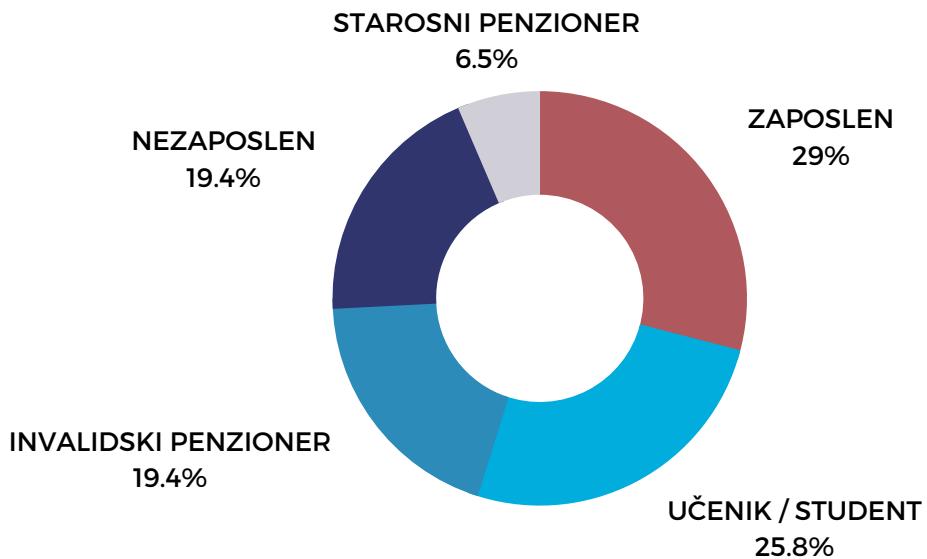
Tip 2 - utiče na CNS, tipično sa fatalnim ishodom u prvim godinama života.

Tip 3 - utiče na CNS, progresija je spora.

Tip 1 je najčešće zastupljen tip Gošeove bolesti.

RADNI STATUS PACIJENTA

Većina Goše pacijenata je sposobna da se školuje, da radi i privređuje.



DIJAGNOSTIKA



UZRAST NA KOM SU SE POJAVILI PRVI SIMPTOMI

Prvi simptomi Gošeove bolesti mogu se javiti na bilo kom uzrastu.

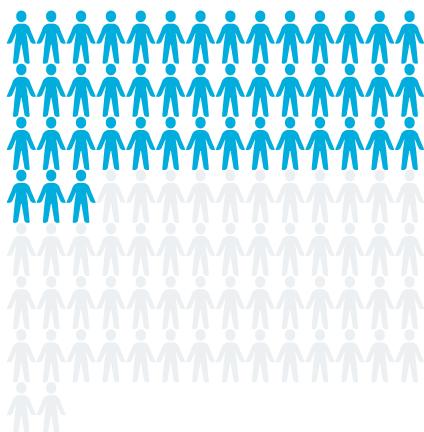
Najniži uzrast je odmah nakon rođenja, dok su se mnogim pacijentima prvi simptomi pojavili u zrelom dobu, jednom pacijentu tek u šezdesetoj godini života.

U podacima je moguće uočiti neke trendove.

Prvi simptomi se najčešćejavljaju do 5. godine života ili u pubertetu.

Od rođenja do 5. godine

45.2%



U pubertetu (11-14. god)

22.6%



PRVI SIMPTOMI

(DOZVOLJENO VIŠE ODGOVORA)

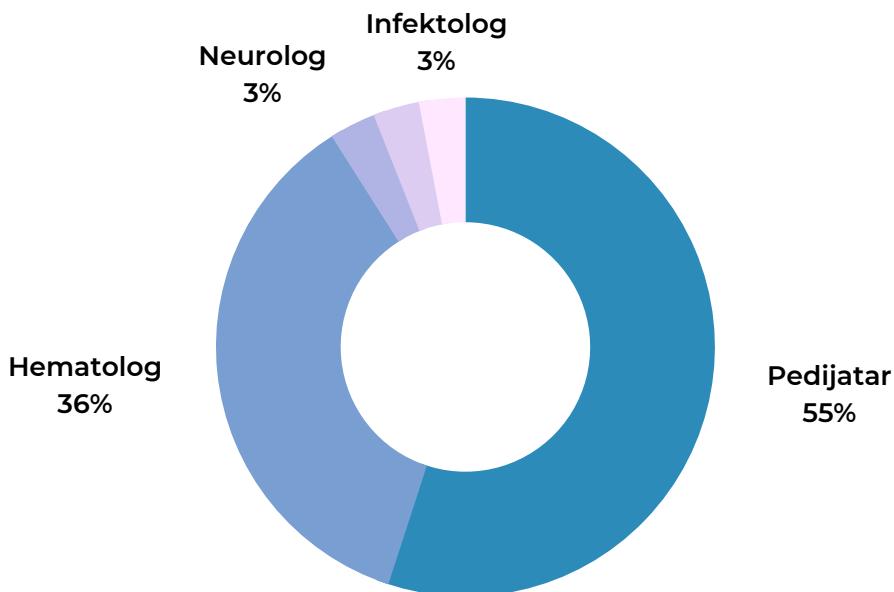
Prvi simptomi Gošeove bolesti mogu se javiti na bilo kom uzrastu.

Najmlađi uzrast je odmah nakon rođenja, dok su se mnogim pacijentima prvi simptomi pojavili u zreloj dobi, jednom pacijentu tek u šezdesetoj godini života.



