

Dostępne online www.sciencedirect.com

ScienceDirect

journal homepage: www.elsevier.com/locate/pepo

Tłumaczenie/Translation
Praca pogładowa/Review

Standardy opieki Europejskiego Towarzystwa Mukowiscydozy: zarys kształtu centrum mukowiscydozy



Steven Conway^{1,*}, Ian M. Balfour-Lynn², Karleen De Rijcke³,
Pavel Drevinek^{4,5,6}, Juliet Foweraker⁷, Trudy Havermans⁸,
Harry Heijerman⁹, Louise Lannefors¹⁰, Anders Lindblad¹¹,
Milan Macek^{12,13}, Sue Madge¹⁴, Maeve Moran¹⁵, Lisa Morrison¹⁶,
Alison Morton¹⁷, Jacqueliën Noordhoek¹⁸, Dorota Sands¹⁹,
Anneke Vertommen²⁰, Daniel Peckham²¹

¹ Ośrodko Mukowiscydozy dla Dzieci i Dorosłych, Leeds Teaching Hospitals Trust, Wielka Brytania

² Szpital Royal Brompton, Sydney Street, Londyn, Wielka Brytania

³ Cystic Fibrosis Europe, Belgia

⁴ Oddział Mikrobiologii Medycznej, II Wydział Medyczny, Uniwersytet Karola, Praga, Czechy

⁵ Oddział Dziecięcy, II Wydział Medyczny, Uniwersytet Karola, Praga, Czechy

⁶ Szpital Uniwersytecki Motol, Praga, Czechy

⁷ Oddział Mikrobiologii, Szpital Papworth, NHS Foundation Trust, Papworth Everard, Cambridge, Wielka Brytania

⁸ Centrum Mukowiscydozy, Szpital Uniwersytecki Leuven, Belgia

⁹ HagaZiekenhuis, Oddział Pulmonologii i Mukowiscydozy, Haga, Holandia

¹⁰ Kopenhaskie centrum Mukowiscydozy, Rigshospitalet, Szpital Uniwersytecki, Kopenhaga, Dania

¹¹ Centrum Mukowiscydozy Gothenburg, Szpital Dziecięcy im. Królowej Sylwii, Göteborg, Szwecja

¹² Oddział Biologii i Genetyki Medycznej, Szpital Uniwersytecki Motol, Praga, Czechy

¹³ Druga Szkoła Medycyny, Uniwersytet Karola, Praga, Czechy

¹⁴ Oddział Medycyny Układu Oddechowego, Szpital Royal Brompton, Sydney Street, Londyn, Wielka Brytania

¹⁵ Krajowe centrum Pomocy dla Dorosłych z Mukowiscydozą, Oddział Farmacji, Szpital Uniwersytecki St. Vincent's, Irlandia

¹⁶ Gartnavel General Hospital, Oddział Mukowiscydozy Dorosłych Zachodniej Szkocji, Glasgow, Wielka Brytania

¹⁷ Oddział Mukowiscydozy Dorosłych, Szpital St James, Leeds, Wielka Brytania

¹⁸ Holenderska Fundacja Mukowiscydozy, Holandia

¹⁹ Zakład i Klinika Mukowiscydozy, Instytut Matki i Dziecka, Warszawa, Polska

²⁰ Centrum Mukowiscydozy, Szpital Uniwersytecki Leuven, Belgia

²¹ Oddział Mukowiscydozy Dorosłych, Szpital St James, Leeds, Wielka Brytania

Przedrukowano i przetłumaczono z Journal of Cystic Fibrosis 2014 (13) „European Cystic Fibrosis Society Standards of Care: Best Practice guidelines” s. S3-S22, Copyright 2016 za zgodą Elsevier B.V.

Reprinted and translated from Journal of Cystic Fibrosis 2014 (13) „European Cystic Fibrosis Society Standards of Care: Best Practice guidelines” pp S3-S22, Copyright 2016 with permission from Elsevier B.V.

DOI artykułu oryginalnego: <http://dx.doi.org/10.1016/j.jcf.2014.03.009>

* Adres do korespondencji:

Adres email: steven.conway@doctors.net.uk (S. Conway).

<http://dx.doi.org/10.1016/j.pepo.2016.08.018>

0031-3939/

INFORMACJE O ARTYKULE

Historia artykułu:

Dostępne online: 29.08.2016

Słowa kluczowe:

- Centrum CF
- Zespół wielodyscyplinarny
- Ciągły rozwój zawodowy

Keywords:

- CF Centre
- Multidisciplinary team
- Continuing professional development

STRESZCZENIE

Istotny wzrost oczekiwań względem życia kolejnych grup osób z mukowiscydozą (cystic fibrosis; CF) wynika ze skuteczniejszego leczenia choroby. Obecnie już powszechnie wiadomo, że wyniki leczenia znajdujących się pod opieką specjalistycznych centrów mukowiscydozy są lepsze w porównaniu z wynikami pacjentów nieobjętych taką opieką. Kluczem do skuteczności specjalistycznych centrów mukowiscydozy jest wielodyscyplinarny zespół (*multidisciplinary team*; MDT), w skład którego powinni wchodzić konsultanci, specjalista pielęgniarstwa, mikrobiolog, fizjoterapeuta, dietetyk, farmaceuta, psycholog kliniczny, pracownik socjalny, genetyk kliniczny i związani z nimi pracownicy służby zdrowia – wszyscy doświadczeni w opiece nad pacjentami z CF. Od członków MDT oczekuje się również bieżącej wiedzy dotyczącej nowych odkryć z zakresu CF, ciągłego rozwoju osobistego, uczestnictwa w konferencjach, audytach i badaniach. Specjalistyczne centra CF powinny wraz z innymi krajowymi i międzynarodowymi ośrodkami tworzyć jedną sieć oraz wpisywać swoje dane do rejestrów, co zwiększa możliwość zrozumienia choroby. Niniejszy artykuł ma na celu określenie ram specjalistycznego centrum CF, w tym organizacji centrum, oraz indywidualnych ról członków MDT, jak również naświetlenie wartości organizacji CF i rejestrów choroby.

Spis treści

1. Wstęp	S4
2. Zarys centrum dla dzieci i dorosłych	S5
2.1. Centrum	S5
2.2. Zespół wielodyscyplinarny	S6
2.3. Dostęp do innych specjalistów	S7
2.4. Infrastruktura centrum	S7
2.5. Podział pacjentów	S7
2.6. Dostęp do badań specjalistycznych	S7
2.7. Pozostałe uwagi	S7
2.8. Aspekty polityki europejskiej dotyczącej centrów CF	S7
3. Ramy opieki lekarza specjalisty	S7
3.1. Konsultant CF	S7
3.1.1. Wiedza	S8
3.1.2. Umiejętności	S8
3.2. Kierownictwo ds. klinicznych	S8
4. Ramy specjalistycznej opieki pielęgniarskiej	S8
4.1. Rola specjalisty pielęgniarstwa CF	S8
4.2. Dostępność i udogodnienia	S8
4.3. Kluczowe stopnie opieki	S9
4.3.1. Diagnostyka	S9
4.3.2. Wiek przedszkolny	S9
4.3.3. Wiek szkolny	S9
4.3.4. Młodzież	S9
4.3.5. Przejście z opieki pediatrycznej pod opiekę dla osób dorosłych	S9
4.4. Zagadnienia dotyczące dorosłych	S10
4.5. Zagadnienia dotyczące transplantacji i zakończenia życia	S10
4.6. Podstawowe kompetencje, kwalifikacje i rozwój zawodowy	S10
4.6.1. Podstawowe kompetencje	S10
4.6.2. Kwalifikacje i rozwój zawodowy	S10
5. Ramy opieki fizjoterapeutycznej	S11
5.1. Rola fizjoterapeuty specjalizującego się w dziedzinie mukowiscydozy	S11
5.2. Regularna ocena i terapia	S11
5.2.1. Terapia wziewna	S11
5.2.2. Terapia oczyszczająca drogi oddechowe	S11

5.2.3.	Ocena postawy ciała i układu mięśniowo-szkieletowego	S11
5.2.4.	Wydolność fizyczna	S11
5.2.5.	Nieinwazyjna wentylacja	S12
5.2.6.	Inne czynniki i oceny	S12
5.3.	Dostępność usługi	S12
5.4.	Rozwój zawodowy, badania i dyspozycyjność	S12
6.	Ramy opieki dietetyka	S12
6.1.	Rola specjalisty dietetyki CF	S12
6.2.	Zarządzanie kliniczne, badania i ramy jakości	S13
6.3.	Ocena dietetyczna	S13
6.3.1.	Ocena roczna	S13
6.4.	Ramy dostępności usługi	S13
6.5.	Kluczowe zagadnienia dotyczące usługi	S13
6.5.1.	Pacjenci hospitalizowani	S13
6.5.2.	Leczenie domowe	S13
6.5.3.	Pacjenci ambulatoryjni z cukrzycą związaną z CF	S13
6.5.4.	Opieka zespołowa	S13
6.5.5.	Proces przejścia	S13
7.	Ramy mikrobiologii	S14
7.1.	Rola mikrobiologa klinicznego CF	S14
7.2.	Przegląd usług laboratoryjnych	S14
7.3.	Usługi mikrobiologii klinicznej i CF MDT	S14
7.4.	Porady kliniczne dotyczące leczenia infekcji	S15
7.5.	Prewencja i kontrola infekcji	S15
7.6.	Rola w badaniach klinicznych i gromadzeniu danych	S15
8.	Ramy zarządzania lekami	S15
8.1.	Rola farmakologa klinicznego CF	S15
8.2.	Praktyka opieki farmaceutycznej dla farmakologia klinicznego CF	S16
8.2.1.	Zarządzanie receptariuszem, wytyczne kliniczne i protokoły leczenia	S16
8.2.2.	Ustalenie listy leków/zebranie wywiadu	S16
8.2.3.	Monitorowanie przepisywania leków i przegląd leków	S16
8.2.4.	Identyfikacja czynników ryzyka dla pacjenta i leku	S16
8.2.5.	Zapobieganie, wykrywanie i zgłaszanie działań niepożądanych związanych z lekiem	S16
8.2.6.	Indywidualizacja leczenia i dawkowania	S16
8.2.7.	Edukacja i poradnictwo dla pacjentów i opiekunów	S16
8.2.8.	Ocena stosowanego leku	S16
9.	Ramy opieki psychosocjalnej	S17
9.1.	Pracownik socjalny CF	S17
9.1.1.	Rola	S17
9.1.2.	Rozwój zawodowy	S18
9.2.	Psycholog kliniczny CF	S18
9.2.1.	Rola	S18
9.2.2.	Rozwój zawodowy	S18
9.3.	Możliwości i wymogi opieki psychologicznej	S18
10.	Ramy genetyki klinicznej	S18
11.	Ramy gromadzenia danych	S19
12.	Wyzwania związane z rozwojem usług medycznych w krajach o niskim dochodzie	S19
13.	Perspektywa europejskich stowarzyszeń CF	S20
13.1.	Funkcja i rola krajowych organizacji pacjentów z CF w Europie	S20
13.2.	Organizacje krajowe	S20
13.3.	Organizacje europejskie	S21
	Konflikt interesu/Conflict of interest	S21
	Podziękowania/Acknowledgement	S21
	Piśmiennictwo/References	S21

1. Wstęp

Osoby z mukowiscydozą (CF) mają złożone potrzeby wymagające specjalistycznych, medycznych i związanych z opieką

zdrowotną kompetencji. Oczekiwania dotyczące życia wzrastają w kolejnych pokoleniach pacjentów [1] w związku ze skuteczniejszym leczeniem i, co istotne, dlatego że większość pacjentów objęta jest opieką centrów CF. Równocześnie

pacjenci objęci opieką centrów CF wykazują się lepszą jakością życia i funkcją płuc w porównaniu do pacjentów nieobjętych taką opieką [2, 3]. Dlatego centra CF stanowią model opieki pacjentów z CF; pacjent powinien otrzymać ze strony centrum pełną opiekę lub powinien mieć zapewnioną opiekę w miejscu zamieszkania z nadzorem ze strony centrum [4-6].

Podstawę centrum stanowi zespół wielodyscyplinarny (MDT) w łączności z innymi specjalistycznymi ośrodkami medycznymi i chirurgicznymi, budynki i obiekty oraz sprzęt komputerowy i oprogramowanie, które razem wzięte umożliwiają MDT otoczenie pacjentów opieką na poziomie odpowiednim, by sprostać złożonym wyzwaniom medycznym tej choroby przy użyciu skutecznej diagnostyki i holistycznych programów terapeutycznych.

Członkowie MDT stanowią rdzeń centrum CF i powinni mieć możliwość ciągłego rozwoju zawodowego (*continuing professional development*; CPD), prowadzenia audytów i badań. Każda dyscyplina powinna stworzyć własne, rygorystyczne ramy, by mieć pewność, że spełnia oczekiwania pacjentów jej dotyczące. Centrum CF powinno mieć odpowiednie zasoby (np. pracownicy, sprzęt IT) oraz infrastrukturę (zabudowania szpitalne, przychodnie), by umożliwić MDT zapewnienie poziomu usług przystającego do standardów Europejskiego Towarzystwa Mukowiscydozy (*European Cystic Fibrosis Society*; ECFS) zalecanych w tym dokumencie, poprzez bezpieczne, efektywne i wysokiej jakości usługi. Wiadomo, że może to być nieosiągalne w trybie natychmiastowym w całej Europie, szczególnie w krajach o niższym PKB. Ważne, by tam, gdzie nie można spełnić tych standardów, ustanowić procedury, które umożliwią spełnienie ich w niedalekiej przyszłości, i zobowiązać zarządy szpitali do wspierania pacjentów z CF. Bez odpowiednich zasobów istnieje ryzyko, że centrum będzie sprawować nieskoordynowaną opiekę poniżej standardów. Brak jednolitości opieki nad pacjentami z CF wpłynie na wyniki pacjentów [7].

Obecnie dostęp do specjalistycznych usług CF w Europie jest niejednorodny. Kwalifikacje, wykształcenie i role różnią się w sposób istotny. Praktyka kliniczna, tam gdzie to możliwe, powinna być oparta na faktach i odzwierciedlać aktualne doniesienia z badań, wytyczne kliniczne i wytyczne z konsensusów. Specjaliści w zakresie CF powinni być odpowiednio wykształceni, wykwalifikowani i wpisani w krajowy/miejscowy rejestr medyczny oraz mieć prawo wykonywania zawodu na terenie kraju. Specjaliści powinni pracować zgodnie ze swoim kodeksem zawodowym i kompetencjami. Powinni stale poszerzać swoją wiedzę, umiejętności, skuteczność i doświadczenie poprzez ciągły, aktywny rozwój zawodowy. Istotne są: udział w jedno- i wielospecjalistycznych audytach i badaniach, badanie rynku, zewnętrzne programy oceny jakości, ocena usług, rozwój i poprawa specjalistycznych usług oraz ich dostępności. Jako że centrum CF może być jedynym w mieście lub regionie, zachęca się do rozwoju krajowych i międzynarodowych programów wspierających CPD, badanie rynku i poprawę świadczonych usług.

Kolejne rozdziały opisują zalecane przez ECFS standardy dotyczące indywidualnych specjalności w obrębie centrum CF.

2. Zarys centrum dla dzieci i dorosłych

Centra CF dla dzieci i dorosłych mają wiele cech wspólnych, dlatego zalecenia wyliczone poniżej w większości odnoszą się do obu. Jako że zdrowie dzieci i młodych dorosłych ulega poprawie, nacisk na opiekę pediatryczną stanowi prewencję przed progresją choroby. Chorobowość i niemal cała śmiertelność związana z CF przesunięta została na wiek dorosły. W opiece nad dorosłymi należy wziąć pod uwagę większe potrzeby pacjentów hospitalizowanych i częstsze występowanie wieloukładowych powikłań. Jeszcze przed przejściem z opieki pediatrycznej pod opiekę dla dorosłych ważne jest, żeby oba centra ściśle współpracowały. Regularne spotkania obu zespołów i wspólne protokoły mogą ułatwić młodemu dorosłemu proces przejścia i zminimalizować zmiany w leczeniu.

