VÝROČNÁ SPRÁVA

SLOVENSKÁ ASOCIÁCIA
CYSTICKEJ
FIBRÓZY

2017

Slovenská Asociácia Cystickej Fibrózy

Poslanie združenia:

"Zvyšovať kvalitu života jedincov s CF a ich rodinných príslušníkov"

Predseda:	**MUDr. Katarína Štěpánková**
Revízor:	**Ing. Pavol Fabian**
Adresa:	Park Angelinum 2 040 01 KOŠICE
IČO:	4500 7853
Účet:	IBAN: **SK40 3100 0000 0043 5029 6102** Prima banka, a.s.
Registrácia:	MV SR dňa 7. 12. 2006 č. VVS/1-900/90-29084 -1

www.cfasociacia.sk

FB: SlovenskáAsociáciaCystickejFibrózy

I. ZDRAVOTNÍCKY PROGRAM

1. Európska CF konferencia, Sevilla

7. – 10. júna 2017 sa predsedkyňa CF Asociácie zúčastnila Európskej CF konferencie v Seville, kde medzi najdôležitejšie stretnutie patrilo to so zástupcami firmy Vertex o dostupnosti klinických štúdií a liekov ORKAMBI a KALYDECO pre CF pacientov na Slovensku.

2. Nové terapie pre CF

18. júla 2017 firma **Vertex** informovala o pozitívnych výsledkoch 1. a 2. fázy štúdií liečiva pre pacientov, ktorí majú jednu F508del mutáciu a jednu minimálne fungujúcu mutáciu (**F508del/Min).**

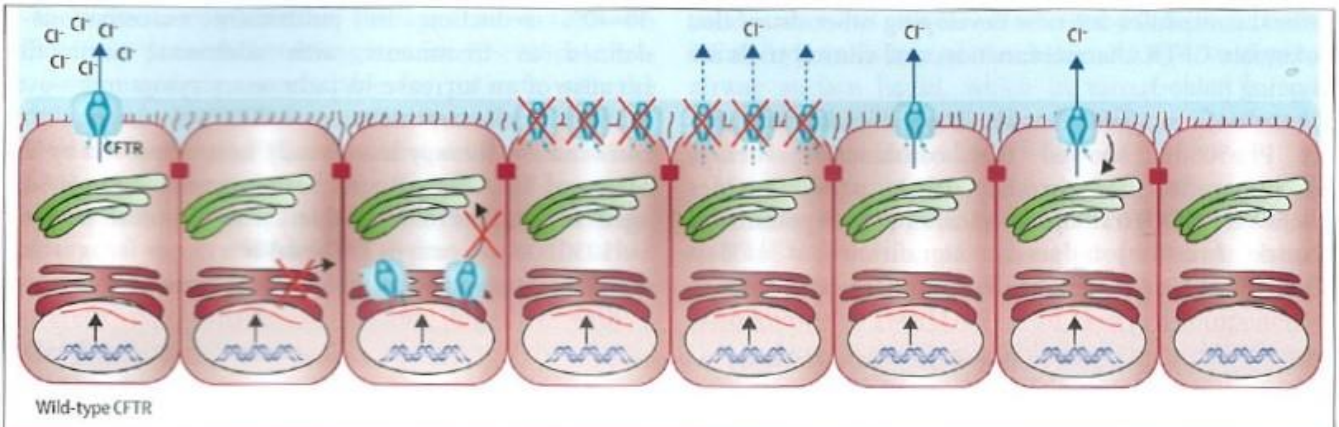
Liek **KALYDECO** je určený na mutáciu **G551D** a niekoľko ďalších mutácií **III. triedy - G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N, S549R, R117H.** Ide prevažne o tzv. keltské mutácie, ktoré sa v SR vyskytujú veľmi zriedkavo.
Liek **ORKAMBI** bol v roku **2016 schválený agentúrou EMA** pre pacientov s dvoma mutáciami **F508del/F508del**, ktorá patrí medzi mutácie **II. Triedy,** a ktorí majú viac ako 12 rokov. Žiaľ, stále nie je na Slovensku dostupný.