PRVI SPECIJALISTA SA KOJIM JE OSTVAREN KONTAKT

Kako se prvi simptomi kod pacijenata pojavljuju češće u detinjstvu, većina obolelih se prvo obratila pedijatru, kada su primetili simptome bolesti.



DIJAGNOZA PO GODINAMA

Prva dijagnoza je postavljena 1971. Nakon toga još dve dijagnoze 1974. Uzrast pacijenta bio je 16 godina.

Dijagnozu je postavio hematolog u Kliničkom centru Srbije.

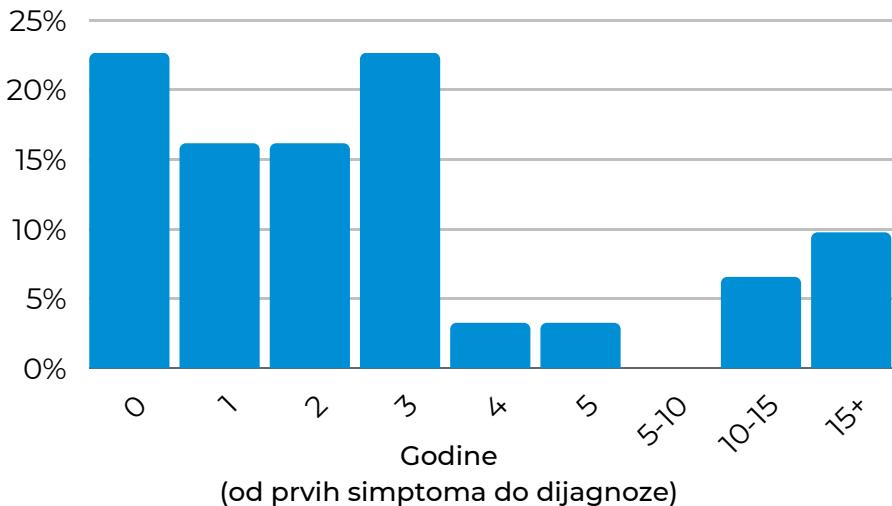
U proseku se svake godine diagnostikuje 0.9 novih pacijenata (prosek za poslednjih 20 godina) - od 0 do 3 novih pacijenata godišnje.

0.9

Prosečan broj novodijagnostikovanih pacijenata godišnje



VREME OD POJAVE SIMPTOMA DO DIJAGNOZE

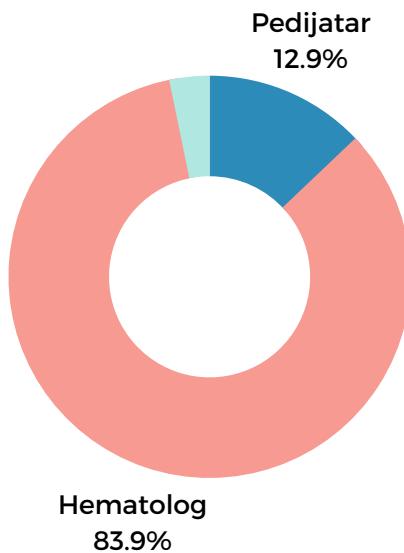


45,2%

Procenat pacijenata koji je na dijagnozu čekalo 3 ili više godine

Period traganja za tačnom dijagnozom izrazito je stresan za pacijenta i ometa normalan život cele porodice. Iako zvuči paradoksalno, postavljanje tačne dijagnoze pacijenti često doživljavaju kao olakšanje.

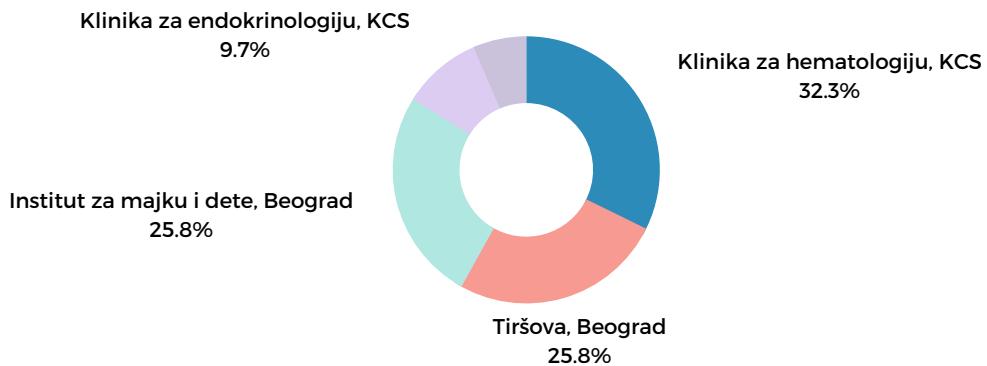
SPECIJALISTA KOJI JE POSTAVIO TAČNU DIJAGNOZU



Finalnu dijagnozu u najvećem broju slučajeva postavlja hematolog (83,4%).

Oboleli od Gošeove bolesti u Srbiji su finalnu dijagnozu dobijali na uzrastu od 0 do 61 godine. Dakle, ne postoji neki određeni uzrast na kojem je postavljana dijagnoza, što je i očekivano zbog same prirode bolesti.