Skuteczna komunikacja między zespołami podczas tego okresu jest kluczowa dla odniesienia sukcesu. Dzieci z CF przejdą pod opiekę centrów dla dorosłych w okolicy ich 17.-19. urodzin. Dzieci i ich rodziny powinny wiedzieć, że przejdą w tym okresie pod opiekę centrum dla dorosłych. Pediatra nie jest wyszkolony lub doświadczony w radzeniu sobie z emocjonalnymi, socjalnymi lub medycznymi potrzebami dorosłego pacjenta. W populacji dorosłych, objawy tej wieloukładowej choroby (np. cukrzyca związana z CF, osteoporoza, powikłania nerkowe i wątrobowe oraz infekcje atypowe) sprawiają istotnie więcej problemów. Lekarze osób dorosłych potrafią również w lepszy sposób w pełni poinformować pacjentów o potencjalnym ryzyku ciąży i potrafią sprawować kompetentną, niepołożniczą opiekę nad ciężarną kobietą z CF.

Młoda osoba z CF i jej/jego rodzina powinni już na wczesnym etapie zostać włączeni w planowanie procesu przejścia. Wstępnie temat ten należy poruszyć w momencie zdiagnozowania CF i następnie okresowo powtarzać. Praktyczne rozmowy powinny zacząć się w okolicach 11. urodzin, w kontekście edukacyjnych, socjalnych i seksualnych aspektów dorastania z chorobą przewlekłą.

Konieczna jest ścisła współpraca zgodnie z zatwierdzonym protokołem przejścia, określić należy koordynatorów z obu zespołów. Młody dorosły i jej/jego rodzina muszą mieć możliwość nie tylko jednorazowego spotkania zespołu z centrum dla dorosłych. Optymalnie cel ten można osiągnąć w przypadku połączonych centrów z obecnością zespołu leczącego dorosłych podczas procesu przejścia. Pacjent i jego rodzina powinni mieć możliwość obejrzenia pomieszczeń przeznaczonych do leczenia dorosłych. Pisemna dokumentacja dotycząca każdego pacjenta powinna być wręczona zespołowi leczącemu dorosłych w momencie przekazania.

2.1. Centrum

Wiele wymogów pozostaje wspólnych dla ośrodków dla dorosłych i dla dzieci. Centrum CF powinno mieć odpowiednią załogę i zabudowania, by prowadzić wszechstronną opiekę i być w stanie leczyć wszystkie związane z CF powikłania [4]. Pacjenci powinni mieć nieograniczony dostęp do centrum 24 godziny na dobę. By móc legitymować się

i utrzymać odpowiedni poziom kompetencji i doświadczenia, centrum powinno mieć pod opieką minimum 100 dorosłych lub dzieci z CF. W niektórych przypadkach, związanych z położeniem geograficznym centrum lub niewielką częstością występowania choroby w populacji, pod opieką centrum może znajdować się mniej pacjentów, ale nie mniej niż 50. Centra obejmujące mniej niż 100 pacjentów powinny być połączone z większym centrum do czasu objęcia opieką większej liczby pacjentów, uzyskania doświadczenia i zasobów do świadczenia niezależnych usług.

Wszyscy pacjenci z CF powinni mieć dostęp do centrum w celu uzyskania rutynowej lub nagłej pomocy lub porady. Pacjenci powinni być badani regularnie, w zależności od ich indywidualnych potrzeb. Rutynowe wizyty w przypadku pacjentów ze stabilnym przebiegiem choroby powinny odbywać się co 2–3 miesiące w zależności od nasilenia choroby. Niemowlęta ze świeżo zdiagnozowaną chorobą powinny być badane częściej (początkowo raz w tygodniu). Wszyscy pacjenci powinni co roku przechodzić badanie, by mieć pewność, że, jako minimum, raz w roku dokonano pełnej oceny medycznej, dietetycznej, fizjoterapeutycznej i psychologicznej i że wykonano wszystkie niezbędne badania krwi. Konsultant powinien stworzyć raport i przedyskutować wyniki badań z pacjentem/jego opiekunami oraz uzgodnić z nimi plan leczenia.

2.2. Zespół wielodyscyplinarny

Za opiekę nad pacjentem powinien być odpowiedzialny rdzeń MDT złożony z wyszkolonych i doświadczonych w zakresie CF specjalistów. MDT powinien mieć odpowiednią liczbę członków w zależności od populacji pacjentów i powinien obejmować następujących specjalistów i personel pomocniczy:

- pulmonolog/pulmonolog dziecięcy;
- mikrobiolog kliniczny;
- wsparcie medyczne ze strony trenerów;
- specjalista pielęgniarstwa klinicznego;
- specjalista fizjoterapii;
- specjalista dietetyk;
- psycholog kliniczny;
- pracownik socjalny;
- farmaceuta;
- genetyk kliniczny;
- wsparcie ze strony pracowników sekretariatu;
- koordynator bazy danych.

Jasno określić należy lidera MDT oraz role i zakres odpowiedzialności wszystkich lekarzy specjalistów w zespole.

ECFS współuczestniczy w ustaleniu liczebności personelu dla centrów pediatrycznych i dla dorosłych rekomendowanej przez UK CF Trust (Tab. I i II) [6]. Liczby te mogą różnić się w zależności od organizacji służby zdrowia, czynników geograficznych i miejscowych/regionalnych różnic w usługach CF. Na przykład, liczba fizjoterapeutów może różnić się w zależności od odsetka pacjentów, którzy samodzielnie podają sobie antybiotyki dożylnie w domu.

Liczba personelu powinna odzwierciedlać stosowany model dzielonej opieki, biorąc pod uwagę czas spędzony przez personel centrum na badaniu i leczeniu pacjentów w miejscowym oddziale CF. Dodatkowo, ważną jest

Tabela I – Liczba etatów w zależności od wielkości ośrodka: pełne etaty w przypadku pacjentów pediatrycznych^a
Table I – Whole-time equivalents per clinic size: full-time paediatric patients^a

MDT	50 pacjentów	150 pacjentów	≥250 pacjentów ^b
Konsultant 1	0,5	1	1
Konsultant 2	0,3	0,5	1
Konsultant 3	-	-	0,5
Trener medyczny	0,8	1,5	2
Specjalista pielęgniarstwa	2	3	4
Fizjoterapeuta	2	3	4
Dietetyk	0,5	1	1,5
Psycholog kliniczny	0,5	1	1,5
Pracownik socjalny	0,5	1	1
Farmaceuta	0,5	1	1
Sekretarka	0,5	1	2
Koordynator bazy danych	0,4	0,8	1

^a Pacjenci z zaburzeniami związanymi z CFTR nie powinni być liczeni.

^b Jeśli pod opieką centrum znajduje się istotnie więcej niż 250 pacjentów, do zespołu wielodyscyplinarnego należy dodać konsultantów w liczbie około jeden konsultant na 100 pacjentów. Należy również zwiększyć liczbę innych specjalistów i personelu pomocniczego. Zwykle jedno centrum może mieć pod opieką ograniczoną liczbę pacjentów. Liczba ta zależy od miejsca udostępnionego centrum przez szpital i wydolności szpitala w zapewnieniu odpowiedniego personelu centrum. MDT pojedynczych centrów powinny raz w roku dokonać przeglądu liczby pacjentów i oszacować, kiedy zasoby centrum przestają wystarczać do zapewnienia opieki na zalecanym poziomie. Liczba pacjentów pediatrycznych utrzymuje się mniej więcej na stałym poziomie, ale liczba pacjentów dorosłych z roku na rok zwiększa się. Na bieżąco należy oceniać potrzebę otwarcia kolejnego centrum dla dorosłych w regionie. Zasoby należy zapewnić przed lub równocześnie z potrzebami.

Tabela II – Liczba etatów w zależności od wielkości ośrodka: pełne etaty w przypadku pacjentów dorosłych^a
Table II – Whole-time equivalents per clinic size: full-time adult patients^a

MDT	50 pacjentów	150 pacjentów	≥250 pacjentów ^b
Konsultant 1	0,5	1	1
Konsultant 2	0,3	0,5	1
Konsultant 3	-	-	0,5
Specjalista	0,5	1	1
Lekarz w trakcie specjalizacji	0,4	0,8	1
Specjalista pielęgniarstwa	2	3	5
Fizjoterapeuta	2	4	6
Dietetyk	0,5	1	2
Psycholog kliniczny	0,5	1	2
Pracownik socjalny	0,5	1	2
Farmaceuta	0,5	1	1
Sekretarka	0,5	1	2
Koordynator bazy danych	0,4	0,8	1

^a Pacjenci z zaburzeniami związanymi z CFTR nie powinni być liczeni.

^b patrz opis pod tabelą I.

dostępność odpowiedniego zabezpieczenia na wypadek urlopów wypoczynkowych, urlopów w celu kształcenia i z powodu nieprzewidzianych zdarzeń.

Wszyscy członkowie MDT muszą być zarejestrowani w odpowiednich dla nich izbach/urzędach zawodowych oraz być członkami krajowej lub międzynarodowej grupy CF.

Powinni dysponować specjalistyczną wiedzą i doświadczeniem w opiece nad dziećmi i dorosłymi z CF. Powinni stale doskonalić swoje umiejętności poprzez udział w miejscowych szkoleniach i międzynarodowych konferencjach poświęconych CF.

2.3. Dostęp do innych specjalistów

Ważne jest zapewnienie dostępu do innych specjalistów medycyny i chirurgii w razie potrzeby. Istotne specjalności medyczne i usługi obejmują:

gastroenterologię i hepatologię (z doświadczeniem w opaskowaniu żyłaków przełyku w trybie ostrym); diabetologię i endokrynologię; chirurgię laryngologiczną; chirurgię ogólną, klatki piersiowej i kardiochirurgię; anestezjologię i leczenie bólu; reumatologię; nefrologię; położnictwo i ginekologię; psychiatrię; intensywną opiekę; radiologię interwencyjną (z doświadczeniem w embolizacji tętnic oskrzelowych w trybie ostrym oraz przezskórnej gastrostomii pod kontrolą USG w trybie elektrywnym).

2.4. Infrastruktura centrum

Pomieszczenia w centrum CF muszą być dostosowane do wszystkich grup wiekowych. Muszą być odpowiednio pojemne, tak by pacjentów ambulatoryjnych można było przyjąć w trybie pilnym w każdej chwili, w ramach wizyty w centrum, do oddziału dziennego lub oddziału szpitalnego. Liczba łóżek szpitalnych powinna być na tyle duża, by pacjentów mniej pilnych można było przyjąć w ciągu 7 dni, a pilnych w ciągu 24 godzin. Personel pielęgniarski stykający się z pacjentami powinien mieć doświadczenie i wiedzę dotyczącą opieki nad pacjentami z CF. Należy również zapewnić środki i personel umożliwiające podawanie antybiotyków dożylnie w warunkach domowych pod nadzorem wyszkolonych pielęgniarek.

2.5. Podział pacjentów

Wszystkie centra CF powinny mieć jasną politykę dotyczącą prewencji i kontroli zakażeń, a pomieszczenia muszą umożliwiać właściwy podział pacjentów, by zapobiec zakażeniom krzyżowym. Pacjenci nie powinni dzielić ze sobą sal, łazienek ani toalet podczas pobytu w szpitalu ani kontaktować się ze sobą w pomieszczeniach wspólnych, takich jak centra CF, oddziały, apteka czy zakład radiologii.

2.6. Dostęp do badań specjalistycznych

W obrębie specjalistycznego centrum CF powinien istnieć łatwy dostęp do specjalistycznych badań. Oznacza to dostęp do laboratorium biochemicznego i hematologicznego w celu przeprowadzenia badań rutynowych, jak również analizy potu i pomiaru poziomu witamin rozpuszczalnych

w tłuszczach, poziomu aminoglikozydów i oznaczenia metabolizmu glukozy (w tym system ciągłego monitorowania glikemii). Laboratorium mikrobiologiczne powinno mieć możliwość przetworzenia próbek od pacjentów z CF i skutecznego wykrywania *Burkholderia spp.*, krętków niegruźliczych i infekcji grzybiczych. Dostępne powinny być również typowanie molekularne patogenów i badania immunologiczne w kierunku monitorowania alergicznej aspergilozy oskrzelowo-płucnej.

Badania fizjologiczne powinny obejmować pomiary funkcji płuc (spirometria dla pacjentów hospitalizowanych i ambulatoryjnych), pulsoksymetrię, w tym nocne pomiary O₂/CO₂, próbę wysiłkową i ocenę przeciwwskazań do lotów samolotem.

Usługi radiologiczne i medycyny nuklearnej powinny obejmować badania tomograficzne, USG wątroby, absorpcjometrię podwójnej energii promieni RTG (DXA) kości.

Dostępne powinny być również audiometria wysokich częstotliwości i bronchofibroskopia.

2.7. Pozostałe uwagi

Pomieszczenia muszą umożliwiać rodzicom/opiekunom pozostanie ze swoimi dziećmi w szpitalu, a dziecku otrzymanie odpowiedniej edukacji w czasie hospitalizacji, jeśli dziecko z powodu choroby nie może uczęszczać do szkoły.

Równocześnie z miejscem do nauki powinno istnieć miejsce do zabawy/rekreacji.

Centrum CF powinno być zobowiązane do aktywnego udziału w badaniach klinicznych i translacyjnych i zachęcać pacjentów do udziału w próbach klinicznych. Celem każdego centrum powinno być włączenie do rozrastającej się Europejskiej Sieci Klinicznej do Badań nad Mukowiscydozą (www.ecfs.eu/ctn).

2.8. Aspekty polityki europejskiej dotyczącej centrów CF

CF to rzadka choroba (to jest < 1 na 2000) i jako taka należy do domeny kilku inicjatyw polityki Unii Europejskiej (EU) z zakresu badań i opieki zdrowotnej. Centra CF, w zgodzie z wytycznymi Europejskiego Komitetu Ekspertów ds. Chorób Rzadkich dotyczących Ośrodków Chorób Rzadkich, mogą działać w ramach nowo utworzonej europejskiej sieci referencyjnej chorób rzadkich. Jako choroba rzadka, CF ma specjalny status (Art. 54) w Transgranicznej Dyrektywie umożliwiającej wymianę kompetencji i ostatecznie pacjentów, tym samym odnoszącej się do dysproporcji w opiece.

Rozwój opieki Centrów CF w państwach członkowskich EU jest wspierany przez Zalecenia Rady Europejskiej dotyczące działań na polu chorób rzadkich (EC 2009/C 151/02). Wprowadzenie sierocych produktów leczniczych do leczenia CF również podlega takim inicjatywom politycznym.

3. Ramy opieki lekarza specjalisty

3.1. Konsultant CF

Konsultant pracujący w specjalistycznym centrum powinien przejść odpowiednie, akredytowane szkolenie w opiece nad

pediatrycznymi lub dorosłymi pacjentami z CF, zwykle w ramach specjalizacji z pulmonologii. Wiedzę i umiejętności, którymi powinien dysponować konsultant, wyszczególniono poniżej [8].

3.1.1. Wiedza

Konsultant CF powinien dysponować wiedzą z zakresu epidemiologii i patofizjologii CF oraz etiologii płucnych i pozapłucnych objawów i powikłań CF, w tym masywnego krwotoku z dróg oddechowych, odmy, niewydolności oddechowej, chorób przewodu pokarmowego, cukrzycy, problemów z płodnością i ciąży (opieka nad dorosłymi) oraz problemów psychosocjalnych. Konsultant powinien być zaznajomiony z istotnymi, wymaganymi badaniami, w tym badaniami mikrobiologicznymi, obrazowaniem nieinwazyjnym, takim jak RTG klatki piersiowej, tomografia komputerowa. Konsultant powinien znać także farmakologię wziewnych, doustnych i systemowych leków przepisywanych pacjentom, a także różne ćwiczenia zalecane przez fizjoterapeutów. Powinien monitorować potrzeby żywieniowe indywidualnych pacjentów, a w razie potrzeby założyć sondę do żywienia jelitowego.

Konsultant CF powinien również znać wskazania do przeszczepienia płuc i mieć doświadczenie w rozmowach na temat opcji terapeutycznych z pacjentem i jego opiekunami.