V Európe neustále prebieha diskusia o finančnej náročnosti kauzálnej liečby CF a jej rôznej dostupnosti pre CF pacientov v rôznych krajinách EU a non-EU. Veľkú úlohu v tomto procese zohrávajú jednak kvalitne pripravené epidemiologické dáta o pacientoch - register, ako aj aktivita a profesionalita pacientskych organizácií pre CF a nevyhnutná spolupráca s odborníkmi, lekármi CF Centier. V rámci **CF Europe** sa vytvorila **pracovná skupina „PO group on access to care and medicines“**, ktorá sa aktívne zaoberá dostupnosťou nových terapií pre CF pacientov v krajinách EÚ. Predsedkyňa CF Asociácie je členkou tejto pracovnej skupiny.

HIT – CYSTIC FIBROSIS, www.HITCF.org

Je projekt, ktorý získal grant z Programu EU Horizon 2020 na výskum a inovácie s číslom No 755021 v sume 6.7 M€ na

medzinárodnú spoluprácu vedcov, lekárov, pharma spoločností a pacientov.
Cieľom projektu je vyvinúť "**personalizovanú liečbu"** pre CF pacientov s veľmi zriedkavým genetickým profilom v Európe. Títo pacienti s extrémne zriedkavými génovými mutáciami by sa pravdepodobne nikdy nedostali k možnej život-zachraňujúcej liečbe.
Po preukázaní tejto koncepcie sa táto metodológia môže rozšíriť na všetkých pacientov s CF ako aj s inými zriedkavými genetickými chorobami, takže HIT-CF bude mať vplyv na celú komunitu zriedkavých chorôb.
Dospelí s CF so zriedkavým CF genotypom, ktorí sú zaradení do ECFS Pacientskeho Registra (teda aj slovenskí) budú oslovení ich lekármi a pacientskymi organizáciami (združenými v CF Europe), aby sa zúčastnili na štúdiách v rámci tohto projektu.
V prvom rade im budú odobraté kmeňové bunky z črevnej sliznice a tie sa budú rozmnožovať do tzv. „mini guts" (nazývaných aj ***organoidy****) v laboratóriách v Holandsku (Uttrecht), v Belgicku (Leuven) a v Portugalsku (Lisboa) v rámci nadácie* ***Hubrecht Organoid Technology****.*



	Class I	Class II	Class III	Class IV	Class V	Class VI	Class VII
CFTR defect	No protein	No traffic	Impaired gating	Decreased conductance	Less protein	Less stable	No mRNA
Mutation examples	Gly542X, Trp1282X	Phe508del, Asn1303Lys, Ala561Glu	Gly551Asp, Ser549Arg, Gly1349Asp	Arg117His, Arg334Trp, Ala455Glu	Ala455Glu, 3272-26A→G, 3849+10 kg C→T	c. 120del23, rPhe508del	dele2,3(21 kb), 1717-1G→A
Corrective therapy	Rescue synthesis	Rescue traffic	Restore channel activity	Restore channel activity	Correct splicing	Promote stability	Unrescuable
Drug (approved)	Read-through compounds (no)	Correctors (yes)	Potentiators (yes)	Potentiators (no)	Antisense oligonucleotides, correctors, potentiators? (no)	Stabilisers (no)	Bypass therapies (no)

V súčasnosti sú CF mutácie, ktorých je viac ako 1 900, rozdelené do 7 tried – podľa stupňa poškodenia a zostatkovej funkcie CFTR. CF Asociácia počas celého roka viedla jednania so zástupcami firmy Vertex o možnostiach dostupnosti nových liekov pre CF pacientov na Slovensku.