USTANOVA U KOJOJ JE POSTAVLJENA DIJAGNOZA

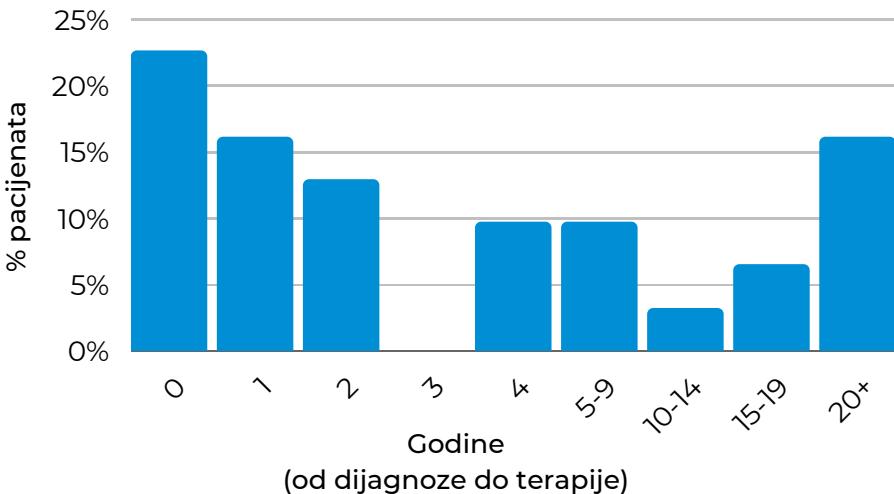


USTANOVA	% SLUČAJEVA
Klinika za hematologiju, KCS, Beograd	32.2%
Tiršova, Beograd	25.8%
Institut za majku i dete, Beograd	25.8%
Klinika za endokrinologiju, KCS, Beograd	9.7%
Klinički centar, Niš	6.5%

TERAPIJA



VREME OD DIJAGNOZE DO POČETKA TERAPIJE



7.4 godine

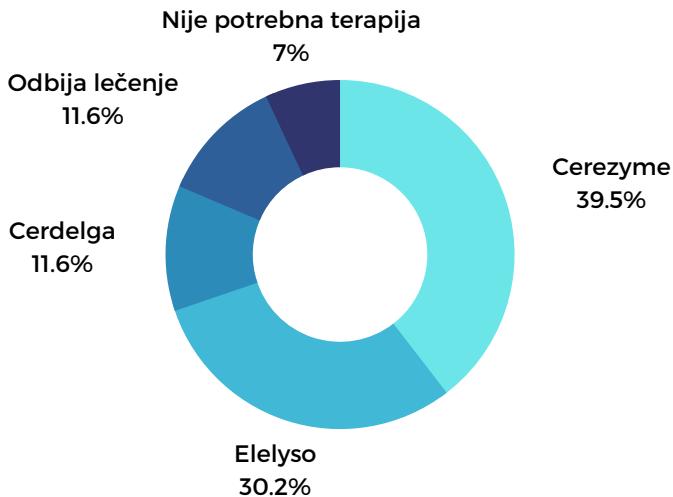
Prosečno vreme koje protekne od postavljanja dijagnoze do početka primanja terapije

Ima slučajeva (4) koji su čekali više od 25 godina na početak terapije.

Na grafikonu se jasno izdvaja tendencija - ili se na terapiju čekalo do 2 godine (51,6%), ili mnogo duže - 7 i više godina terapiju je čekalo 35,5% pacijenata.

Država obezbeđuje terapiju iz sredstava obaveznog zdravstvenog osiguranja od 2012. godine za decu i od 2016. godine za odrasle, te se čekanje na terapiju u značajnoj meri skratilo.

TERAPIJE KOJE TRENUOTNO PRIMAJU PACIJENTI

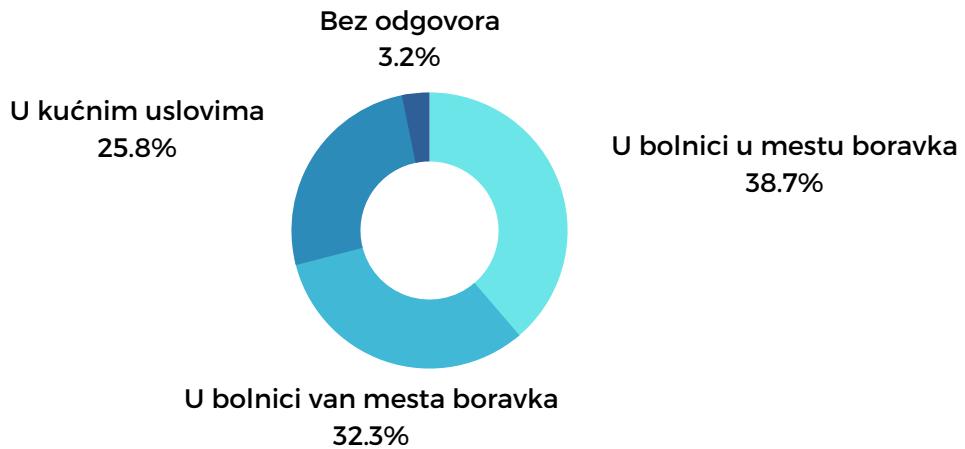


TERAPIJA	# PACIJENATA
Cerezyme	17
Elelyso	13
Cerdelga	5
Odbija lečenje	5
Nije potrebna ter.	3
Total	43

Na pitanje da li su koristili neku drugu terapiju umesto navedene, 6 pacijenata navodi da je prethodno primalo Cerezyme, a 2 pacijenta Elelyso.