3.1.2. Umiejętności

Konsultant CF powinien umieć przełożyć tę wiedzę na leczenie płucnych i pozapłucnych objawów i powikłań choroby. Powinien umieć też interpretować wyniki badań mikrobiologicznych płwociny i oceniać stan czynnościowy pacjentów. Powinien mieć również dobre umiejętności komunikacyjne, by mógł edukować pacjentów i ich opiekunów na temat przebiegu choroby.

Plan pracy konsultanta powinien pozwalać na poświęcenie odpowiedniej ilości czasu na pacjentów z CF, zadania kliniczne i obowiązki menadżerskie. Musi pozwalać również na ciągły rozwój zawodowy z zakresu CF, w tym udział w krajowych i międzynarodowych spotkaniach dotyczących chorób układu oddechowego/CF. Aby na bieżąco uzupełniać wiedzę z zakresu leczenia i aktualnych badań, konsultant powinien co najmniej 50% czasu pracy poświęcić na zagadnienia dotyczące CF.

3.2. Kierownictwo ds. klinicznych

Dyrektor specjalistycznego centrum CF zazwyczaj jest równocześnie kierownikiem ds. klinicznych – oczekuje się od niego kierowania zespołem MDT. Powinien być łącznikiem między ekspertami klinicznymi a leczeniem szpitalnym.

Kierownik kliniczny/dyrektor centrum powinien zarządzać zespołem i upewniać się, że: spełnione są oczekiwania zespołu dotyczące rozwoju zawodowego i odpowiedniego wsparcia; dostępne są możliwości udziału w krajowych i międzynarodowych konferencjach CF; zachęca się do prowadzenia badań.

Dyrektor powinien upewnić się również, że podejście zespołu jest prawidłowe i że wszyscy członkowie MDT mają możliwość omówienia swoich obserwacji i opinii dotyczących leczenia pacjentów.

Ważne jest, by dyrektor rozumiał ramy finansowe opieki zdrowotnej kraju tak, by rozwinąć i utrzymać wsparcie finansowe dla leczenia CF. Dyrektor powinien kierować rekrutacją personelu, by uzyskać liczbę pracowników wskazaną w standardach opieki. Powinien dopilnować, aby spotkania MDT odbywały się raz w tygodniu, by wyniki centrum podlegały audytom, które następnie będą udostępniane zwrotnie członkom MDT w celu poprawy standardów opieki.

By osiągnąć to ostatnie, dyrektor powinien nadzorować gromadzenie odpowiednich danych i dokumentacji i przekazywanie ich do rejestrów krajowych i europejskich.

W niektórych centrach obecni są współkierownicy/współdyrektorzy. W takiej sytuacji konieczne jest jasne rozdzielenie odpowiedzialności i dobra komunikacja między nimi.

4. Ramy specjalistycznej opieki pielęgniarskiej

4.1. Rola specjalisty pielęgniarstwa CF

Rola specjalisty pielęgniarstwa CF obejmuje [6]:

- edukację, obronę i wsparcie psychosocjalne – szczególnie w trudnych okresach, takich jak:
 - powiadomienie o wynikach badań i diagnozie;
 - pierwsze przyjęcie do szpitala;
 - pierwsza terapia antybiotykami dożylnymi;
 - druga diagnoza (np. cukrzyca związana z CF);
 - przejście z opieki pediatrycznej pod opiekę dla dorosłych;
 - zagadnienia dotyczące reprodukcji, opieka pre- i postnatalna;
 - transplantacja i zagadnienia dotyczące zakończenia życia;
- zapewnienie wsparcia i edukacji w domu, szczególnie w zakresie dożylnych antybiotykoterapii w warunkach domowych, nebulizacji, żywienia enteralnego i nieinwazyjnej wentylacji;
- zapewnienie innym osobom edukacji na temat CF, w tym w przedszkolu, szkole, szkołach wyższych, miejscu pracy;
- działanie jako łącznik pomiędzy chorym a rodziną, podstawową opieką zdrowotną, pracownikami socjalnymi i szpitalem;
- służenie pomocą w celu treningu i edukacji innych pracowników służby zdrowia zaangażowanych w opiekę nad chorymi z CF.

4.2. Dostępność i udogodnienia

W MDT należy zapewnić obecność odpowiedniej liczby specjalistów pielęgniarstwa z doskonałą wiedzą dotyczącą CF [9]. Specjalista pielęgniarstwa CF powinien służyć wsparciem, radą i opieką skierowanymi bezpośrednio do pacjenta i rodziny w każdej chwili, kiedy są one potrzebne, tak w szpitalu, jak i w domu. Usługi będą się różnić w zależności od różnych populacji pacjentów, ich potrzeb i wymogów. Specjalista pielęgniarstwa CF powinien stale się

rozwickając, by móc spełnić potrzeby miejscowej populacji pacjentów z CF [4].

Specjalista pielęgniarstwa CF potrzebuje odpowiedniej ilości czasu, przestrzeni w miejscu pracy, komputera/drukarki i wsparcia finansowego, by być w stanie sprawować odpowiednią opiekę. Powinien on pozostawać w stałym kontakcie z pacjentem i jego rodziną pomiędzy wizytami w centrum, dlatego potrzebuje dostępu do technologii, takiej jak e-mail, telefon, SMS.

4.3. Kluczowe stopnie opieki

4.3.1. Diagnostyka

Obecnie w wielu krajach stosowana jest metoda diagnostyki poprzez badania przesiewowe noworodków. Specjalista pielęgniarstwa CF odgrywa ważną rolę w rozmowach z rodzicami w czasie ustalania diagnozy, równocześnie zapewniając stałe wsparcie i edukację – począwszy już od pierwszej rozmowy. W przypadku gdy badania przesiewowe nie są dostępne, specjalista pielęgniarstwa CF odgrywa podobną rolę, oferując wsparcie, radę i edukację, które należy zindywidualizować w zależności od tego, czy rozpoznanie zostało ustalone w okresie niemowlęctwa, u starszych dzieci czy u osoby dorosłej. Kontakt specjalisty pielęgniarstwa CF z pacjentem/rodzicami jest zatem niezwykle istotny – czy to w szpitalu, czy podczas wizyt domowych, czy też przez email lub telefon.

4.3.2. Wiek przedszkolny

Dla wielu pacjentów – już po zaakceptowaniu diagnozy i nauczeniu się, jak prowadzić leczenie w warunkach domowych – pierwsze lata mogą wydawać się niemal normalne. Jednakże istnieje kilka obszarów, w których specjalista pielęgniarstwa CF może służyć wiedzą, praktycznymi radami i wsparciem psychosocjalnym [10]: podaż leków, żywienie, dobranie leczenia substytucyjnego enzymami trzustkowymi (dobranie dawki lub słuźenie radą w przypadku, gdy dziecko odmawia przyjmowania enzymów) w porozumieniu z dietetykiem, rozpoznawanie infekcji dróg oddechowych i decyzja, kiedy skierować na wizytę lekarską, a kiedy rozpocząć leczenie, oczyszczanie dróg oddechowych i odpowiednie ćwiczenia w porozumieniu z fizjoterapeutą CF, rozpoczynanie edukacji przedszkolnej, zajmowanie się rodzeństwem, planowanie kolejnych dzieci.

4.3.3. Wiek szkolny

Rozpoczęcie przez dziecko nauki w szkole może być wydarzeniem traumatycznym dla każdego rodzica. W przypadku dziecka z CF obawy rodziców dotyczące utraty kontroli wystąpią niemal na pewno. Wielu specjalistów pielęgniarstwa CF za zgodą rodziców odwiedza szkoły, edukując nauczycieli i przygotowując na radzenie sobie z CF w zakresie: utrzymania prawidłowego odżywienia w szkole, podaży enzymów trzustkowych i innych leków (np. nebulizacje, leki wziewne, doustne), współpracy z pielęgniarką szkolną, ułatwiania uzyskania zwolnienia na czas wizyt kontrolnych/hospitalizacji, radzenia sobie z rosnącą niezależnością dziecka, porad dotyczących nieprzestrzegania zaleceń, zwłaszcza w zakresie jedzenia i oczyszczania dróg oddechowych. Specjalista pielęgniarstwa CF może w tym okresie

pomóc rodzicom, zwłaszcza umożliwiając kontakt poza centrum, co daje rodzicom wytchnienie od pomieszczeń szpitalnych i pozwala na rozmowę dotyczącą niepokojących ich zagadnień w bezpiecznym i znajomym środowisku.

Większość dzieci z CF w wieku szkolnym miewa się względnie dobrze i bierze udział w nauce, zajęciach sportowych i towarzyskich organizowanych przez szkołę. Od czasu do czasu konieczne jest dodatkowe leczenie. Leczenie wspierające, takie jak dożylna antybiotykoterapia w warunkach domowych lub żywienie enteralne pozwala dzieciom na kontynuowanie nauki w szkole. Pomocne mogą okazać się usługi poza szpitalem, badania rutynowe (jak na przykład spirometria) mogą być wykonywane przez specjalistę pielęgniarstwa CF, dzięki czemu można wykryć problemy na wczesnym etapie [11, 12].

4.3.4. Młodzież

Młodzież z CF przechodzi te same zmiany fizyczne i emocjonalne i ma takie same oczekiwania jak ich zdrowi rówieśnicy – bez względu na nasilenie choroby płuc [13]. Specjalista pielęgniarstwa CF powinien być gotowy do przeprowadzenia otwartej i szczerzej rozmowy na tematy, takie jak rekreacyjne stosowanie leków i ich wpływ na CF, aktywność seksualna, bezpieczny seks i antykoncepcja, płodność i ciąża, dalsza edukacja i praca zawodowa, obraz ciała i samoocena, przestrzeganie zaleceń lekarskich, związek z rodzicami, zachęcanie do samoopieki, stosowania się do zaleceń i odpowiedzialności, właściwe informowanie o chorobie i leczeniu.

Specjalista pielęgniarstwa CF powinien być delikatny i szczerzy w czasie rozmowy z młodym człowiekiem z CF [14–16]. Wiele informacji, które młodzież (i ich rodzice) otrzymują, pochodzi od rówieśników, z mediów i Internetu, toteż informacje od specjalisty pielęgniarstwa CF powinny być właściwe i aktualne.

4.3.5. Przejście z opieki pediatrycznej pod opiekę dla osób dorosłych

Wszystkie dzieci z CF powinny przejść z opieki pediatrycznej pod opiekę dla osób dorosłych. Jak powszechnie wiadomo, proces przejścia musi odbyć się w sposób prawidłowy – to niezwykle istotne [17, 18]. Przejście z opieki pediatrycznej pod opiekę dla osób dorosłych ma miejsce w chwili, gdy młody człowiek z CF przechodzi w dorosłość także w innych obszarach życia, takich jak dalsza edukacja lub rozpoczęcie pracy zawodowej, tworzenie związków i wzięcie większej odpowiedzialności za swoje życie. Przejście może zatem być procesem trudnym z wielu przyczyn. Specjalista pielęgniarstwa CF zaangażowany w proces przejścia powinien być świadomy istnienia wielu barier, które utrudniają powodzenie całego procesu [19, 20]. Zarówno specjalista pielęgniarstwa CF ze strony centrum pediatrycznego, jak i ze strony centrum dla osób dorosłych odgrywają istotną rolę w zapewnieniu udanego procesu przejścia. Zajmują się takimi szczegółami, jak: zaangażowanie pacjenta i jego rodziców w podejmowanie decyzji; jasna komunikacja pomiędzy MDT pediatrycznym a MDT dla osób dorosłych; odpowiednia zmiana kliniki obejmująca MDT; upewnienie się, że pacjent pojawi się w klinice dla dorosłych i ma wyznaczony termin kontroli.

Młodzi ludzie mogą uważać, że przy pierwszym przyjęciu do centrum dla dorosłych wchodzi w nieznane środowisko z obcym personelem. W przypadku tych pacjentów i ich rodzin konieczne jest zachowanie ze strony personelu wzmożonej świadomości i delikatności, a specjalista pielęgniarstwa CF powinien wspierać pacjenta i jego rodzinę. Specjalista pielęgniarstwa CF powinien być łącznikiem między oddziałem szpitalnym a MDT.

4.4. Zagadnienia dotyczące dorosłych

Specjalista pielęgniarstwa CF odgrywa istotną rolę w pomocy dorosłym w utrzymaniu równowagi pomiędzy stosowaniem się do zaleceń lekarskich a ich stylem życia, w pomocy w dostosowaniu schematów leczenia w taki sposób, by odpowiadały oczekiwaniom pacjentów. Pomoc ta obejmuje: edukację pracodawcy i współpracowników, łączność z agencjami rządowymi i miejscem pracy w celu zapewnienia maksimum wsparcia (finansowego i praktycznego), by umożliwić pacjentom pozostanie w pracy lub przekwalifikowanie się, wspieranie pacjenta w kontaktach z pracownikami socjalnymi, edukację i współpracę z lekarzami rodzinnymi i okolicznymi farmaceutami, negocjowanie łatwiejszego dostępu na zajęcia w szkole lub na uniwersytecie; zwiększać się będzie współpraca specjalisty pielęgniarstwa CF z lekarzem rodzinnym, pracownikami socjalnymi i zespołem CF, mająca na celu pomoc pacjentom w zadbanie o ich starzejących się rodziców; edukację, poradnictwo i wsparcie dotyczące zagadnień dotyczących życia rodzinnego tak dla mężczyzn, jak i kobiet z CF; wsparcie praktyczne i emocjonalne w czasie okresu noworodkowego i niemowlęcego.

Powikłania zdarzają się częściej u starszych pacjentów z CF [21–23]. Usługi zewnętrzne oferowane przez specjalistę pielęgniarstwa CF powinny zapewnić pomoc w prowadzeniu skomplikowanych schematów leczenia i organizacji opieki tak, by pomóc utrzymać równowagę pomiędzy swobodnym stylem życia a leczeniem.

4.5. Zagadnienia dotyczące transplantacji i zakończenia życia

Gdy hospitalizacje stają się częstsze lub dłuższe, a ciężar leczenia wzrasta, pacjent lub rodzina może dążyć do poruszenia tematu przeszczepienia płuc. Rozmowy z zespołem na wczesnym etapie wywołują wiele pytań i zmartwień ze strony pacjentów i ich rodzin. Rolą specjalisty pielęgniarstwa CF jest służyć edukacją i ochroną pacjenta w czasie procesu podejmowania przez niego decyzji.

CF pozostaje chorobą skracającą życie. Śmierć w dzieciństwie zdarza się rzadko – ale jednak się zdarza. W przeciwieństwie do innych chorób przewlekłych, ostatnie etapy CF bywają trudne do rozpoznania. Pacjenci często potrzebują okazji do rozmowy dotyczącej ich obaw i lęków, ale mogą czuć się źle lub mogą być zbyt z troskami, że zmartwią rodzinę, by rozmawiać o tym z nią.

Specjalista pielęgniarstwa CF może ułatwić prowadzenie rozmowy między pacjentem a jego rodziną. Dyskusja na wczesnym etapie na temat życzeń pacjenta na terminalny okres choroby jest istotna dla wprowadzenia odpowiedniego

planu opieki. Zagadnienia podczas takiej rozmowy mogą dotyczyć transplantacji, testamentu, pogrzebu, napisania pamiętnika lub listów do rodziny oraz decyzji, gdzie pacjent chciałby umierać [24, 25].

Specjalista pielęgniarstwa CF odgrywa kluczową rolę w dawaniu indywidualnego wsparcia emocjonalnego rodzicom/partnerowi pacjenta. Choć niektóre z rodzin chcą wrócić do szpitala, dla wielu rodzin jest to trudne. Odwiedzenie rodziny w domu pozwala na zaoferowanie wsparcia w żałobie w bezpiecznym i wygodnym otoczeniu. Wizyta w domu pozwala także zaoferować wsparcie innym członkom rodziny, np. rodzeństwu czy dziadkom.

4.6. Podstawowe kompetencje, kwalifikacje i rozwój zawodowy

4.6.1. Podstawowe kompetencje

Specjalista pielęgniarstwa CF powinien być kompetentny w następujących, kluczowych obszarach.