3. Kurz respiračnej fyzioterapie, Košice

Kurz respiračnej fyzioterapie sa konal **24. – 25. októbra** za účasti 29 fyzioterapeutov z celého Slovenska aj z Čiech v Košiciach. Lektormi kurzu boli **Mgr. Petra Kolcunová, Hughes Gauchez a Mathilde Proffit.** Na kurze bol okrem iného predstavený nový prístroj na odhlieňovanie dýchacích ciest CF pacientov - **SIMEOX.**

4. E-flow a flutter PARI oPEP na Slovensku

Na Slovensku stále nie sú registrované základné terapeutické pomôcky pre CF pacientov inhalátor **e-Flow** a tzv. **„flutter“ PARI**

o-PEP, a teda nie sú ani preplácané zdravotným poistením, čo znamená, že pacienti si ich musia sami zaplatiť alebo zložito a často aj neúspešne žiadať ZP o výnimky.
CF Asociácia opakovane žiadala **kategorizačnú komisiu MZ SR** o zaradenie týchto základných a každodenne celoživotne používaných pomôcok do Zoznamu kategorizovaných a hradených pomôcok.

17. júla sa v Bratislave na MZ SR konal workshop s témou návrhu „Zákona č. 363/2011 Z.z. o rozsahu a podmienkach úhrady liekov, zdravotníckych pomôcok a dietetických potravín na základe verejného zdravotníctva". Na WS boli pozvaní zástupcovia pacientskych organizácií, aby mali možnosť o návrhu zákona diskutovať a predstaviť svoje pripomienky a návrhy. WS sa zúčastnila MUDr. Katarína Štěpánková a aktívne sa do veľmi živej diskusie zapájala.

5. Slovenská Aliancia Zriedkavých Chorôb – SAZCH

Vďaka podpore SAZCH sa **10. februára** v Ženeve zúčastnila MUDr. Katarína Štěpánková podujatia organizovaného pri príležitosti Dňa zriedkavých chorôb:

Rare Disease Day Event - International Policy Event
The Right to Health: The Rare Disease Perspective
„Medzinárodná politika na poli zriedkavých chorôb:
Právo na zdravie: Perspektíva zriedkavých chorôb"

V Ženeve sa spolu stretli pacienti a zástupcovia medzinárodných zdravotníckych mimovládnych organizácií, aby diskutovali o tom, ako urobiť ZCH prioritou globálneho zdravia.
Podujatie bolo iniciované pacientami a bolo organizované v spolupráci s Rare Diseases International (Svetová Aliancia pacientov so ZCH) a BLACKSWAN Foundation, švajčiarskou nadáciou pre výskum v oblasti ZCH, EURORDIS a Orphanet.

Toto podujatie bolo prvé svojho druhu a zhromaždilo medzinárodných odborníkov v oblasti verejného zdravia, ľudských práv, epidemiológie, vedeckého výskumu a pacientskej advokácie, aby diskutovali o tom, ako a prečo môžu byť zriedkavé choroby zahrnuté do globálnej zdravotnej agendy a verejného zdravotníctva. Zameriavalo sa na to, akú kľúčovú úlohu zohráva medzinárodná spolupráca pri podpore ľudí so ZCH a výskume

v tejto oblasti v súlade s duchom OSN a ich integrovaní do cieľa číslo 3 o Udržateľnom rozvoji: ***„Zabezpečiť zdravý život a podporovať pohodu pre všetkých v každom veku“.***

„Žiadna krajina nemôže tvrdiť,
že dosiahla univerzálnu zdravotnú starostlivosť,
ak nedokáže dostatočne a rovnoprávne napĺňať potreby
ľudí so zriedkavými chorobami.“