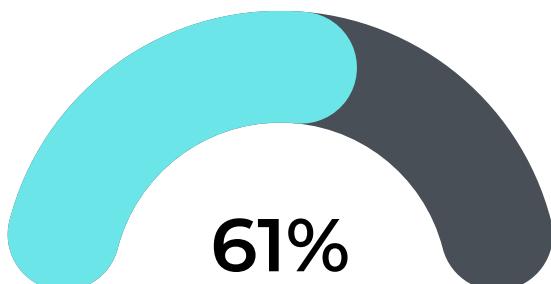
Pored navedenog, 3 pacijenta uzimaju Ambroxol.

MESTO PRIMANJA TERAPIJE



Najveći broj pacijenata terapiju prima u bolničkim uslovima (preko 70%)

DA LI BOLUJETE OD JOŠ NEKIH BOLESTI?



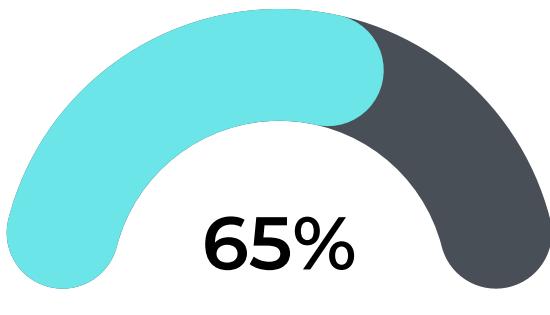
NE

Procenat pacijenata koji nema
pridružene bolesti

Ostali pacijenti navode različite probleme:

Osteroporoza
Anemija, osteopenija, miomi na materici
Prateći prelomi
Dijabetes
Autizam
Melanom
Glavobolje
Plućna hipertenzija
Hipotireoza
Karcinom jetre, hepatitis B, ciroza
Malo viši pritisak

DA LI KORISTITE JOŠ NEKE TERAPIJE?



NE
Ne koristi druge terapije, osim za
Gošeovu bolest

Ostali pacijenti navode različite dodatne kombinacije:

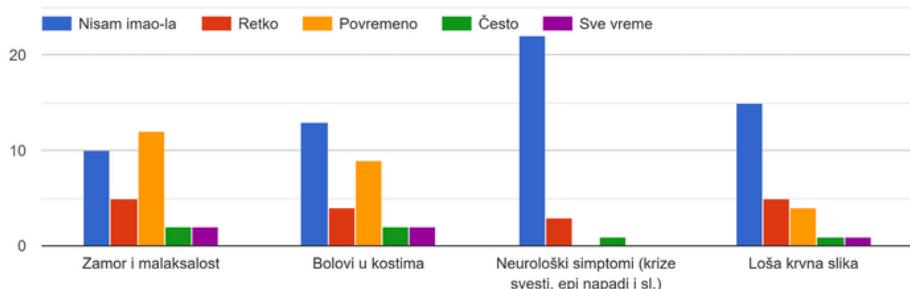
Gluformin
Propranolol, Vemlidy
Kepra, Klobazam, Ambroksol, Komidol Propanolor
Revacio tensek diuver
Tablete za migrenu
Za krize svesti lek Pegretan?
Za pritisak, Bromazepan, ponešto za kosti
Presolol, prilenap h, aminodipin
Eutirox
Prilensep

KVALITET ŽIVOTA

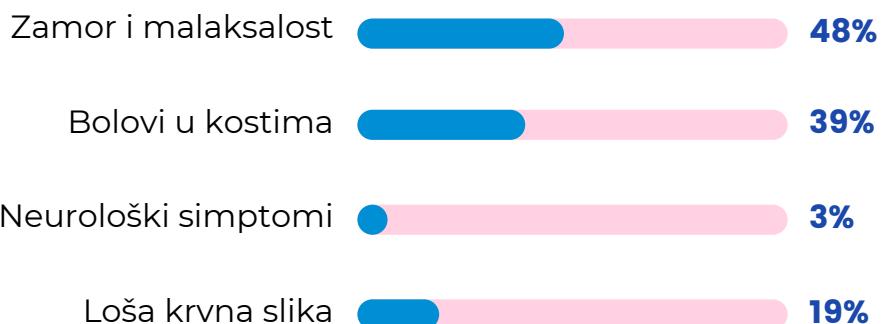


KOLIKO ČESTO STE PATILI OD NAVEDENIH SIMPTOMA?

(U POSLEDNJIH 6 MESECI)



Kada saberemo pacijente koji navode da **sve vreme**, **često** ili **povremeno** imaju pojedine simptome u poslednjih 6 meseci, dobijamo sledeću sliku:



DA LI STE IMALI NEKE OD SLEDEĆIH SIMPTOMA?

(U POSLEDNJIH 6 MESECI)

DA / NE

Trombocitopenija  13%

Uvećana jetra  23%

Uvećana slezina  19%

Uprkos činjenici da većina pacijenata uzima terapiju u kontinuiranom vremenskom periodu duži niz godina, deo njih i dalje ima simptome bolesti koji utiču na svakodnevni život. Ovo se posebno odnosi na zamor i malaksalost, koji oseća skoro polovina ljudi koji žive sa Gošeovom bolešću.

SVAKODNEVNI ŽIVOT

(OTVORENO PITANJE)

Opišite na koje sve načine Vam bolest remeti svakodnevni život, obaveze, posao, školovanje, odgajanje dece, porodične obaveze, druženje i sl?

Birokratija oko uzimanja uputa mi troši slobodno vreme ili remeti posao.

Izostanak iz škole, putovanje...

Loše uklapanje sa drugom decom zbog usporenosti, brzo zaboravljanje, sporo pakovanje, pisanje, česte emocionalne promene.