- Praktyka kliniczna:
 - umiejętności diagnostyki i oceny;
 - umiejętności leczenia;
 - rozpoznanie i monitorowanie zmian;
 - ułatwianie programów opieki;
 - badania kliniczne i audyt.
- Edukacja:
 - wiedza dotycząca CF i zagadnień z nią związanych;
 - praktyka oparta na faktach;
 - nauczanie i trening: pacjentów, opiekunów, pracowników służby zdrowia.
- Komunikacja:
 - z pacjentami i opiekunami;
 - z MDT;
 - współpraca z placówkami klinicznymi, socjalnymi, edukacyjnymi, pracodawcami itp.
- Wsparcie i ochrona:
 - opieka socjalna;
 - ochrona;
 - poradnictwo;
 - zagadnienia prawne i etyczne.

4.6.2. Kwalifikacje i rozwój zawodowy

Specjalista pielęgniarstwa CF musi mieć prawo wykonywania zawodu w danym kraju. Powinien również dysponować specjalistyczną wiedzą i doświadczeniem w opiece nad dziećmi (w tym szkolenie pediatryczne) lub dorosłymi z CF.

Specjalista pielęgniarstwa CF powinien włączać się w badania we wszystkich obszarach CF, rozwijając projekty indywidualne lub uczestnicząc w badaniach przeprowadzanych przez CF MDT, powinien stale dokształcać się poprzez uczestnictwo w kursach i konferencjach.

CF to choroba wymagająca zarówno dla pacjenta i jego rodziny, jak i dla MDT. Specjalista pielęgniarstwa CF powinien pełnić rolę łącznika pomiędzy pacjentem a rodziną, placówkami podstawowej opieki zdrowotnej i socjalnymi oraz szpitalem. Specjalista pielęgniarstwa CF jest odpowiedzialny za upewnienie się, że każdy pacjent otrzymuje odpowiednią opiekę zgodnie ze swoimi potrzebami. Pacjenci przez całe życie powinni otrzymywać wsparcie, jak również

dobrej jakości leczenie, skoordynowaną opiekę szpitalną, wsparcie i porady placówek społecznych.

5. Ramy opieki fizjoterapeutycznej

Fizjoterapeuta specjalizujący się w dziedzinie mukowiscydozy powinien odgrywać podstawową rolę w aspektach leczenia, takich jak oczyszczanie dróg oddechowych, ćwiczenia fizyczne i leczenie wziewne. Programy rehabilitacji w opiece nad pacjentami z CF mają, przede wszystkim, charakter zapobiegawczy, konieczne jest ich regularne stosowanie od momentu diagnozy. Celem leczenia jest utrzymanie optymalnej wentylacji we wszystkich częściach płuc, opóźnienie progresji choroby płuc, stymulacja i utrzymanie prawidłowej wydolności fizycznej oraz zniesienie bólu i ograniczenie powikłań ze strony układu mięśniowo-szkieletowego i/lub wynikających z choroby płuc lub kości [26]. Fizjoterapeuta specjalizujący się w dziedzinie mukowiscydozy powinien również opracowywać strategie postępowania na wypadek powikłań lub chorób współistniejących pojawiających się z wiekiem u pacjentów. Powinien także zoptymalizować program fizjoterapii oddechowej, uwzględniając zaawansowany technicznie sprzęt, nieinwazyjną wentylację i ćwiczenia fizyczne z suplementacją tlenu. Rehabilitacja ruchowa jest bardzo istotna dla pacjentów wpisanych na listę oczekujących na przeszczepienie płuc.

5.1. Rola fizjoterapeuty specjalizującego się w dziedzinie mukowiscydozy

Fizjoterapeuta specjalizujący się w dziedzinie mukowiscydozy powinien być łatwo dostępny dla pacjentów w celu stosowania regularnej oceny stanu funkcjonalnego pacjenta i funkcji płuc oraz monitorowania i modyfikowania terapii stosowanej przez chorego w domu. Częstość spotkań zależy będzie od wieku pacjenta i jego stanu klinicznego. Standardowo konsultacje powinny mieć miejsce w czasie każdej rutynowej wizyty w poradni oraz codziennie w przypadku hospitalizacji (w tym również podczas pobytu w szpitalu pod opieką innych specjalistów i na oddziale intensywnej terapii). Dokładniejsza ocena fizjoterapeutyczna powinna odbywać się raz w roku.

5.2. Regularna ocena i terapia

Regularna ocena płuc przeprowadzona przez fizjoterapeutę powinna obejmować badanie funkcji płuc, analizę objawów ze strony układu oddechowego, ocenę stopnia duszności, oszacowanie zapotrzebowania na tlen w czasie fizjoterapii układu oddechowego i ćwiczeń fizycznych, charakterystykę kaszlu i wywiad na temat szeroko rozumianej aktywności w życiu codziennym. Program fizjoterapeutyczny powinien być opracowany indywidualnie dla każdego chorego, z uwzględnieniem wieku, nasilenia choroby, działań ubocznych lub powikłań oraz sytuacji socjalnej i rodzinnej.

5.2.1. Terapia wziewna

Jako że fizjoterapeuta jest odpowiedzialny za wykonywanie zabiegów wziewnych, powinien znać techniki inhalacyjne,

rodzaje aparatów i prawidłową ich obsługę. Konieczne jest uwzględnienie czasu inhalacji w stosunku do spodziewanego efektu oczyszczenia dróg oddechowych, ponieważ może zaistnieć między nimi pozytywna współzależność. Istotna dla prawidłowej depozycji leków wziewnych jest edukacja pacjentów dotycząca prawidłowych technik inhalacji. Fizjoterapeuta powinien być zaznajomiony z odpowiednimi systemami nebulizacji uznanymi za bezpieczne i skutecznie dostarczające przepisane leki. Czyszczenie i prawidłowa obsługa całego systemu nebulizacji są konieczne do bezpiecznego pod względem mikrobiologicznym i skutecznego podawania leków [26, 27].

5.2.2. Terapia oczyszczająca drogi oddechowe

Fizjoterapeuta odpowiedzialny za terapię oczyszczania dróg oddechowych powinien umieć szybko ocenić ich właściwy stan, na przykład na podstawie oceny dźwięków wydechowych, ilości i charakterystyki płwociny oraz zdolności chorego do kontroli kaszlu. Konieczna jest wiedza i doświadczenie na temat pełnego zakresu dostępnych technik drenażowych. Powinny być rozważane alternatywne techniki drenażowe właściwie dobrane dla poszczególnych pacjentów. Istnieje wiele technik oczyszczania dróg oddechowych, które pacjent może stosować samodzielnie i które pozwalają uzyskać pacjentowi niezależność w życiu codziennym. Podstawy działania wszystkich technik drenażowych oparte są na fizjologii układu oddechowego i pozwalają fizjoterapeucie na indywidualne dobranie programu leczenia [28]. Nie istnieje jeden standardowy schemat oczyszczania dróg oddechowych ani też dowód na wyższą skuteczność jednej z technik [6, 26, 29–37].

5.2.3. Ocena postawy ciała i układu mięśniowo-szkieletowego

Ocenę postawy ciała i funkcji układu mięśniowo-szkieletowego przeprowadza się w celu kompleksowej oceny leczenia. Ćwiczenia fizyczne mające na celu zachowanie prawidłowej postawy ciała i ruchomości klatki piersiowej powinny być włączone do leczenia od samego początku. Jak w przypadku każdej interwencji fizjoterapeutycznej, ćwiczenia powinny być indywidualnie dobrane do pacjenta [26, 38, 39].

5.2.4. Wydolność fizyczna

Oceną wydolności fizycznej i możliwości zastosowania ćwiczeń fizycznych powinni być objęci również chorzy na mukowiscydozę będący w okresie przygotowania do przeszczepienia płuc.

Obniżenie wydolności fizycznej jest związane z spadkiem funkcji płuc i ma bezpośredni wpływ na pogorszenie jakości życia i gorsze rokowanie [40, 41]. Uważa się, że ćwiczenia fizyczne poprawiają funkcję płuc i zmniejszają nawykowy brak aktywności u dzieci z CF [42]. Fizjoterapeuci specjalizujący się w dziedzinie mukowiscydozy powinni regularnie przeprowadzać testy wysiłkowe, z częstotliwością uzależnioną od stopnia progresji choroby i szczególnych potrzeb, takich jak kwalifikacja do transplantacji płuc lub ocena wyników leczenia. Zlecając ćwiczenia fizyczne pacjentom z zaawansowaną chorobą płuc, należy zachować ostrożność – zwłaszcza kiedy występują u nich krwioplucie, desaturacja wysiłkowa wymagająca suplementacji tlenem, nadciśnienie płucne, serce płucne,

artropatie i inne choroby współistniejące [26]. Fizjoterapeuta powinien również ocenić zapotrzebowanie na tlen w czasie ćwiczeń i aktywności codziennej [26, 43].

5.2.5. Nieinwazyjna wentylacja

Udowodniono, że nieinwazyjna wentylacja stanowi przydatne uzupełnienie terapii oczyszczania dróg oddechowych, zmniejszające wysiłek oddechowy i zmęczenie odczuwane przez ciężko chorych pacjentów podczas fizjoterapii. Nieinwazyjna wentylacja może być również użyteczna podczas ćwiczeń w celu zmniejszenia nasilenia duszności, poprawy utlenowania krwi i, co za tym idzie, utrzymania lub poprawy tolerancji wysiłku [44, 46]. Ponadto wentylację nieinwazyjną wprowadza się w celu utrzymania optymalnego funkcjonowania pacjentów w końcowym stadium choroby i jako terapię pomostową przed transplantacją [45].

5.2.6. Inne czynniki i oceny

Do obowiązków fizjoterapeuty specjalizującego się w dziedzinie mukowiscydozy należy kontrola w zakresie nietrzymania moczu i kału. Fizjoterapeuta powinien być wrażliwy i otwarty na omawiany problem. Powinien umieć wcześniej rozpoznawać symptomy; można zacząć przeprowadzać wywiad już w wieku 10 lat [47, 48].

Fizjoterapeuta specjalizujący się w dziedzinie mukowiscydozy powinien być również odpowiedzialny za:

- postępowanie w przypadku wystąpienia powikłań oraz za przestrzeganie przez chorego codziennego reżimu terapeutycznego, jednocześnie promując niezależność typową dla danego wieku
- właściwą terapię wziewną i oczyszczanie dróg oddechowych oraz programy ćwiczeń fizycznych w czasie ciąży [49];
- upewnienie się, że sprzęt do terapii i nebulizacji działa prawidłowo i w prawidłowy sposób jest używany;
- edukację pacjentów, opiekunów, nauczycieli i miejscowych fizjoterapeutów; fizjoterapeuta powinien ściśle współpracować z innymi pracownikami służby zdrowia, w celu holistycznej opieki nad pacjentem;
- opiekę paliatywną, szczególnie zmniejszenie nasilenia duszności u pacjentów terminalnie chorych oraz doradztwo dotyczące tego, kiedy zaprzestać nieinwazyjnej wentylacji.

5.3. Dostępność usługi

Gdy pacjent przebywa w szpitalu z powodu zaostrzenia choroby lub w celu przeprowadzenia badań kontrolnych, powinien zostać zbadany przez fizjoterapeutę w ciągu 24 godzin od przyjęcia. Następnie powinien zostać wdrożony program oczyszczania dróg oddechowych, leczenia wziewnego i odpowiednio dobranych, dobrze tolerowanych przez chorego ćwiczeń fizycznych. Fizjoterapeuta specjalizujący się w dziedzinie mukowiscydozy powinien dysponować wiedzą dotyczącą wszystkich technik oczyszczania oskrzeli, patofizjologii dróg oddechowych, kryteriów stosowania technik alternatywnych i wszelkich przeciwwskazań dla dostępnych technik terapeutycznych [28]. Świadczenia z zakresu fizjoterapii chorych na mukowiscydozę powinny być dostępne 7 dni w tygodniu także po godzinach pracy fizjoterapeuty

w przypadku pacjentów, których stan pogorszył się w ciągu nocy.

5.4. Rozwój zawodowy, badania i dyspozycyjność

Fizjoterapeuci powinni brać udział w szkoleniach, audycjach klinicznych, badaniach naukowych i wносить wkład w prowadzenie rejestru chorych na mukowiscydozę. Ciągły rozwój zawodowy stanowi integralną część pracy, dlatego powinno się utrzymać i poszerzać specjalistyczną wiedzę poprzez uczestnictwo w istotnych kursach podyplomowych, wykładach oraz konferencjach krajowych i międzynarodowych. W miarę możliwości fizjoterapeuta powinien być aktywnym członkiem rajowej grupy fizjoterapeutów specjalizujących się w mukowiscydozie i mieć możliwość reprezentowania interesów fizjoterapeutycznych swojego kraju na spotkaniach Międzynarodowej Grupy Fizjoterapeutów do spraw CF (IPG/CF) [50]. Fizjoterapeuta CF powinien brać udział w badaniach naukowych, rozwoju i doskonaleniu opieki fizjoterapeutycznej oraz oceny leczenia poprzez przeprowadzanie audytów, uczestnicząc w wielośrodkowych badaniach i uzupełniając dane w rejestrach chorych. Powinien zbierać dane z całego roku w celu kontroli prowadzonej przez siebie opieki [50, 51].

6. Ramy opieki dietetyka

Prawidłowy stan odżywienia jest skorelowany pozytywnie z funkcją płuc [52, 53]. Prawidłowa masa ciała, wzrost i BMI są skorelowane pozytywnie z przeżyciem [53–55]. Ważne jest zapewnienie normalnego wzrostu dzieciom i młodzieży oraz utrzymanie prawidłowego BMI u osób dorosłych.

Specjaliści dietetyki CF odgrywają integralną rolę w leczeniu pacjentów i są odpowiedzialni za opiekę żywieniową nad nimi. Powinni być aktywnie włączeni w trening żywieniowy, edukację, rozwój i wsparcie innych pracowników służby zdrowia zaangażowanych w leczenie CF.

Interwencje dietetyka powinny być aktywne i reaktywne, powinny odpowiadać na potrzeby każdego pacjenta indywidualnie. Specjalista dietetyk CF powinien mieć doświadczenie w radzeniu sobie ze złożonymi wyzwaniami żywieniowymi i rzadkimi powikłaniami choroby – to bardzo ważny aspekt.

6.1. Rola specjalisty dietetyki CF

Specjalista dietetyki CF powinien brać aktywny udział w wysokiej jakości leczeniu i opiece żywieniowej pacjentów, by zapewnić ich optymalny stan odżywienia oraz dokonywać regularnej oceny pacjenta z uwzględnieniem dodatkowych komplikacji mogących towarzyszyć chorobie. Częstość i rodzaj konsultacji będą różniły się w zależności od wieku i stanu klinicznego.

Specjalista dietetyki CF powinien doradzać i edukować pacjentów w zakresie podstaw leczenia żywieniowego w CF, by umożliwić im sprostanie ich potrzebom żywieniowym i osiągnięcie optymalnego wzrostu, wagi i budowy ciała. Dodatkowe porady są konieczne w przypadku niewydolności zewnątrzwydzielniczej trzustki, niedoboru

witamin rozpuszczalnych w tłuszczach, wzmożonej motoryki żołądka, refluksu żołądkowo-przełykowego, upośledzonej tolerancji glukozy/cukrzycy, obniżonej gęstości mineralnej kości, chorób nerek i chorób wątroby.

Porady powinny być zindywidualizowane w zależności od wieku. Porada powinna uwzględniać bariery psychospołeczne (zwłaszcza w okresie dorastania). Wsparciem mogą być materiały pisemne, pomoce wizualne, słuchowe lub audiowizualne, edukacyjne pakiety komputerowe lub aplikacje. Proces edukacji powinien być ciągły, z uwzględnieniem kluczowych okresów, kiedy pacjent wymaga większej interwencji dietetycznej i wsparcia, takie jak moment diagnozy, wczesne niemowlęstwo, włączenie terapii preparatami enzymów trzustkowych, moment odstawienia od piersi, okres dorastania i samodzielności, ciąża, rozpoczęcie żywienia enteralnego, rozpoznanie cukrzycy związanej z mukowiscydozą, transplantacja i okres schyłku życia.