Helen Clark, admistrátorka UNDP

6. Materiálna pomoc CF Centrám na Slovensku

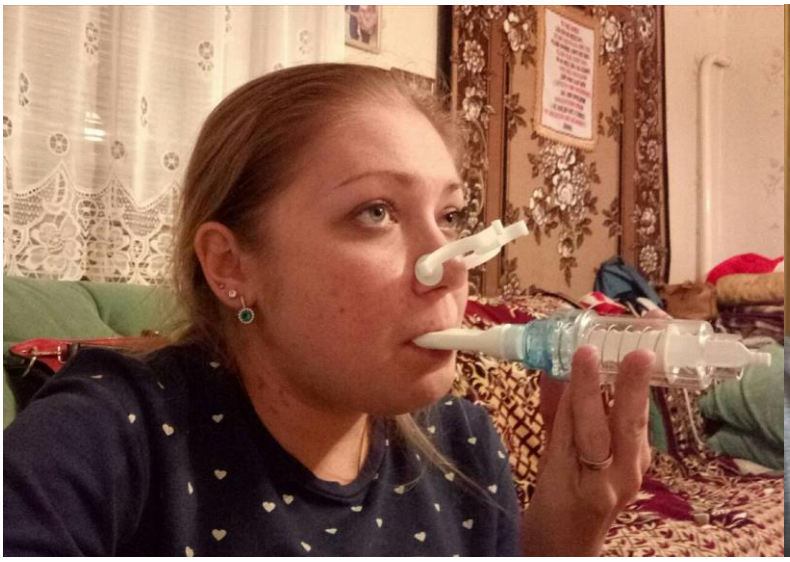
CF Asociácia darovala všetkým účastníkom Kurzu respiračnej fyzioterapie v Košiciach fyzioterapeutické pomôcky (**acapelly, tresholdy, nádychové spirometre, fluttre – shakre). Glukomery a pichátka s lancetami,** ktoré CF Asociácia získala darom od firmy BIO G, sme darovali CF pacientom a CF Centrám na Slovensku.
2 pulzné oxymetre sme darovali fyzioterapeutom, ktorí pracujú s CF v Bratislave.

II. ZAHRANIČNÝ PROGRAM – MEDZINÁRODNÉ AKTIVITY

1.UKRAJINA

Kurz: „Physiotherapie in CF patients“– Ľvov, Ukrajina

V dňoch **11. – 13. októbra** organizovala Slovenská CF Asociácia v spolupráci s Centrami CF v Ľvove v ukrajinskom meste **Ľvov** praktický kurz respiračnej fyzioterapie pre ukrajinských fyzioterapeutov ako aj pre samotných CF pacientov a ich rodičov. Na kurze bol predstavený aj nový prístroj na odhlieňovanie dýchacích ciest CF pacientov - SIMEOX.
Vďaka **darom** od firiem ARIES, BIO G a Bon Santé sme mohli ukrajinským CF pacientom, fyzioterapeutom a lekárom darovať tresholdy, PEP masku, inhalátor, glukomery a pichátka, a tiež letáky o CF v ukrajinskom jazyku.



2nd Ukrainian CF Conference – Lviv

12. – 14. októbra 2017 sa už po druhýkrát konala Ukrajinská CF konferencia opäť v meste **Ľvov**, na ktorej o dlhoročnej spolupráci a pomoci na Ukrajine hovorila predsedkyňa CF Asociácie.
Počas konferencie sa konalo aj pracovné stretnutie UA lekárov, ktorí sa starajú o CF pacientov v rôznych regiónoch, so zástupcom **ECFS Pacientskeho registra** Lutzom Naerlichom.

Obe podujatia **finančne podporila aj CF Europe,** vďaka čomu sa podujatia mohla zúčastniť MUDr. Katarína Štěpánková ako aj lektori - fyzioterapeuti Mgr. Petra Kolcunová zo Slovenska, pán Hughes Gauchez a Mathilde Proffit z Francúzska, Prof. Milan Macek a Prof. Pavel Dřevínek z Čiech.

Poľská Fundacja Pomocy Rodzinom i Chorym na Mukowiscydozę *„MATIO“* podporila toto podujatie prítomnosťou jej prezidenta pána Pawla Wojtowicza.