Obaveze na fakultetu, prikupljanje uputa, putovanje
Odlazak po lek i izostanak sa posla. Kada se rade pregledi na 6 meseci ili godinu dana, izostanak sa posla.
Ograničava me u svakodnevnim aktivnostima u svemu.
Osećam česte bolove u kostima koji me usporavaju u svakodnevnici.

Sada u minimanoj meri.

Samo putovanje za zbog primanja terapije.

Slaba pokretljivost.

Slabost, bolovi u kostima.

Zamaram se, imam česte bolove u stomaku, glavobolje to mi samim tim otežava život.

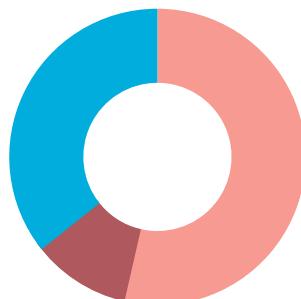
Zbog anemije zamor me usporava u obavljanju dnevnih obaveza, zbog bolova u kostima loše spavam pa dodatno mi otežava dnevne aktivnosti a zbog mioma imam vrlo česta krvarenja sa odlivima koji su neprijatni.

SVAKODNEVNI ŽIVOT

Koliko Vas sadašnje zdravstveno stanje ograničava u svakodnevnim aktivnostima?

Odlazak u školu, na fakultet ili posao

Ne, nema ograničenja
35.7%

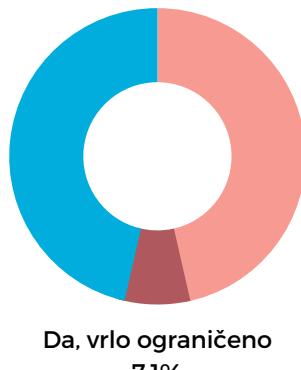


Da, pomalo ograničeno
53.6%

Da, vrlo ograničeno
10.7%

Obavljanje kućnih poslova

Ne, nema ograničenja
46.4%



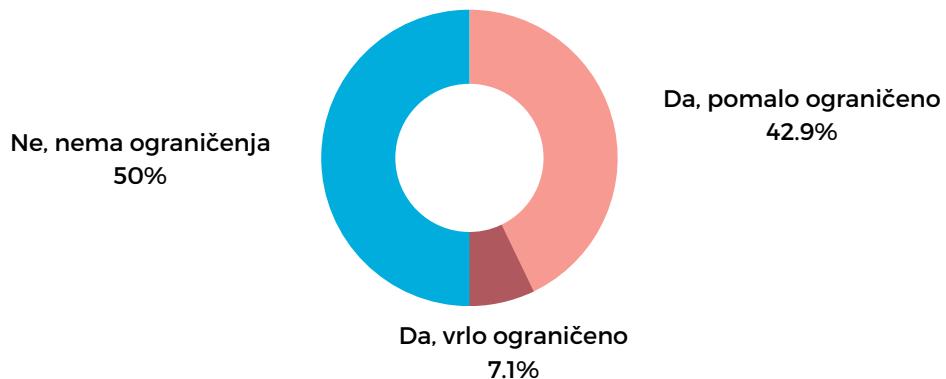
Da, pomalo ograničeno
46.4%

Da, vrlo ograničeno
7.1%

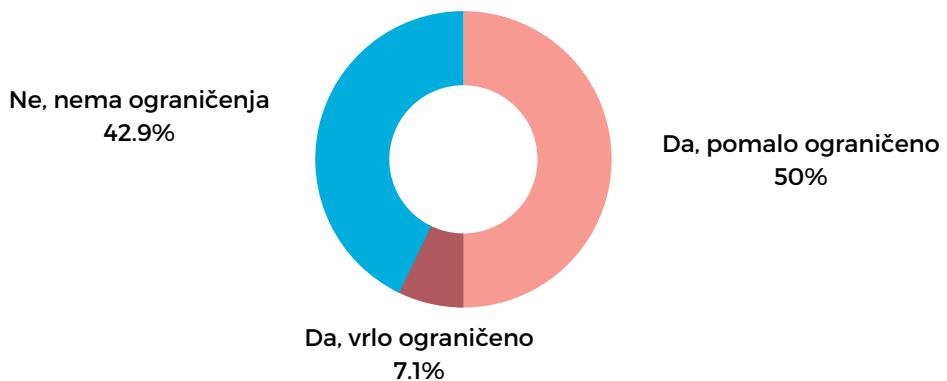
SVAKODNEVNI ŽIVOT

Koliko Vas sadašnje zdravstveno stanje ograničava u svakodnevnim aktivnostima?