Należy pamiętać, że u pacjenta, u którego rozpoznano chorobę w późniejszym okresie życia, objawy są atypowe, a pacjent wymaga unikatowych zaleceń edukacyjnych. Kluczowym wyzwaniem jest poprawa przestrzegania zaleceń leczenia żywieniowego. Specjalista dietetyki CF powinien współpracować z pacjentem, by zwiększyć jego motywację do zmiany i wspierać jego wysiłki. Podejście takie oparte jest na dostarczaniu informacji i umożliwieniu otwartej dyskusji. Ważne jest odniesienie się do barier emocjonalnych i perceptualnych pacjenta, np. odmowa zwiększenia masy ciała w przypadku młodych kobiet.

6.2. Zarządzanie kliniczne, badania i ramy jakości

Specjalista dietetyki CF powinien być członkiem i aktywnym uczestnikiem specjalistycznych grup zainteresowań na szczeblu lokalnym, krajowym i międzynarodowym (np. European Cystic Fibrosis Nutrition Group), by na bieżąco doskonalić swoją wiedzę. Dodatkowym atutem byłaby aktywność członkowska w ECFS.

6.3. Ocena dietetyczna

6.3.1. Ocena roczna

Obsada etatów dietetyka powinna pozwalać na planową coroczną ocenę spożywanych posiłków i stanu odżywienia. Ocena spożywanych posiłków za pomocą dziennika żywieniowego powinna być prowadzona jedynie u wybranych pacjentów; w przypadku dużych centrów zastosowanie takiego ćwiczenia jest mało trwałąm rozwiązaniem – to mało prawdopodobne, by przyniosło dodatkowe informacje na temat pacjentów o stabilnym stanie odżywienia. Ocena roczna powinna obejmować wszystkie aspekty stanu odżywienia, modyfikacji diety, zmiany dawkowania enzymów trzustkowych oraz leczenie powikłań żywieniowych i metabolicznych. Ocena roczna pomaga określić cele i dalsze plany leczenia żywieniowego.

Więcej szczegółów znajduje się w dokumencie pt. „Standardy opieki Europejskiego Towarzystwa Mukowiscydozy: wytyczne najlepszej praktyki – optymalne żywienie i leczenie powikłań metabolicznych w mukowiscydozie”, który zawiera informacje dotyczące m.in. oceny:

- wydolności trzustki;
- wzrostu i stanu odżywienia;
- gęstości mineralnej kości;
- poziomu glikemii.

6.4. Ramy dostępności usługi

Tradycyjnie ramy dostępności usługi dzieli się na:

- opiekę szpitalną;
- opiekę pozaszpitalną;
- opiekę domową;
- opiekę zespołową;
- opiekę w okresie przejścia;
- ocenę roczną.

Wszyscy pacjenci powinni mieć dostęp do opieki specjalisty dietetyki CF we wszystkich wymienionych okresach. Ten sam dietetyk powinien sprawować opiekę w szpitalu i poza szpitalem, by uzyskać ciągłość opieki i zapobiec przeoczeniu ważnych szczegółów. Rozwój telekomunikacji i technologii pozwala na dodatkową ocenę.

6.5. Kluczowe zagadnienia dotyczące usługi

6.5.1. Pacjenci hospitalizowani

W przypadku pacjenta hospitalizowanego (a zwłaszcza pacjenta wymagającego stałego wsparcia żywieniowego) należy stworzyć jasny plan wypisowy i zaplanować wizyty kontrolne.

6.5.2. Leczenie domowe

W przypadku pacjentów leczonych w domu antybiotykami dożylnymi należy zapewnić dostęp do specjalisty dietetyki CF na początku i pod koniec terapii, z ciągłym wsparciem żywieniowym na odległość (np. przez telefon, telemedycyna) lub przez specjalistę pielęgniarstwa CF. Specjalista pielęgniarstwa CF powinien w jasno określony sposób komunikować się ze specjalistą dietetyki CF.

6.5.3. Pacjenci ambulatoryjni z cukrzycą związaną z CF

Pacjenci ambulatoryjni z cukrzycą związaną z CF powinni mieć dostęp do specjalisty dietetyki CF z doświadczeniem w leczeniu tego powikłania.

6.5.4. Opieka zespołowa

W związku ze złożonością potrzeb dietetycznych dorosłych pacjentów z CF, opieka zespołowa nie jest najlepszym rozwiązaniem. Natomiast w centrach pediatrycznych powinny znajdować się:

- protokoły opieki i odpowiedzialności za leczenie żywieniowe;
- wyznaczony dietetyk w zespólnym szpitalu, który będzie współpracował ze specjalistą dietetyki CF z centrum;
- przegląd wszystkich pacjentów przez specjalistę dietetyki CF z centrum co najmniej dwa razy w roku.

6.5.5. Proces przejścia

Dietetycy CF z centrum pediatrycznego i dla dorosłych powinni współpracować w celu promowania autonomii, ułatwienia samodzielności i zapewnienia bezproblemowego procesu przejścia. W momencie przejścia specjalista

dietetyki CF z centrum pediatricznego powinien przedstawić jasne i zwięzłe podsumowanie leczenia żywieniowego i wyzwań z tym związanych dla każdego z pacjentów. W miarę możliwości specjalista dietetyki CF z centrum pediatricznego powinien dostarczyć pisemny plan leczenia.

7. Ramy mikrobiologii

Do CF MDT powinien zostać włączony mikrobiolog kliniczny ze specjalistyczną wiedzą dotyczącą infekcji w CF. Stanowisko to może objąć wykształcony medycznie mikrobiolog kliniczny lub specjalista ds. chorób zakaźnych – lub ewentualnie badacz kliniczny z odpowiednią wiedzą i doświadczeniem. Mikrobiolog kliniczny CF powinien ściśle współpracować z laboratorium mikrobiologicznym oferującym usługi diagnostyczne dla CF MDT, a także z miejscowym zespołem ds. kontroli i zapobiegania infekcjom.

W celu zapewnienia wsparcia CF MDT podczas diagnostyki i leczenia infekcji, mikrobiolog kliniczny CF powinien dysponować wiedzą dotyczącą zakresu infekcji w CF. W szczególności musi mieć świadomość roli rzadko spotykanych mikroorganizmów, ryzyka infekcji krzyżowych i wpływu długotrwałego przewlekłego zapalenia na badania mikrobiologiczne i leczenie.

Poza szeroką wiedzą podstawową mikrobiolog kliniczny CF powinien stale rozwijać się zawodowo i uczestniczyć w specjalistycznych konferencjach i spotkaniach dotyczących CF.

7.1. Rola mikrobiologa klinicznego CF

Mikrobiolog kliniczny CF powinien upewnić się, że dostępne są odpowiednie usługi laboratorium mikrobiologicznego. Mikrobiolog kliniczny CF może pełnić rolę kierownika laboratorium. Usługi mikrobiologiczne mogą być ewentualnie zapewniane przez podwykonawcę – wtedy mikrobiolog kliniczny CF powinien być zaangażowany w tworzenie umowy po stronie centrum CF.

Mikrobiolog kliniczny CF powinien doradzać podczas diagnozowania i leczenia infekcji oraz monitorować antybiotykoterapię. Może to robić w czasie spotkań CF MDT. Mikrobiolog kliniczny CF powinien pełnić także rolę doradcy w przypadku prewencji infekcji i kontroli w centrum CF. Zadanie to może być delegowane określone lekarzowi zajmującemu się kontrolą infekcji (jeśli takie stanowisko stworzono).

7.2. Przegląd usług laboratoryjnych

Mikrobiolog kliniczny CF powinien upewnić się, że dostępny jest pełen zakres badań laboratorium mikrobiologicznego potrzebnych centrum CF oraz że badania laboratorium prowadzone są na podstawie opublikowanych wytycznych [56–58]. Laboratorium powinno być akredytowane przez renomowaną krajową jednostkę uprawnioną do certyfikacji w zakresie mikrobiologii i podlegać zewnętrznym audytom jakości obejmującym patogeny związane z CF. W razie konieczności powinna istnieć możliwość przesłania

odpowiednich próbek do laboratorium referencyjnego specjalizującego się w mikrobiologii CF. Laboratorium powinno wydawać centrum wyniki precyzyjne i na czas, z wcześniej zatwierdzonym sposobem oznaczania wyników pilnych i ważnych. Technicy pracujący w laboratorium powinni mieć doświadczenie i wiedzę dotyczącą złożonej mikrobiologii infekcji CF.

Należy określić ramy zgłaszania i opracowywania błędów i innych zdarzeń – wraz z zapisem, w jaki sposób nauka z błędów została wykorzystana (w celu poinformowania programu poprawy usług).

Usługi powinny regularnie podlegać audytom. Przykładem audytu jest *turn-around time* (tj. czas od przyjęcia próbek do laboratorium do momentu wydania wyniku do centrum CF), trafność identyfikacji i badanie antybiogramu oraz odpowiednie i niezwłoczne poinformowanie zespołu MDT centrum o pilnych wynikach.

7.3. Usługi mikrobiologii klinicznej i CF MDT

CF MDT powinien uzgodnić z laboratorium mikrobiologii klinicznej następujące zagadnienia:

- Jakie próbki pobierać z dróg oddechowych i w jaki sposób je przetwarzać (np. płwocina, popłuczyny z dróg oddechowych, wymaz podczas kaszlu lub wymaz z gardła).
- Jakie próbki pobrać w przypadku podejrzenia zakażenia dostępu naczyniowego.
- Diagnostyka innych infekcji, w tym infekcji jelitowych (np. wirusy jelitowe, kiedy i jak badać obecność toksyny *Clostridium difficile*).
- Poziom identyfikacji mikroorganizmów (np. rodzaj, gatunek, podtyp) wymagany w indywidualnych przypadkach. Uzgodnienia mogą obejmować dyskusję na temat, które badania mogą być wykonywane w miejscowym laboratorium oraz kiedy próbki muszą zostać wysłane do specjalistycznego laboratorium o bardziej zaawansowanej metodologii (np. potwierdzenie pierwszej infekcji *Burkholderia spp.* z dokładną identyfikacją gatunku).
- Metody typowania i jego częstość (tj. jak często CF MDT powinien wysyłać próbki do oceny rutynowej i kiedy wykonać dodatkowe typowanie z powodu podejrzenia infekcji krzyżowej).
- Pomiar poziomu przeciwciał przeciw *Pseudomonas* w wybranych przypadkach.
- Badania diagnostyczne w przypadku podejrzenia infekcji *Mycobacterium* i grzybiczych łącznie z poziomem identyfikacji i typowaniem.
- Antybiogram – wybór badanych antybiotyków oraz sytuacje, w których antybiogram jest pomocny.
- Badania wirusologiczne powinny obejmować szybkie testy identyfikujące wysoce patogenne wirusy, które mogą rozprzestrzeniać się między pacjentami – zarówno dobrze znane (np. wirus grypy), jak i nowo poznane (np. koronawirusy SARS, MERS).
- W przypadku jakich wyników należy niezwłocznie nawiązać kontakt telefoniczny z CF MDT (np. pierwsza hodowla *Pseudomonas aeruginosa*, nowa izolacja *Burkholderia cepacia complex* oraz innych gatunków *Burkholderia*, MRSA, prawdopodobnie krętki widoczne w płwocinie).
- Porady dotyczące prewencji infekcji i kontroli.

Poza tym należy ustalić ramy komunikacji między pracownikami laboratorium mikrobiologicznego i CF MDT (np. kontakt telefoniczny, obchody w oddziale w celu zapoznania się z bieżącym stanem pacjentów, uczestnictwo w spotkaniach MDT).

7.4. Porady kliniczne dotyczące leczenia infekcji

Mikrobiolog kliniczny CF powinien współpracować z CF MDT w celu określenia wytycznych stosowania leków przeciwbakteryjnych, w tym wyboru leczenia nowych infekcji, leczenia aktualnego zaostrzenia i długoterminowego leczenia antybiotykami. Celem jest zmniejszenie zachorowalności i hospitalizacji oraz odpowiedzialne użycie antybiotyków w celu ograniczenia narastania oporności. Musi istnieć system monitorowania antybiotyków. Mikrobiolog kliniczny CF musi upewnić się, że w celu utrzymania optymalnego poziomu antybiotyku u pacjenta stosowane są wytyczne i porady, co promuje skuteczne leczenie przy minimalizacji skutków ubocznych.

7.5. Prewencja i kontrola infekcji

Mikrobiolog kliniczny CF powinien współpracować z CF MDT i miejscowym zespołem do spraw kontroli infekcji w celu rozwinięcia miejscowej polityki kontroli infekcji i prewencji oraz procedur zgodnych z krajowymi i międzynarodowymi wytycznymi ekspertów [59–63]. Polityka ta powinna obejmować:

- ocenę leczenia pacjentów z chorobami zakaźnymi, tak w społeczeństwie, jak i w szpitalu, by zapobiec rozprzestrzenianiu się infekcji;
- nadzór nad zakaźnymi infekcjami (np. jak często wykonywać badania oraz jakie próbki przesyłać do laboratorium);
- leczenie przeciwbakteryjne w celu uniknięcia nosicielstwa potencjalnie zakaźnych mikroorganizmów;
- wytyczne dla pracowników z infekcją;
- dochodzenie epidemiologiczne;
- zapewnienie warunków do funkcjonowania centrum CF oraz poradni – powinno obejmować czyszczenie i utrzymanie wyposażenia oraz udział w jakichkolwiek planach remontu lub przebudowy pomieszczeń.

7.6. Rola w badaniach klinicznych i gromadzeniu danych

Mikrobiolog kliniczny CF może brać czynny udział w badaniach klinicznych związanych z CF. Może być zaangażowany w projektowanie innowacyjnych badań, jak również może udzielać solidnego wsparcia laboratoryjnego w czasie badania klinicznego. Może również pomagać w sprawdzaniu, czy w krajowych i międzynarodowych bazach danych dostępne są właściwe dane mikrobiologiczne.

8. Ramy zarządzania lekami

Optymalna opieka nad pacjentami z CF wymaga złożonych planów wielolekowego leczenia. Leki te mogą być przyjmowane doustnie, dożylnie lub wziewnie. Często spotyka się działania niepożądane i interakcje lekowe.

Wiele z leków jest drogich i wymaga uzyskania specjalnej zgody oraz wydania instrukcji optymalnego stosowania. Stosowanie się do zaleceń stanowi największe wyzwanie dla pacjentów i ich opiekunów. Brak stosowania się do zaleceń związany jest ze słabymi wynikami. Centra CF muszą mieć skuteczny program zarządzania lekami, by wspierać pacjentów w optymalizowaniu terapii. Farmakolog kliniczny CF pełni w tym procesie pierwszoplanową rolę [64]. W krajach europejskich zdecentralizowane usługi kliniczne, z farmaceutą pracującym przez co najmniej 50% czasu w oddziale lub farmaceutą wizytującym codziennie oddział, nie są zbyt popularne [65]. Jedynie dwa kraje, tj. Wielka Brytania i Irlandia rozwinęły ten sposób usług klinicznych [65].

8.1. Rola farmakologa klinicznego CF

Farmakolog kliniczny CF odgrywa główną rolę w skutecznym zarządzaniu lekami [66]. Ogólnym celem aktywności farmakologii klinicznej jest promowanie prawidłowego i odpowiedniego użycia leków i wyrobów medycznych [67]. Aktywność ta ma na celu:

- maksymalizację efektu klinicznego leku (m.in. stosowanie najskuteczniejszego leczenia w przypadku każdego pacjenta)
- minimalizację ryzyka zdarzeń niepożądanych indukowanych leczeniem (m.in. monitorowanie przebiegu leczenia i stosowania się pacjenta do zaleceń);
- optymalizację wydatków na leczenie farmakologiczne ponoszonych przez krajowe systemy zdrowotne i przez pacjentów.

Najważniejszym celem pracy farmakologa klinicznego CF jest zapewnienie opieki farmaceutycznej skoncentrowanej na pacjencie, zdefiniowanej jako odpowiedzialne stosowanie leków w celu osiągnięcia określonych wyników, które poprawią jakość życia pacjenta i wydłużą jego życie. Praca farmakologa to proces, w którym współpracuje on z pacjentem i innymi pracownikami służby zdrowia w planowaniu, włączaniu i monitorowaniu leczenia, by osiągnąć konkretne wyniki zdrowotne [68].