2. V4 CF konferencia, Wieliczka – Krakow

17. – 18. novembra 2017 sa už po druhýkrát konala v symbolickej soľnej bani vo **Wieliczke** a v **Krakowe** V4 CF konferencia. Iniciátormi a organizátormi konferencie boli už tradične poľská nadácia *„MATIO“* Fundacja Pomocy Rodzinom i Chorym na Mukowiscydozę a Slovenská CF Asociácia.

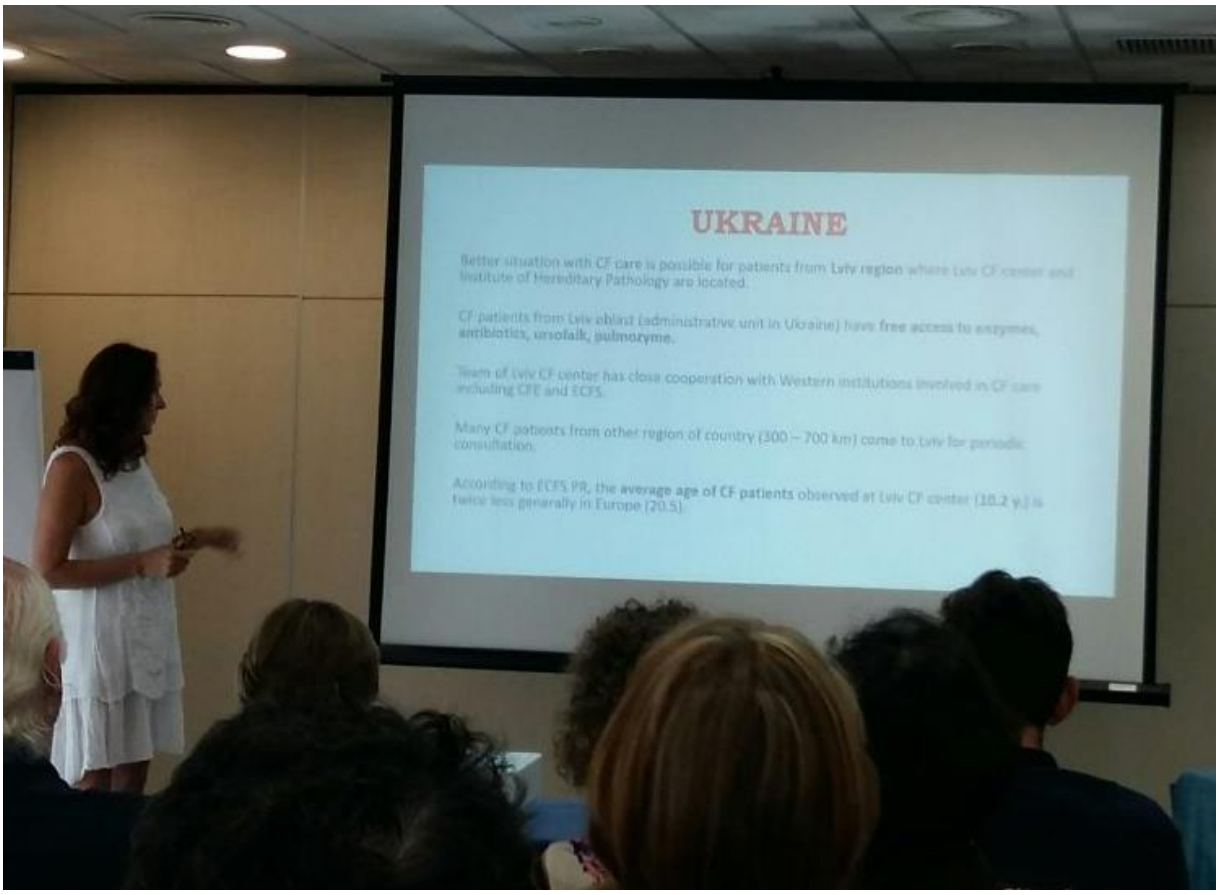
Jej hlavnou témou bola implementácia európskych štandardov starostlivosti o CF pacientov v krajinách V4 a dostupnosť nových terapií pre CF.
Podujatia sa aktívne zúčastnili zdravotnícki aj pacientski zástupcovia **krajín V4** ako aj z **Ukrajiny, Bieloruska, Litvy a Lotyšska.** Za **CF Europe**, ktorá podujatie aj finančne podporila, sa konferencie zúčastnila jej prezidentka **Jacquelien J. Noordhoek, MA MSc**. Čestným hosťom konferencie bola **Doc. MUDr. Věra Vávrová, DrSc.** z Prahy.