Obavljanje profesionalnih aktivnosti / učenje



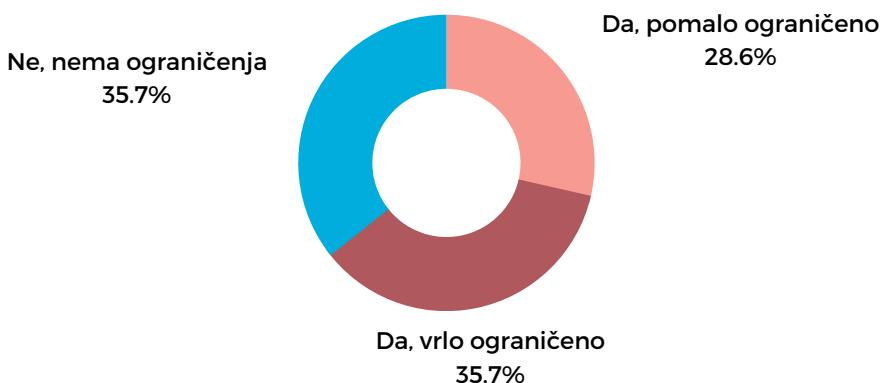
Druženje sa prijateljima i porodicom



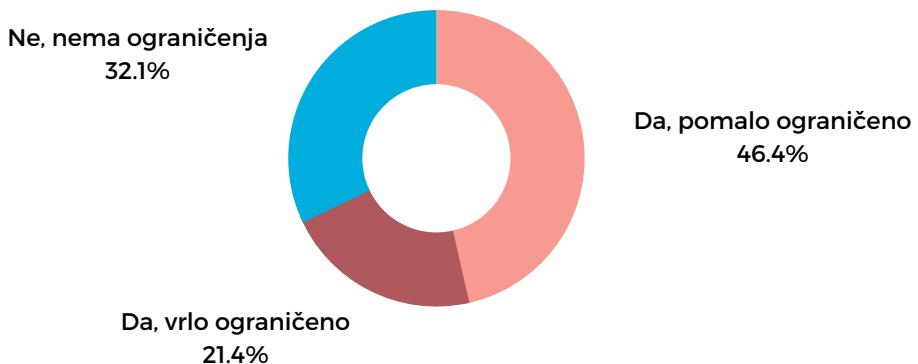
SVAKODNEVNI ŽIVOT

Koliko Vas sadašnje zdravstveno stanje ograničava u svakodnevnim aktivnostima?

Bavljenje sportom i rekreacija



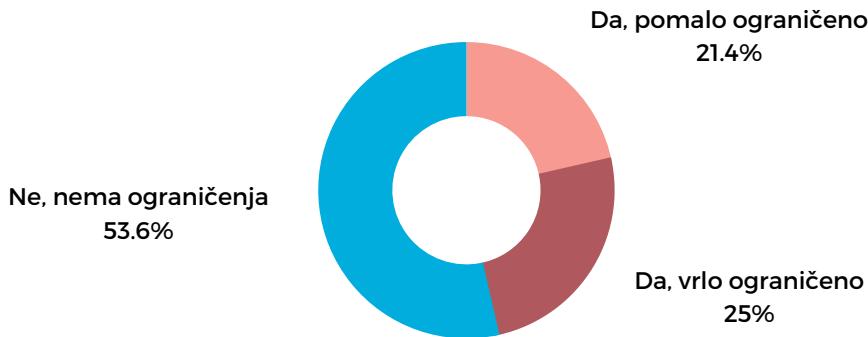
Putovanja i odmor



SVAKODNEVNI ŽIVOT

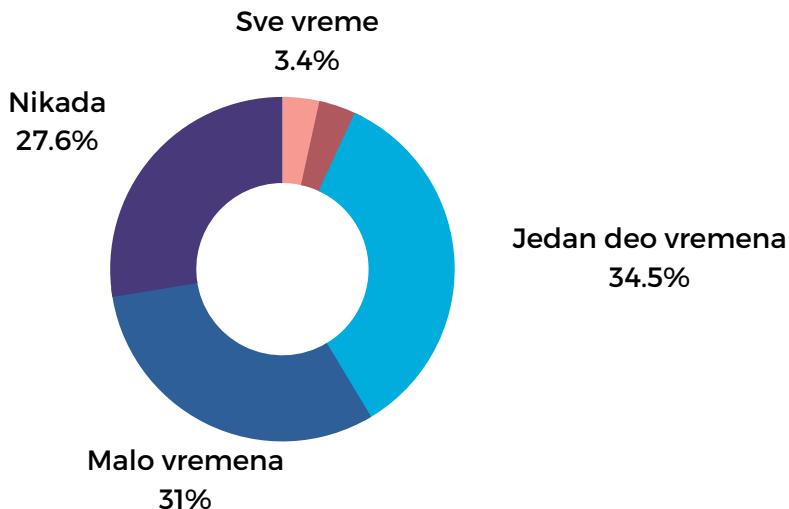
Koliko Vas sadašnje zdravstveno stanje ograničava u svakodnevnim aktivnostima?

Odlazak u redovnu nabavku



EMOCIONALNA NELAGODA

Da li zbog svoje bolesti osećate emocionalnu nelagodu?



38.7%

*Procenat pacijenata koji sve vreme,
veći deo vremena ili deo vremena
oseća emocionalnu nelagodu*

ODNOS SA MEDICINSKIM OSOBLJEM



ODNOS SA MEDICINSKIM OSOBLJEM

Može se zaključiti da su svi pacijenti zadovoljni odnosom sa medicinskim osobljem - 61.3% ispitanika navodi da je u **potpunosti zadovoljno**, a preostalih 38.7% da je **uglavnom zadovoljno**.

61,3%

Pacijenti koji navode da su u potpunosti zadovoljni odnosom sa medicinskim osobljem

Da li biste želeli da se nešto u tom odnosu promeni, i ako da, šta?

Na ovo pitanje 26% pacijenata navodi različite predloge:

Banjsko lečenje

Da se poštuje zakazan termin za pregled.

PREDLOZI ZA UNAPREĐENJE

Najveći broj predloga odnosi se na efikasniju i jednostavniju dostavu terapije.

Birokratija oko dokumentacije.

Uzimanje uputa je veoma zamorno.

Da se pojednostavi dobijanja leka, tačnije da lek bude dostupan u gradu u kom živim.

Da terapiju primam u svom mestu.

Da lek dobijamo za duži vremenski period, da ne bi svakog meseca uzimali upute, slali upute i preuzimali lek u Beogradu svakog meseca. Eventualno da se sa venske terapije pređe na tablete.