Skuteczne zapewnienie usług farmakologa klinicznego dla centrum CF opiera się na wiedzy i umiejętnościach farmakologa klinicznego CF i jakości różnych usług wspierających, takich jak serwis informacji o leku z doświadczeniem dotyczącym problemów CF i problemów pediatrycznych (jeśli dotyczy) oraz konieczne usługi zaopatrzenia i dystrybucji, skutecznie zaopatrujące w leki pacjentów hospitalizowanych. Zgodnie z wymogami, dostępna powinna być także usługa przygotowywania leków. Obecne powinny być również: dostęp do telefonicznej usługi zaopatrzenia w pilne leki, informacji i porad dla hospitalizowanych pacjentów oraz usługa aseptycznego sporządzania leków w przypadku przyrządzania dożylnych antybiotyków obejmująca schematy odczulania.

Farmakolog kliniczny CF powinien:

- przygotowywać leki dla pacjentów hospitalizowanych i ambulatoryjnych zgodnie z wymogami instytucji;
- brać udział w obchodach lekarskich i spotkaniach CF MDT;
- wspierać i przekazywać informacje innym farmaceutom w oddziale, którzy nie są dobrze zaznajomieni z CF;

- współpracować z centrum pediatrycznym i dla dorosłych w okresie przejścia pacjentów;
- wspierać i przekazywać informacje farmaceutom pracującym w podstawowej opiece zdrowotnej i innych szpitalach;
- w sposób ciągły rozwijać się zawodowo poprzez odpowiednie badania i uczestnictwo w ważnych spotkaniach naukowych, konferencjach na szczeblu krajowym i międzynarodowym;
- pozostawać w stałym kontakcie z innymi farmakologami CF w celu porad i rozwoju zawodowego.

8.2. Praktyka opieki farmaceutycznej dla farmakologa klinicznego CF

8.2.1. Zarządzanie receptariuszem, wytyczne kliniczne i protokoły leczenia

Farmakolog kliniczny CF powinien asystować w tworzeniu receptariusza, by mieć pewność, że odpowiednie leki zostaną wprowadzone do praktyki klinicznej. Powinien także asystować podczas tworzenia i wspierania usług opieki domowej, takich jak dożylna antybiotykoterapia w warunkach domowych oraz organizacja i monitorowanie dostarczania leków. Farmakolog kliniczny CF oraz inni członkowie CF MDT powinni skutecznie się komunikować. Jak w przypadku wszystkich członków CF MDT, farmakolog kliniczny CF powinien stale rozwijać się zawodowo i uczestniczyć w konferencjach dotyczących CF oraz istotnych spotkaniach naukowych. Powinien także brać udział w edukacji i treningu innych specjalistów służby zdrowia, również pracujących w podstawowej opiece zdrowotnej. Farmakolog kliniczny CF powinien również być doradcą w przypadku prawnych i etycznych zagadnień dotyczących leków, w tym źródeł i sposobu stosowania leków niemających licencji oraz leków stosowanych poza zatwierdzonymi wskazaniami. Wszystkie problemy dotyczące zaopatrzenia w leki powinny być rozwiązywane przez farmakologa klinicznego CF, a informacja o tym – przekazana do CF MDT.

Farmakolog kliniczny CF może współpracować z działem badań i rozwoju CF oraz asystować w procesie indywidualnego refundowania leku lub składania prośby o indywidualne sprowadzenie leku w przypadku, gdy nie istnieje program aktualnie finansujący takie leczenie.

8.2.2. Ustalenie listy leków/zebranie wywiadu

Farmakolog kliniczny CF jest odpowiedzialny za ustalenie listy leków w momencie przyjęcia do szpitala/przekazania z innego ośrodka oraz w momencie wypisu, w tym leków alternatywnych wydawanych bez recepty, leków w trakcie badań oraz leków przyjmowanych z powodu innych chorób. Powinien upewnić się, że przebieg choroby został dokładnie zapisany i obejmuje wcześniej obserwowane reakcje alergiczne/działania niepożądane leków.

8.2.3. Monitorowanie przepisywania leków i przegląd leków

W czasie monitorowania i przeglądu leków pacjenta farmakolog kliniczny CF powinien upewnić się, że lek i jego postać są odpowiednio dobrane do pacjenta, nadzorować przedłużone stosowanie leków pod kontrolą innych pracowników

służby zdrowia, w tym innych farmaceutów oraz sprawdzić możliwe interakcje lekowe. Farmakolog kliniczny CF jest odpowiedzialny również za upewnienie się, że recepty wypełnione są prawidłowo i czytelnie oraz sprawdzenie możliwych błędów.

8.2.4. Identyfikacja czynników ryzyka dla pacjenta i leku

W zakresie odpowiedzialności farmakologa klinicznego CF należy upewnienie się, że podczas przepisywania leku wzięto pod uwagę wiek pacjenta, ciążę lub karmienie piersią oraz niewydolność narządów, a także sprawdzenie odpowiedzi na wcześniejsze i obecne leczenie. Pod uwagę należy wziąć także terapie bezlekowe oraz leczenie uzupełniające.

8.2.5. Zapobieganie, wykrywanie i zgłaszanie działań niepożądanych związanych z lekiem

Farmakolog kliniczny CF powinien udokumentować i zgłosić odpowiednim władzom krajowym wystąpienie każdego zdarzenia niepożądanego w przypadku nowszych leków oraz każdego poważnego zdarzenia niepożądanego powszechnie uznanych leków. Obejmuje to dokumentowanie indywidualnych reakcji toksyczności/ alergii/nadwrażliwości oraz przeciwwskazań i monitorowanie wszelkich działań niepożądanych. W celu zminimalizowania ryzyka wystąpienia zdarzeń niepożądanych należy odpowiednio stosować, przechowywać oraz wyrzucać leki.

8.2.6. Indywidualizacja leczenia i dawkowania

Celem farmakologa klinicznego CF powinno być w miarę możliwości zmaksymalizowanie działania leczniczego przy zminimalizowaniu ryzyka zdarzeń niepożądanych leku. Wymagane są również monitorowanie leczenia konkretnymi lekami (np. aminoglikozydy, azole) zgodnie z indywidualnymi zmiennymi farmakokinetyki oraz monitorowanie i kontrola wyników potrzeby stosowania leku przez pacjenta. W czasie optymalizacji leczenia farmakolog kliniczny CF powinien wziąć pod uwagę również życzenia i styl życia pacjenta.

Farmakolog kliniczny CF powinien na bieżąco uzupełniać swoją wiedzę na temat nowo dostępnych leków i terapii (np. nowe wziewne leki przeciwbakteryjne) oraz ustalić ich miejsce w schemacie leczenia.

8.2.7. Edukacja i poradnictwo dla pacjentów i opiekunów

Farmakolog kliniczny CF odgrywa ważną rolę w odpowiedniej edukacji pacjentów i poradnictwie, zapewniając tym samym bezpieczne i skuteczne leczenie. Edukacja może obejmować ulotki informacyjne dla pacjentów dotyczące leku i innych odpowiednich metod poprawiających skuteczność leczenia. Farmakolog powinien wraz z pacjentem/opiekunem stworzyć również plan w celu uzyskania najlepszej możliwej zgodności z leczeniem.

8.2.8. Ocena stosowanego leku

Pozakliniczne obowiązki farmakologa klinicznego CF obejmują raportowanie finansów dotyczących zużycia leków na CF do CF MDT, zarządu szpitala i innych odpowiednich władz. Powinien kontrolować wytyczne leczenia, nowe leki oraz przebieg leczenia domowego.

9. Ramy opieki psychosocjalnej

Życie z CF dostarcza wielu wyzwań pacjentom i ich rodzinom. Centrum CF powinno zapewniać odpowiednią opiekę psychosocjalną oraz wsparcie, by pomóc osobie z CF i jej rodzinie sprostać tym wyzwaniom. W celu zapewnienia optymalnej opieki centra CF potrzebują wielodyscyplinarnych ram, w tym dostępu do pracowników psychosocjalnych przez całe życie pacjenta. Podstawowymi dostępnymi pracownikami psychosocjalnymi powinni być: (i) psycholog kliniczny; (ii) pracownik socjalny – choć akceptowalne są różne warianty tych stanowisk pod warunkiem, że mają podstawowe kompetencje (patrz niżej). Pracownicy psychosocjalni powinni być kompetentni w następujących dziedzinach: praca z dziećmi, rodzinami i dorosłymi zgodnie z potrzebami konkretnego centrum CF, praca z pacjentami prezentującymi szeroki wachlarz objawów klinicznych choroby oraz opieka nad pacjentem z CF na każdym etapie, w tym nad pacjentami ambulatoryjnymi, pacjentami hospitalizowanymi, opieka w środowisku i w miejscu zamieszkania.

Różnorodność potrzeb pacjentów i dostępność specjalistycznej wiedzy w centrum CF uniemożliwiają stworzenie jednego programu.

Opieka psychosocjalna powinna iść w parze z rozwojem pacjenta: od niemowlęcia, poprzez małe dziecko, okres dorastania, młodość, dorosłość aż do starości. W każdym z tych okresów istnieją związane z wiekiem zagadnienia, jak również zagadnienia związane z CF [69, 70] (Tabela III). Kluczowe okresy to czas w okolicy ustalenia rozpoznania [71], okres przejścia do centrum dla dorosłych [19, 72–76] oraz przejście pod opiekę terminalną lub transplantacyjną [77, 78]. Sam przebieg choroby również stwarza potrzebę większego wsparcia psychosocjalnego, na przykład w momencie diagnozy, pierwszej infekcji *P. aeruginosa*, pierwszej hospitalizacji, zdiagnozowania związanej z CF

cukrzycy, konieczności żywienia przez gastrostomię, suplementacji tlenu, nieinwazyjnej wentylacji oraz oceny przed transplantacją płuc. Pracownicy psychosocjalni powinni zostać włączeni do opieki wielodyscyplinarnej na każdym z tych etapów (Tabela III).

9.1. Pracownik socjalny CF

9.1.1. Rola

Pracownik socjalny CF dysponować powinien specjalistyczną wiedzą dotyczącą pomagania pacjentom i rodzinom w ich potrzebach emocjonalnych i praktycznych oraz wspierania pacjentów i rodziny w radzeniu sobie z CF na różnych etapach rozwoju i nasilenia choroby. Pracownik socjalny CF powinien stanowić pomost pomiędzy życiem w szpitalu i życiem w domu i współpracować z lokalnymi ośrodkami wsparcia, by ich usługi były dla pacjenta dostępne.

Pracownik socjalny CF jest aktywnie włączony w różne etapy przejścia, w tym przejście pod opiekę dla osób dorosłych oraz pod opiekę transplantacyjną (Tab. III).

Pracownik socjalny CF dysponuje wiedzą, która uzupełnia wiedzę psychologa klinicznego CF.

Pracownik socjalny CF musi umieć ocenić potrzeby praktyczne i oraz oferować usługi dostępne w kraju pacjenta. Konieczna jest aktualna wiedza dotycząca systemu świadczeń i zasiłków w kraju. Pracownik socjalny CF musi współpracować z innymi placówkami (np. firmami ubezpieczenia zdrowotnego, zasiłku rodzinnego, placówkami opieki społecznej, administracją szpitala, szkołą, stowarzyszeniami dla pacjentów z CF) i przemawiać w imieniu pacjenta i jego rodziny. Pracownik socjalny CF musi dysponować wiedzą dotyczącą zagadnień edukacji i kariery w kraju przebywania pacjenta. Powinien potrafić wdrożyć procedury ochrony dziecka oraz upewnić się o skutecznym dzieleniu się informacjami i współpracy z władzami lokalnymi, jeśli to konieczne. Wizyty domowe mogą w znacznym stopniu

Tabela III – Przykłady ważnych zdarzeń w życiu, gdy wsparcie psychosocjalne pacjentów z mukowiscydozą jest nieodzowne

Table III – Examples of important life events where psychosocial support is crucial in people with cystic fibrosis

Okres dzieciństwa	Okres dorastania	Okres dorosłości
Rozpoczęcie przedszkola/opieki dziennej	Rozpoczęcie szkoły średniej	Rozpoczęcie studiów
Rozpoczęcie szkoły	Bycie nastolatkiem z CF	Rozpoczęcie pracy
Pierwsza świadomość bycia innym	Pierwszy związek	Początek długotrwałego związku
Problemy z jedzeniem	Pierwsze doświadczenia seksualne	Rodzicielstwo
Problemy ze snem	Śmierć przyjaciela z CF	Śmierć przyjaciela z CF
Problemy z zachowaniem	Problemy z zachowaniem	Problemy z zachowaniem
(np. nieprzestrzeganie zaleceń)	(np. nieprzestrzeganie zaleceń)	(np. nieprzestrzeganie zaleceń)
Przykłady kluczowych stadiów medycznych		
Diagnoza CF	Zdiagnozowanie niepłodności	
Pierwsza infekcja <i>Pseudomonas</i>	Leczenie niepłodności	
Pierwszy epizod alergicznej aspergilozy oskrzelowo-płucnej	Świadomość nasilającej się choroby	
Założenie gastrostomii	Przejście do centrum dla dorosłych	
Rozpoznanie związanej z CF cukrzycy	Przejście pod opiekę transplantacyjną	
Pierwszy incydent krwiotłucia i inne powikłania	Przejście pod opiekę terminalną	
Zależność od tlenoterapii	Transplantacja	

CF – mukowiscydoza

wpłynąć na poprawę opieki i powinny być dostępne w razie potrzeby.

9.1.2. Rozwój zawodowy

Pracownik socjalny CF powinien na bieżąco śledzić zmiany w obrębie systemu opieki zdrowotnej, zagadnień dotyczących finansowania i zasiłków, zagadnień edukacji i pracy oraz zagadnień dotyczących dobrobytu pacjenta i rodziny. Pracownik socjalny CF powinien stale edukować się w zakresie CF. Powinien regularnie uczestniczyć w konferencjach krajowych i międzynarodowych, by uaktualniać wiedzę o CF i nowych odkryciach naukowych.

9.2. Psycholog kliniczny CF

W czasie swego życia pacjenci z CF muszą nabyć szczególnych, związanych z CF zachowań zdrowotnych równoległe z normalnym rozwojem. Psycholog kliniczny CF może pomóc pacjentom i rodzinom z tym wyzwaniem i wspierać ich w życiu z CF i leczeniu.

9.2.1. Rola

W odniesieniu do pacjenta i rodziny, kluczowymi działaniami psychologa klinicznego CF są ocena i interwencja w przypadku trudności emocjonalnych, psychologicznych lub z zachowaniem, w razie konieczności stosowanie leczenia opartego na faktach i kierowania do innych placówek, jeśli to konieczne. Psycholog kliniczny CF jest odpowiedzialny za pracę psychologiczną w centrum CF. Powinien pracować z pacjentami ambulatoryjnymi, jak również z pacjentami hospitalizowanymi. Zagadnieniami życia codziennego wymagającymi opieki psychologicznej są problemy z przestrzeganiem zaleceń, problemy z jedzeniem, niepokój i depresja, zniechęcenie, ból, fobie i sen.

Psycholog kliniczny CF może korzystać z technik mediacji w czasie pracy z innymi członkami CF MDT. Dodatkowo, psycholog kliniczny CF powinien udzielać konsultacji i nadzorować innych członków CF MDT w ich pracy z pacjentami i wspierać innych pracowników z radzeniem sobie z „pracą z CF”.

Psycholog kliniczny CF musi być zarejestrowany w odpowiednim urzędzie. Powinien posiadać specjalizację z zakresu psychologii klinicznej dzieci/młodzieży lub dorosłych, jak również z psychologii systemowej oraz z zakresu smutku i żałoby. Psycholog kliniczny CF musi umieć stosować techniki terapeutyczne o udowodnionej skuteczności u pacjentów z CF i ich rodzin. Obejmują one na przykład techniki (poznawczo) behawioralne [79, 80] i wywiad motywujący [81]. W końcu, psycholog kliniczny CF powinien dysponować aktualną wiedzą z zakresu zagadnień psychologicznych w CF, w tym przestrzegania zaleceń, samodzielności i samoopieki, wpływu przewlekłej choroby na rozwój indywidualny, wpływu choroby przewlekłej na życie rodzinne i społeczne, zagadnienia dotyczące okresu schyłku życia i opieki paliatywnej. Psycholog kliniczny CF powinien posiadać lub zdobyć, umiejętności i doświadczenie w przeprowadzaniu badań psychologicznych, których celem jest poprawa opieki nad pacjentami i poprawa zrozumienia zagadnień psychologicznych związanych z CF.