Hlavnými sponzormi konferencie boli CF Europe, Vertex a PhysioAssist.

3. CF Europe

6. – 7. júna 2017 sa konala v **Seville** výročná členská schôdza CF Europe, kde mala predsedkyňa CF Asociácie Katarína Štěpánková prezentáciu o už 10-ročnej spolupráci s Ukrajinou a aktivitách v tomto regióne. Spolu so zástupkyňami CF Centra v Ľvove požiadala CF Europe o finančnú podporu pre Ukrajinskú CF konferenciu a tiež pre V4 CF konferenciu v poľskom Krakowe.

V rámci CF Europe sa vytvorila **pracovná skupina „Working group on access to care and medicines“**, ktorá sa aktívne zaoberá dostupnosťou nových terapií pre CF pacientov. Jej členkou sa stala aj Katarína Štěpánková. Pracovná skupina mala **Skype meeting** 25. augusta, kde sa jej členovia dohodli na stratégii. Témou stretnutia bola dostupnosť nových terapií pre CF v Európe. Z prieskumu jasne vyplynulo, že v krajinách bývalého východného bloku sú nové lieky a veľké klinické štúdie dostupné len pacientom v Čechách.



III. PUBLIKAČNÁ ČINNOSŤ

CF Asociácia dala vytlačiť 8 ks plagátov **Slovenský CF Register 2014**, ktoré vypracoval ECFS PR, pre každé SK CF Centrum.

IV. FUNDRAISING

Vďaka asignáciám sme v roku 2017 získali sumu **2 655,75 EUR**. Firma **ARIES** darovala CF Asociácii 40 ks **tresholdov.**

13. júla sa Katarína Štěpánková a Táňa Hlivková zúčastnili **Otváracej konferencie HUSKROUA ENI CBC Programu 2014 – 2020** v Maďarskom Edelényi.

Následne sa **26. júla** konalo v **Košiciach** podujatie **Partner Search Forum,** ktoré organizoval **TESIM** (Technical support to the implementation and management of ENI CBC Programmes), ktorého sa zúčastnili Katarína Štěpánková, Táňa Hlivková a Barbora Kováčová.

30. novembra bol deadline na podanie projektu **ENI HUSKROUA.** Pôvodný projektový tím v zložení MUDr. Katarína Štěpánková, Ing. Táňa Hlivková a Ing. Renáta Kováčová v spolupráci s Barborou Kováčovou napísal a podal žiadosť o ENI

grant EÚ na projekt v spolupráci so spoločnosťou **RIMON z Kijeva** a s **Detskou nemocnicou v Ivano-Frankivsku**. Súčasťou prípravy projektu boli aj na 2 pracovné porady v Ivano-Frankivsku **28. júla** a **1. septembra.**

V. MEDIALIZÁCIA

Rádio LUMEN – redaktorka Mária Čigášová bola súčasťou tímu na porade ohľadne prípravy projektu ENI HUSKROUA v Ivano-Frankivsku, kde nahrala niekoľko rozhovorov, ktoré boli následne v rádiu odvysielané v priebehu ďalších mesiacov.