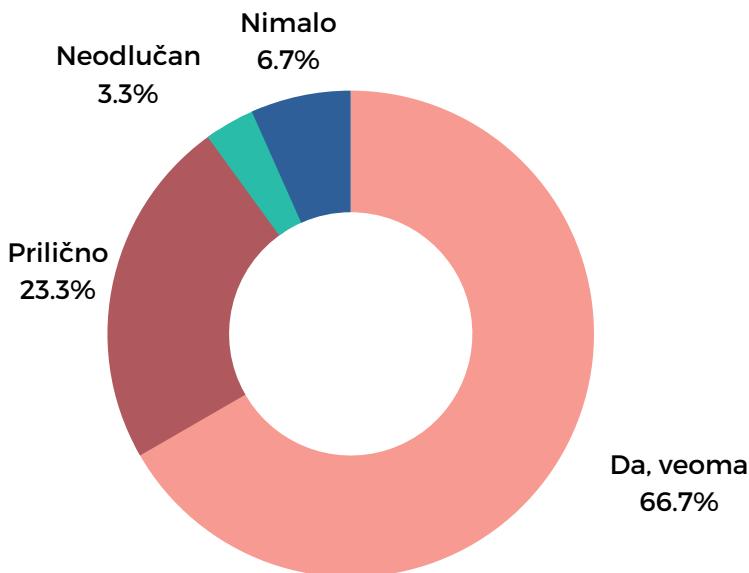
Dostava leka u mesto boravka!

ČLANSTVO U UDRUŽENJU



ČLANSTVO U UDRUŽENJU

Da li Vam pomaže članstvo u udruženju?



AKTIVNOSTI UDRUŽENJA

Koje aktivnosti Udruženja su Vam od koristi?

(dozvoljeno više odgovora)



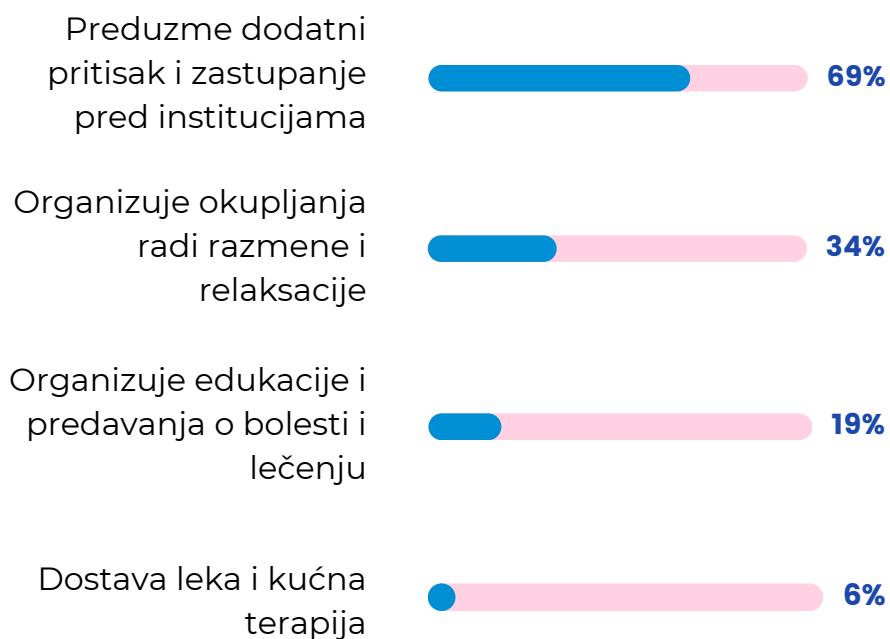
90% onih koji su odgovorili na upitnik je zadovoljno aktivnostima i podrškom koju dobijaju od Udruženja i ističu upravo razmenu informacija i međusobnu podršku kao najvažnije elemente.

Većina očekuje od Udruženja pomoć u zastupanju pred institucijama i organizovanju predavanja.