9.2.2. Rozwój zawodowy

Psycholog kliniczny CF powinien stale rozwijać się zawodowo, w niektórych krajach jest to warunek corocznej rejestracji. Psycholog kliniczny pracujący w centrum CF powinien stale dokształcać się z zakresu medycznych aspektów CF jak również z zakresu zdrowia psychicznego. w niektórych krajach, jak na przykład Wielka Brytania, istnieje organ krajowy ds. specjalistów psychospołecznych i członkostwo w nim jest obowiązkowym wymogiem pracy w zespole CF. Psycholog kliniczny CF powinien regularnie brać udział w konferencjach krajowych i międzynarodowych, by rozwijać wiedzę o CF i mieć świadomość nowych odkryć naukowych.

9.3. Możliwości i wymogi opieki psychologicznej

Psycholog kliniczny CF i pracownik socjalny CF potrzebują odpowiedniej ilości czasu, przestrzeni i udogodnień oraz wsparcia i szacunku ze strony CF MDT. Pracownik socjalny CF oraz psycholog kliniczny CF często muszą pozostawać w stałym kontakcie z pacjentami i ich rodzinami pomiędzy wizytami w szpitalu i dlatego potrzebują dostępu do współczesnych mediów (np. mail, telefon, fax). Potrzebują również aktualnego interaktywnego systemu umożliwiającego skierowanie pacjenta do zewnętrznych specjalistów i instytucji psychospołecznych w celu zapewnienia opieki psychospołecznej/ psychiatrycznej dostosowanej do konkretnego problemu (np. w przypadku deficytów uwagi, nadreaktywności lub autyzmu) w miejscu zamieszkania pacjenta.

Psycholog kliniczny CF i pracownik socjalny CF muszą uczestniczyć i brać aktywny udział w spotkaniach CF MDT, podejmowaniu decyzji i konsultacjach pacjentów.

10. Ramy genetyki klinicznej

Genetycy kliniczni, specjaliści genetyki molekularnej oraz konsultanci ds. genetyki odgrywają coraz istotniejszą rolę w złożonej diagnostyce i leczeniu CF, szczególnie w obszarze diagnozy choroby, decyzji co do prokreacji oraz oceny wariantu genu CFTR poprzez sekwencjonowanie DNA. Co więcej, genetyk kliniczny ocenia sprężenie genów poprzez analizę segregacyjną rodziny i upewnia się, że allele złożone (które mogą być powiązane z różnymi fenotypami CF) nie zostały nierozpoznane lub błędnie rozpoznane.

Konsultant ds. genetyki lub genetyk kliniczny udziela konsultacji dotyczących opcji reprodukcji rodzinom, w których jest dziecko ze świeżo zdiagnozowaną CF, oraz dorosłym pacjentom i pomaga zidentyfikować członków rodziny pozostających w grupie ryzyka, spokrewnionych genetycznie z pacjentem.

Genetyk kliniczny, pracując w centrum CF, koordynuje również proces wpisywania danych do specjalistycznego rejestru (np. Rejestr ECFS) oraz zgłaszanie wykrytych mutacji genu CFTR do bazy danych mutacji genu CFTR (Cystic Fibrosis Mutation Database; CFTR1), która służy jako baza danych specyficzna dla locus genu opisująca mutacje i warianty w skali światowej oraz do interaktywnej bazy *Clinical and Functional Translation of CFTR*, dostępnej online

(CFTR2) w celu obiektywnego potwierdzenia, że przyczyną choroby jest zidentyfikowany wariant genu CFTR.

Jeśli rozważa się terapię modulującą CFTR, genetyk kliniczny jest odpowiedzialny za laboratoryjną weryfikację genotypu CFTR u zakwalifikowanych pacjentów (optymalnie poprzez pobranie niezależnej próbki i sekwencjonowanie DNA), zaś badania laboratoryjne powinny być wykonane w akredytowanym laboratorium działającym wg systemu ISO 15189, w którym zapewniony jest odpowiedni czas od momentu dostarczenia próbki do wydania wyniku.

11. Ramy gromadzenia danych

CF to wieloukładowa, różnorodna klinicznie choroba, o bardzo różnym przebiegu pomimo jednego jej źródła. Choć wersja fenotypu zależna jest od genotypu, rodzeństwo o tym samym genotypie wykazuje się różnym przebiegiem choroby, co sugeruje wpływ innych czynników, takich jak modyfikatory modulujące, środowisko, mikrobiom dróg oddechowych, klasa społeczna, płeć, dostęp do leczenia i stosowanie się do zaleceń [82]. Gromadzenie danych na szczeblu krajowym i międzynarodowym pozostaje kluczowym procesem wspomagającym zrozumienie epidemiologii i przebiegu klinicznego choroby. Jedynie poprzez precyzyjne gromadzenie danych można zidentyfikować progresję choroby, przebieg kliniczny, czynniki ekonomiczne i potrzebę zmiany [7].

Wysokiej jakości dane mogą zostać również wykorzystane przez decydentów w celu skoncentrowania się na przyszłych, priorytetowych strategiach i interwencjach.

CF to stosunkowo rzadka choroba o niewielkiej liczbie pacjentów. Gromadzenie danych z pojedynczej instytucji ogranicza poziom, na którym można przeprowadzać badania kliniczne i translacyjne, a ich wyniki nie obejmują istotnej różnorodności geograficznej [83]. Dlatego jest to bardzo ważne, by zarówno małe, jak i duże centra CF zgłaszały swoje dane co najmniej raz w roku do krajowych lub europejskich rejestrów CF, aby mieć pewność, że zebrane zostaną dane długookresowe.

Rejestr służy także jako monitor wyników pojedynczego centrum, stając się dodatkowym narzędziem pozwalającym na upewnienie się, że utrzymane są odpowiednie standardy opieki. Pracownicy służby zdrowia mogą uważać, że gromadzenie i wprowadzanie danych do bazy rejestru jest pracochłonne i czasochłonne. Należy jednak postarać się wprowadzić jedynie dane o wartości predykcyjnej i upewnić, że można zaktualizować dane poprzez bezpieczny i intuicyjny interfejs. Fundatorzy muszą upewnić się, że większe centra CF mają możliwość zatrudnienia urzędnika lub innej osoby, do której obowiązków będzie należało wprowadzanie danych do bazy. By była wartościowa, taka osoba musi mieć istotny dostęp do struktury zarządzania, jej głos musi się liczyć i może ona wpisywać dane o najwyższym standardzie.

Międzynarodowa społeczność CF powinna wprowadzić standardowy system kodowania. Stworzenie jednorodnej terminologii klinicznej i klasyfikacji choroby poprzez system kodowania pozwoliłyby na mapowanie i przekazywanie danych klinicznych pomiędzy rejestrami, tak samo jak

innych danych. Zmiany mogłyby pozwolić na stworzenie wspólnego języka cyfrowego umożliwiającego efektywną współpracę międzynarodową i zniósłby kluczowe bariery łączności elektronicznej.

Do tej potrzeby należy odnieść się pilnie, ponieważ nowa era informatyki medycznej i elektronicznych baz zdrowia jest tuż przed nami. Służba zdrowia zaczęła z powodzeniem wdrażać elektroniczne bazy danych pacjentów, które automatycznie zbierają dane i mają potencjał zasilania dużych rejestrów danych na poziomie krajowym i międzynarodowym. W Europie przyjęto standard zwany XML, jako pierwszy krok do ujednoczenia danych z rejestrów krajowych. Niemal wszystkie organizacje krajowe podążają za tym standardem, ale jest to tylko pierwszy krok w kierunku standaryzacji przesyłania danych; jeśli zgromadzone dane nie spełniają wspólnych, jednoznacznych definicji, format XML nie może ich skorygować. Dlatego tak istotne jest stworzenie wspólnych definicji i systemu kodowania w rejestrach krajowych i pojedynczych, indywidualnie raportujących centrach.

Komisja Europejska zdecydowała o rozpoczęciu finansowania Europejskiej Platformy Rejestracji Chorób Rzadkich, która będzie zapewniać usługi i narzędzia dla obecnych i przyszłych rejestrów chorób rzadkich – zgodnie z Rekomendacją Rady na rzecz działania na polu chorób rzadkich (2009/C 151/02).

Połączenie to zmaksymalizuje korzyści pacjenta przy minimalnych wydatkach, co jest kluczowe, jeśli weźmie się pod uwagę trudną sytuację finansową służby zdrowia. Wprowadzenie struktury szczegółowo kodowanego rejestru może dodatkowo zmniejszyć koszty i zwiększyć wydajność [84, 85]. Należy uczynić najlepszy możliwy użytek ze zgromadzonych i przechowywanych we wszystkich europejskich i/lub międzynarodowych bazach danych i należy rozwinąć inteligentne drogi wymiany lub wyszukiwania danych.

Rejestry nie znikną – powinny być postrzegane jako kluczowa część postępowania w chorobach przewlekłych.

12. Wyzwania związane z rozwojem usług medycznych w krajach o niskim dochodzie

Celem wytycznych ECFS dotyczących standardów opieki jest poprawa jakości opieki nad pacjentami z CF i ustanowienie najlepszej praktyki w całej Europie. Natychmiastowe wprowadzenie tych wytycznych może być trudne w krajach o niższym dochodzie, gdzie usługi CF są niedostępne lub nieadekwatne. W projekcie Działań Koordynacyjnych 6. Programu Ramowego Komisji Europejskiej EuroCare CF zidentyfikowano obecne głębokie różnice w standardach opieki w Europie, przy czym niektóre kraje Europy Wschodniej oferują bardzo podstawowe usługi dotyczące CF lub nie oferują ich w ogóle [7]. Prawdopodobną przyczyną tak znacznych nierówności jest brak odpowiedniego finansowania, brak personelu i szkoleń oraz brak priorytetyzacji politycznej.

Aktualna sytuacja w Europie Wschodniej była oceniona na podstawie odpowiedzi do kwestionariusza przeprowadzonego do większości krajów wschodnioeuropejskich przez Komitet ds. Standardów Opieki ECFS.

Celem była ocena:

- minimalnej liczby pacjentów będących pod opieką centrów CF w Europie Wschodniej;
- krajowej siatki Centrów CF;
- składu CF MDT oraz współpracy między centrami dla dzieci i dla dorosłych.

Na każde pytanie odpowiadano na podstawie aktualnej sytuacji w kraju i w odniesieniu do Standardów Opieki ECFS [4]. Odsetek odpowiedzi wynosił 44% (7/16: Czechy, Węgry, Łotwa, Polska, Serbia, Słowacja, Ukraina). Główne obserwacje opisano dalej. Pomimo że liczba pacjentów na centrum wynosiła poniżej 50 w niektórych krajach wschodnioeuropejskich, wymóg minimalnej liczby pacjentów wynoszącej 50 zdaje się być celem osiągalnym. Władze popierały scentralizowaną opiekę nad pacjentami z CF w jedynie trzech z siedmiu krajów wschodnioeuropejskich. Uzgodniono, że pediatra/pulmonolog, fizjoterapeuta i specjalista pielęgniarstwa CF są podstawowymi członkami zespołu. W wielu centrach CF brak jest zatrudnionego na pełnym etacie specjalisty pielęgniarstwa CF, dietetyka, mikrobiologa, psychologa, pracownika społecznego czy wsparcia ze strony sekretarki. W dwóch krajach, które wypełniły kwestionariusz, nie nawiązano współpracy pomiędzy centrami dla dzieci i dla dorosłych. Co ważne, wszystkie kraje europejskie powinny dążyć do wprowadzenia najlepszej praktyki zgodnej z zaleceniami ECFS. Podejście stopniowe może okazać się konieczne w niektórych krajach o niższych dochodach, gdzie nie stworzono systemu odpowiedniej opieki i CF MDT w zasadzie nie istnieje. Na przykład rozpoczęcie od rekrutacji podstawowych pracowników (lekarzy, pielęgniarek, fizjoterapeutów) może być najodpowiedniejszym pierwszym krokiem na drodze do stworzenia opieki spełniającej wszystkie standardy ECFS. Nie może być dłużej akceptowany fakt tak dużej różnicy w przeżywalności pacjentów z CF w krajach europejskich i należy podjąć każdy wysiłek w celu ujednoczenia opieki na najwyższym poziomie.

Opieka nad pacjentami z CF w krajach o niskim dochodzie powinna zostać scentralizowana w dobrze rozwiniętych centrach CF, które gwarantują odpowiedni poziom złożonej opieki dla pacjentów pediatrycznych i dorosłych.

Centrum powinno mieć pod opieką co najmniej 100 pacjentów, choć liczba 50 pacjentów przez pewien czas może być akceptowalna. Z powodu ograniczeń finansowych i kadrowych we wschodniej Europie wspólna opieka z miejscowymi szpitalami nie wydaje się najlepszym modelem opieki. Należy skierować środki na stworzenie najnowocześniejszej opieki nad pacjentami z CF na szczeblu krajowym poprzez rozwój specjalistycznych Centrów CF przy dużych szpitalach, a gdzie to możliwe, przy szpitalach uniwersyteckich. Wymogi dotyczące minimalnego zatrudnienia w specjalistycznym zespole CF obejmują: lekarza i specjalistę pielęgniarstwa (jeden dla dzieci i dorosłych w przypadku centrów oferujących opiekę wszystkim grupom wiekowym) oraz specjalistę fizjoterapii. Celem jest stworzenie zespołu obejmującego mikrobiologa, dietetyka, psychologa, pracownika socjalnego i genetyka klinicznego. W chwili obecnej brak tych specjalistów nie powinien opóźnić utworzenia regionalnych centrów CF. Ich rolę czasowo mogą pełnić konsultanci, którzy zostaną dopuszczeni do usług CF,

nawet jeśli pierwotnie nie mieli być włączeni do zespołu CF i stąd nie są w stanie np. uczestniczyć w regularnych spotkaniach CF MDT.

13. Perspektywa europejskich stowarzyszeń CF

13.1. Funkcja i rola krajowych organizacji pacjentów z CF w Europie

Większość krajów europejskich ma własne krajowe organizacje pacjentów z CF. Różnią się one rozmiarami i metodologią, ale mają jedną wspólną cechę: walczą w imieniu pacjentów z CF, w najszerszym znaczeniu tego słowa. Pracują z wolontariuszami, którzy często są ekspertami z zakresu CF, choć nie muszą być związani ze służbą zdrowia. W Europie organizacje rozwijają swoje własne wewnętrzne kompetencje i zatrudniają profesjonalistów, na przykład z zakresu opieki zdrowotnej, badań naukowych, komunikacji, gromadzenia funduszy, przedstawiania informacji, oraz prawnych i psychospołecznych aspektów CF. Celem organizacji jest wsparcie pacjentów i ich rodzin, tak indywidualnie jak i grupowo, oraz ustalenie programu badań, finansowanie badań naukowych i badanie jakości opieki zdrowotnej. Często są bardzo zaangażowane w utworzenie i stosowanie się do wytycznych dotyczących diagnostyki i leczenia CF.

Krajowa organizacja CF może odgrywać ważną rolę dla krajowego rejestru CF. Wiele z takich organizacji pomagało utworzyć te rejestry i nadal je wspiera i finansuje. W wielu krajach organizacje CF ogrywają rolę w tworzeniu i organizacji siatek badań i programów poprawy jakości opieki zdrowotnej dla osób z CF.

Gromadzenie funduszy jest ważnym warunkiem wstępnym umożliwiającym organizacjom osiągnięcie powyższych celów. W ciągu ostatnich kilku lat organizacje CF w krajach, takich jak Wielka Brytania, Niemcy, Belgia, Francja, Włochy i Holandia, zainwestowały miliony euro w badania naukowe i jakość opieki zdrowotnej. W rezultacie w sposób istotny przyczyniły się do rozwoju obserwowanego na wielu polach opieki zdrowotnej związanej z CF.