VI. FINANČNÁ SPRÁVA ZA ROK 2017

Zostatok ku 31.12.2016 - pokladňa	**15,26 €**
Zostatok ku 31.12.2016 - banka	**124,25 €**

PRÍJMY:

Členské príspevky	60,00
Dary	460,00
Asignácie	2 655,75
Registračné poplatky	1 900,00
Zmluvy o spolupráci	250,00
Úroky	0,00
Pôžička	700,00
Spolu príjem 2017	**6 025,75 €**

VÝDAVKY:

Zdravotnícky a edukačný program	2 537,22
V4 CF konferencia	476,25
Zahraničné aktivity	511,00
Fundraising	489,69
Réžia	1 618,07
Bankové poplatky	101,47
Daň z úrokov	0,00
Spolu výdaj 2017	**5 733,70 €**

Zostatok ku 31.12.2017 - pokladňa	**355,18 €**
Zostatok ku 31.12.2017 - banka	**67,38 €**

Spracovala: MUDr. Katarína Štěpánková

ĎAKUJEME

ARIES
CHIESI
Fundacyja „MATIO“
LABAŠ
MR Diagnostic
PROGRESS s r.o.
RESULT rekl. agent.,s r.o.
ROCHE Ukrajina
CF Europe
DARTIN
GRADA Slovakia s.r.o.
LIBERTA, o.z.
PhysioAssist
RIMON, UA
RESULT Production
STS KOVO, s.r.o.

BAJOVÁ Iveta
BÉREŠOVÁ Eva, MUDr.
ČABALA Stanislav, Ing.
ČIŽMÁR Miroslav
FABIAN Pavol, Ing.
FEKETEOVÁ Anna, MUDr.
FOMENKO Nadyia, M.D.
HLIVKOVÁ Táňa, Ing.
KLESA Pavol
KOKOĽUSOVÁ Zuzka a Eva
KOLCUNOVÁ Petra
KOVALKO Peter
KOVÁČOVÁ Renáta
KRÁĽOVÁ Beáta, Ing.
LINHOVÁ Eva, PhDr.
MAKUKH Halyna, M.D.
MARSZALEK Przemyslav
NAGYOVÁ Zuzana
POLLÁKOVÁ Katka
PLŠKOVÁ Eva, Ing.
REMIŠ Braňo, MUDr.
ŠTĚPÁNKOVÁ Jarmila
ŠTIBRANÝ Miloš
TAKÁČ Branko, MUDr.
TÓTHOVÁ Ľudmila
BÍZIKOVÁ Stanislava
CAPOVÁ Miriam, PhDr.
ČIGÁŠOVÁ Mária
DUNAJSKÝ Tomáš, Ing.
FEKETE Štefan, Ing.
FERENCSIK Renáta, Bc.
GAUCHEZ Hughes
HLIVKA Jaroslav, Ing.
KOČERGIN Boris, Ing.
KOKOĽUS Vlado
KOVALKOVÁ Beáta
KOVÁČOVÁ Barbora
Ing. KOVÁČ Ján, RNDr.
LIŠUCHOVÁ Eva, Ing.
MAGYAROVÁ Etela
MAMRÁK Peter
NÁGLOVÁ Imelda
PAULÍK Adam, Ing.
PLŠKO Tomáš
PROFFIT Mathilde
ŠČERBANOVSKÝ Vlado, Ing.
ŠTĚPÁNEK Michal
ŠVEKUŠOVÁ Martina, MUDr.
TOMÁŠ Samuel
WOJTOWICZ Pawel

Ďakujeme, všetkým, ktorí finančnými aj nefinančnými darmi podporujú aktivity Slovenskej CF Asociácie.

Vydala:

Slovenská Asociácia Cystickej Fibrózy (SACF)
Park Angelinum 2, 040 01 KOŠICE
www.cfasociacia.sk
Spracovala: MUDr. Katarína Štěpánková, Zuzka Kokoľusová
Počet kusov: 100

Rok vydania: 2018