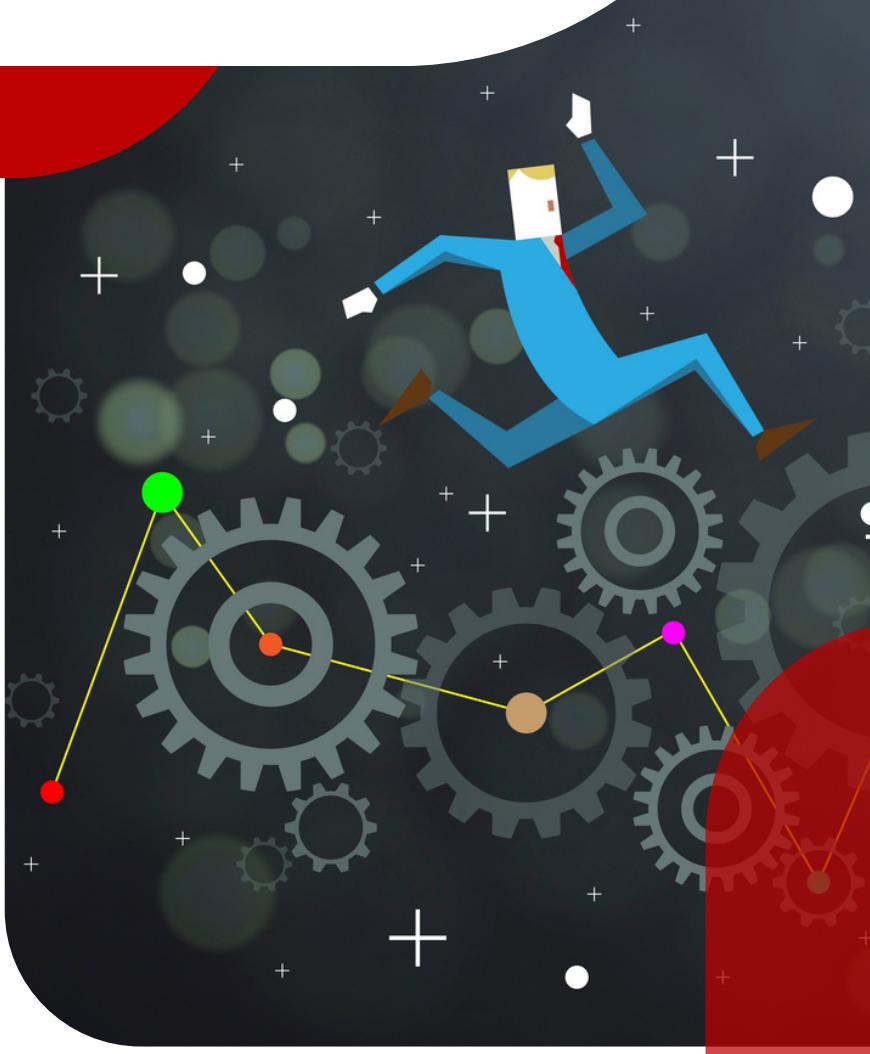
AKTIVNOSTI U NAREDNOM PERIODU

Šta biste voleli da udruženje preduzme u narednom periodu?

(dozvoljeno više odgovora)



ZAKLJUČAK & PREPORUKE



ŠTA DALJE?

Prezentovano istraživanje sugireše niz zaključaka kojima će se Udruženje rukovoditi u planiranju aktivnosti narednom periodu.

01

Ubrzati dijagnostiku

Skratiti vreme koje protekne od pojave prvih simptoma do adekvatne dijagnoze. 45% pacijenata u Srbiji čekalo je 3 ili više godina! To je izuzetno stresan period, kako za pacijenta tako i za čitavu porodicu.

02

Usmerena komunikacija sa pedijatrima

Podaci pokazuju da je u najvećem broju slučajeva (55%) pedijatar specijalista sa kojim se ostvaruje prvi kontakt zbog simptoma, dok konačnu dijagnozu u 84% slučajeva postavlja hematolog.

03

Skratiti čekanje na početak terapije

Skratiti vreme od dijagnoze do početka primanja terapije. Ovaj period u proseku traje 7.4 godine! U tom periodu dolazi do degradacije zdravstvenog stanja i kvaliteta života iako postoji odgovarajuća terapija. Ovo vreme je skraćeno jer se terapija obezbeđuje iz sredstava RFZO, ali i dalje prolaze meseci do tendera i odobravanja lečenja novodijagnostikovanim pacijentima.

04

Olakšati proces preuzimanja i primanja terapije

32.3% pacijenta redovno putuje van mesta boravka zbog primanja terapije. Pored toga, i oni koji primaju terapiju u kućnim uslovima (25.8%) moraju svakog meseca da putuju zbog preuzimanja terapije. Više od 70% pacijenata prima terapiju u bolničkim uslovima.

05

Uskladiti obaveze sa trenutnim stanjem

48% pacijenata oseća zamor i malaksalost, a 39% bolove u kostima (sve vreme, često ili povremeno). Ovi problemi otežavaju svakodnevne obaveze, što je potrebno uzeti u obzir prilikom organizacije života i postavljanja zahteva.

06

Najčešće ograničene aktivnosti

Pacijenti navode da najviše poteškoća imaju u obavljanju sledećih aktivnosti (pomalo ili vrlo ograničeno): Putovanja i odmor, rekreacija, odlazak u školu ili na posao, druženje sa prijateljima i porodicom. Navedene aktivnosti u velikoj meri mogu uticati na emocionalno blagostanje i kvalitet života.

07

Obezbediti psihološku podršku

38.7% pacijenata oseća emocionalnu nelagodu zbog svoje bolesti (sve vreme, veći deo vremena ili deo vremena). Udruženje će u narednom periodu pružiti podršku u vidu psiholoških radionica svima kojima je potrebna, posebno imajući u vidu da su mnogi članovi već pokazali zainteresovanost.

08

Negovati dobar odnos sa medicinskim osobljem

Pacijenti su zadovoljni odnosom sa medicinskim osobljem. Najveći broj predloga koji bi eventualno unapredili stanje odnosi se na efikasniju dostavu i preuzimanje terapije.

09

Članstvo u Udruženju

90% pacijenata navodi da im članstvo u Udruženju prilično ili veoma pomaže, pre svega zbog okupljanja radi razmene informacija i međusobne podrške i razumevanja.

10

Očekivanja od Udruženja

Najveći broj članova bi voleo da Udruženje u narednom periodu preduzme dodatni pritisak i zastupanje pred institucijama.

Nastavićemo da se borimo da svi ljudi koji žive sa Gošeovom bolešću u Srbiji imaju adekvatnu terapiju u preporučenoj dozi, najbolju moguću negu i kvalitet života.



UDRUŽENJE GRADJANA
ZA POMOĆ U LEČENJU
OBOLELIH OD GOŠEOVE BOLESTI

Murska 7, 11000 Beograd, Srbija
Email: gose.srbija@gmail.com
www.gose-srbija.rs