Uczestnictwo pacjentów to ważna część pracy osiąganego przez organizacje pacjentów, ponieważ to właśnie perspektywa pacjentów może i powinna być wyrażana przez krajowe organizacje CF.

13.2. Organizacje krajowe

Krajowe organizacje CF są odpowiedzialne za szerzenie informacji. Materiały dostępne dla pacjentów i ich rodziców/opiekunów często tworzone są we współpracy z centrum CF i odnoszą się do wszystkich aspektów życia z CF: diagnostyki, leczenia, dorastania z CF, wychowywania dziecka z CF, chodzenia do szkoły z CF oraz budowania własnego życia z CF. Krajowe grupy CF powinny ściśle współpracować z centrum przy organizacji opieki zdrowotnej, współpraca ta może wyglądać różnie w różnych krajach. Jednakże, w każdym przypadku, przedstawiciele centrów powinni być obecni podczas spotkań rady doradczej ds medycznych i rady naukowej.

Organizacje CF powinny organizować spotkania dla rodziców i, przy użyciu technologii informacyjnej (by zabezpieczyć się przed infekcjami krzyżowymi), dla samych pacjentów. E-zdrowie ma wiele zalet – to podejście jest obecnie badane i rozwijane.

Organizacje CF to oczywiste strony reprezentujące i chroniące interesy pacjentów i ich rodziców/opiekunów, na przykład poprzez wspieranie dostępności nowych leków, zabezpieczenie refundacji leków i dostęp do opieki medycznej wysokiej jakości. Organizacje CF powinny lobbować i wywierać nacisk na władze, rząd i towarzystwa ubezpieczeniowe. Powinny również organizować kongresy, sympozja i inne spotkania (we współpracy z lub pod nadzorem organizacji zdrowotnych), podczas których omawiane są konkretne (naukowe) zagadnienia dotyczące CF.

Organizacje pacjentów CF nie są stowarzyszeniami medycznymi, jednak ze względu na ścisłą współpracę z centrami CF nabrały wiele doświadczenia z zakres CF. Ważne jest, by centra i organizacje stale wymieniały się informacjami w celu ułatwienia aktywnego rozwoju sektora zdrowotnego i badań naukowych. Ta współpraca pomoże poprawić komunikację z pacjentami, ułatwić ich włączenie do badań naukowych i wpłynąć na sprawność rozwiązywania problemów na szczeblu krajowym.

13.3. Organizacje europejskie

Europejskie organizacje pacjentów CF są zjednoczone w Stowarzyszeniu Europejskim – CF Europa (CFE). Współpraca w Europie staje się coraz istotniejsza, w szczególności dotyczy to dostępu do opieki zdrowotnej, która jest niejednorodna lub wręcz niedostępna w różnych krajach europejskich. W rezultacie stale rozwija się współpraca na polu badań, finansowania badań i gromadzenia funduszy. Współpraca na poziomie europejskim powinna prowadzić do tego, by organizacje CF w krajach, gdzie opieka zdrowotna nad pacjentami z CF jest obecnie na wysokim poziomie, przyjęły odpowiedzialność i zaoferowały swoje kompetencje krajom, w których odpowiednia opieka zdrowotna, dostęp do opieki zdrowotnej i dostępność leków nie są powszechne. Działania te powinny być podejmowane w ścisłej współpracy z centrami CF.

Współpraca poprzez CF Europa ułatwiła skuteczne lobbowanie na poziomie europejskim z uwzględnieniem tematów, takich jak dawstwo organów, dostępność, jakość i możliwości finansowe opieki zdrowotnej.

Kolejnym szczeblem współpracy na poziomie europejskim jest partnerstwo z europejską organizacją wspierającą pacjentów Eurordis, która reprezentuje większość krajowych i miejscowych organizacji chorób rzadkich (w tym CF) pod względem budowania świadomości, dostępu do opieki, polityki refundacyjnej, rozwoju wytycznych europejskich dotyczących gromadzenia funduszy, włączenia sierocych produktów medycznych do leczenia oraz kursów dotyczących różnych aspektów ochrony pacjenta.

Organizacje pacjentów CF coraz lepiej współpracują z ECFS, na przykład uczestnicząc z zarządach Rejestru Pacjentów ECFS i Sieci Badań Naukowych ECFS. Ta ostatnia jest wspierana finansowo przez wiele organizacji pacjentów. Poprzez organizacje pacjentów CF, pacjenci i ich rodzice

stali się bardziej zaangażowani w ocenę protokołów badawczych Sieci Badań Naukowych ECFS.

Konflikt interesu/Conflict of interest

S. Conway, K. De Rijcke, P. Drevinek, J. Foweraker, T. Havermans, H. Heijerman, L. Lannefors, A. Lindblad, M. Macek, S. Madge, M. Moran, L. Morrison, A. Morton, J. Noordhoek, D.Sands, A. Vertommen, i D. Peckham nie podają konfliktu interesów. I. M. Balfour-Lynn deklaruje imienne składki od Vertex, poza złożoną pracą.

Podziękowania/Acknowledgement

Chcielibyśmy podziękować doktorom Preston Campbell, Carla Colombo, Ed McKone, Anil Mehta, Hanne Olesen i Thomasowi Wagnerowi za ich rady oraz pani Tina Payne-Gath za wsparcie administracyjne.

P I Ś M I E N N I C T W O / R E F E R E N C E S

- [1] Dodge JA, Lewis PA, Stanton M, Wilsher J. CF mortality and survival in the UK: 1947-2003. *Eur Respir J* 2007;29:522-526.
- [2] Mahadeva R, Webb K, Westerbeek RC, Carroll NR, Dodd ME, Bilton D. Clinical outcome in relation to care in Centres specialising in cystic fibrosis: cross sectional study. *BMJ* 1998;316:1771-1775.
- [3] Johnson C, Butler SM, Konstan MW, Morgan W, Wohl ME. Factors influencing outcomes in cystic fibrosis. A center-based analysis. *Chest* 2003;123:20-27.
- [4] Kerem E, Conway S, Elborn S, Heijerman H. for the Consensus Committee. Standards of care for patients with cystic fibrosis: a European consensus. *J Cyst Fibros* 2005;4:7-26.
- [5] Bell SC, Robinson PJ. W: Fitzgerald DS, red. *Cystic fibrosis standards of care Australia*. Sydney, NSW: Cystic Fibrosis Australia; 2008.
- [6] Standards for the clinical care of children and adults with cystic fibrosis in the UK. 2nd ed. London: Cystic Fibrosis Trust; 2011. [https://www.cysticfibrosis.org.uk/media/82070/CD_Standards_of_Care_Dec_11.pdf].
- [7] Colombo C, Littlewood J. The implementation of standards of care in Europe: state of the art. *J Cyst Fibros* 2011;10 (Suppl. 2). S7-.
- [8] Loddenkemper R, Haslam PL, Séverin T, Annesi-Maesano I, Chuchalin A, Coles C, et al. European curriculum recommendations for training in adult respiratory medicine: report of the HERMES Task Force. *European Respiratory Society Breathe* 2008;5(1):80-93.
- [9] Madge S, Khair K. Multi-disciplinary teams in the United Kingdom: problems and solutions. *J Pediatr Nurs* 2000;15 (2):131-134.
- [10] Madge SL. National consensus standards for nursing children and young people with cystic fibrosis. *Paediatr Care* 2002;14(1):32-35.
- [11] Geller DE, Madge SL. Technological and behavioural strategies to reduce treatment burden and improve adherence to inhaled antibiotics in cystic fibrosis. *Respir Med* 2011;105(Suppl. 2):S24-S31.
- [12] Madge S. Challenges for nurses. W: Bush A, Alton EWF, Davies JC, Griesenbach U, Jaffe A, reds. *Cystic fibrosis in the*

- 21st century, Progress in respiratory research.. Basel: Karger; 2006. p. 286–292.
- [13] Madge S. Growing up and growing older with cystic fibrosis. *J R Soc Med* 2006;99(Suppl. 46):23–26.
- [14] Bolyard DR. Sexuality and cystic fibrosis. *MCN Am J Matern Child Nurs* 2001;26:39–41.
- [15] Roberts S, Green P. Sexual health of adolescents with cystic fibrosis. *J R Soc Med* 2005;98(Suppl. 45):7–16.
- [16] Arias Llorente RP, Bousoño Garcia C, Diaz Martin JJ. Treatment compliance in children and adults with cystic fibrosis. *J Cyst Fibros* 2008;7:359–367.
- [17] Nasr SZ. Cystic fibrosis in adolescents and young adults. *Adolesc Med* 2000;11:589–603.
- [18] Madge S, Bryon M. A model for transition of care in cystic fibrosis. *J Pediatr Nurs* 2002;17:283–288.
- [19] Flume PA, Taylor LA, Anderson DL, Gray S, Turner D. Transition programs in cystic fibrosis centers: perceptions of team members. *Pediatr Pulmonol* 2004;37:4–7.
- [20] Bryon M, Madge S. Transition from paediatric to adult care: psychological principles. *J R Soc Med* 2001;94(Suppl. 40):5–7.
- [21] Flume PA, Yankaskas JR, Ebeling M, Husley T, Clark LL. Massive hemoptysis in cystic fibrosis. *Chest* 2005;128:729–738.
- [22] Flume PA, Strange C, Ye X, Ebeling M, Husley T, Clark LL. Pneumothorax in cystic fibrosis. *Chest* 2005;28:720–728.
- [23] Mackie AD, Thornton SJ, Edenborough FP. Cystic fibrosis-related diabetes. *Diabet Med* 2003;20:425–436.
- [24] Lowton K. 'A bed in the middle of nowhere': parents' meanings of place of death for adults with cystic fibrosis. *Soc Sci Med* 2009;69:1056–1062.
- [25] Sands D, Repetto T, Dupont LJ, Korzeniewska-Eksterowicz A, Catastini P, Madge S. End of life care for patients with cystic fibrosis. *J Cyst Fibros* 2011;10:S37–S44.
- [26] International Physiotherapy Group for Cystic Fibrosis (IPGCF). Physiotherapy for people with cystic fibrosis: from infant to adult. 4th ed., 2009. [http://www.ecfs.eu/ipg_cf/booklet].
- [27] Darquanne C. Aerosol deposition in health and disease. *J Aerosol Med Pulm Drug Deliv* 2012;25(3):140–147.
- [28] Button BM, Button B. Structure and function of the mucus clearance system of the lung. *Cold Spring Harb Perspect Med* 2013;3(8) [pii: a009720].
- [29] van der Schans CP, Prasad A, Main E. Chest physiotherapy compared to no chest physiotherapy for cystic fibrosis. *Cochrane Database Syst Rev* 2000;2. <http://dx.doi.org/10.1002/14651858.CD001401> [CD001401].
- [30] Lannefors L, Button BM, McIlwaine M. Physiotherapy in infants and young children with cystic fibrosis: current practice and further developments. *J R Soc Med* 2004;97(S44):8–25.
- [31] Main E, Prasad A, van der Schans CP. Conventional chest physiotherapy compared to other airway clearance techniques for cystic fibrosis. *Cochrane Database Syst Rev* 2005;1. <http://dx.doi.org/10.1002/14651858.CD002011>. pub2 [CD002011].
- [32] Elkins M, Jones A, van der Schans CP. Positive expiratory pressure physiotherapy for airway clearance in people with cystic fibrosis. *Cochrane Database Syst Rev* 2006;2. <http://dx.doi.org/10.1002/14651858.CD003147>. pub3 [CD003147].
- [33] Bott J, Blumenthal S, Buxton M, Ellum S, Falconer C, Garrod R, et al. Guidelines for the physiotherapy management of the adult, medical, spontaneously breathing patient. *Thorax* 2009;64(Suppl. 1):i1–i51.
- [34] Morrison L, Agnew J. Oscillating devices for airway clearance in people with cystic fibrosis. *Cochrane Database Syst Rev* 2009;1. <http://dx.doi.org/10.1002/14651858.CD006842>. pub2 [CD006842].
- [35] Holland AE, Button BM. on behalf of the International Physiotherapy Group for Cystic Fibrosis. Physiotherapy for cystic fibrosis in Australia: knowledge and acceptance of the consensus statement recommendations. *Respirology* 2013;18:652–656.
- [36] McKoy NA, Saldanha IJ, Odelola OA, Robinson KA. Active cycle of breathing technique for cystic fibrosis. *Cochrane Database Syst Rev* 2012;12. <http://dx.doi.org/10.1002/14651858.CD007862>. pub3 [CD007862].
- [37] Main E. Airway clearance research in CF: the 'perfect storm' of strong preference and effortful participation in long-term, non-blinded studies. *Thorax* 2013;68:701–702.
- [38] Parasa RB, Maffulli N. Musculoskeletal involvement in cystic fibrosis. *Bull Hosp Jt Dis* 1999;58:37–44.
- [39] Tattersall R, Walshaw MJ. Posture and cystic fibrosis. *J R Soc Med* 2003;96(S43):18–22.
- [40] Nixon PA, Orenstein DM, Kelsey SF, Doershuk CF. The prognostic value of exercise testing in patients with cystic fibrosis. *N Engl J Med* 1992;327:1785–1788.
- [41] Bradley JM, Moran F. Physical training for cystic fibrosis. *Cochrane Database Syst Rev* 2008;1. <http://dx.doi.org/10.1002/14651858.CD002768>. pub2 [CD002768].
- [42] Paranjape SM, Barnes LA, Carson KA, v Berg K, Loosen H, Mogayzel Jr PJ. Exercise improves lung function and habitual activity in children with cystic fibrosis. *J Cyst Fibros* 2012;11:18–23.
- [43] Heijerman HG, Bakker W, Sterk PJ, Dijkman JH. Oxygen-assisted exercise training in adult cystic fibrosis patients with pulmonary limitation to exercise. *Int J Rehabil Res* 1991;14:101–115.
- [44] Henke KG, Regnis JA, Bye PT. Benefits of continuous positive airway pressure during exercise in cystic fibrosis and relationship to disease severity. *Am Rev Respir Dis* 1993;148:1272–1276.
- [45] Holland AE, Denehy L, Ntoumenopoulos G, Naughton MT, Wilson JW. Non-invasive ventilation assists chest physiotherapy in adults with acute exacerbations of cystic fibrosis. *Thorax* 2003;58:880–884.
- [46] Moran F, Bradley JM, Piper AJ. Non-invasive ventilation for cystic fibrosis. *Cochrane Database Syst Rev* 2013;4. <http://dx.doi.org/10.1002/14651858.CD002769>. pub4 [CD002769].
- [47] Moran F, Bradley JM, Boyle L, Elborn JS. Incontinence in adult females with cystic fibrosis: a Northern Ireland survey. *Int J Clin Pract* 2003;57:182–183.
- [48] Prasad SA, Balfour-Lynn IM, Carr SB, Madge SL. A comparison of the prevalence of urinary incontinence in girls with cystic fibrosis, asthma, and healthy controls. *Pediatr Pulmonol* 2006;41:1065–1068.
- [49] Edenborough FP, Borgo G, Knoop C, Lannefors L, Mackenzie WE, Madge S, et al. Guidelines for the management of pregnancy in women with cystic fibrosis. *J Cyst Fibros* 2008;7:S2–S32.
- [50] European Cystic Fibrosis Society. International Physiotherapy Group for Cystic Fibrosis. https://www.ecfs.eu/ipg_cf.
- [51] Morrison L, McIntosh L, Freeman A, on behalf of the Association of Chartered Physiotherapists in Cystic Fibrosis. ACPCF National Audit of Clinical Standards of Care in CF, 2010–2011.
- [52] Pedreira CC, Robert RG, Dalton V, Oliver MR, Carlin JB, Robinson P, et al. Association of body composition and lung function in children with cystic fibrosis. *Pediatr Pulmonol* 2005;39:276–280.
- [53] Yen EH, Quinton H, Borowitz D. Better nutritional status in early childhood is associated with improved clinical outcomes and survival in patients with cystic fibrosis. *J Pediatr* 2013;162:530–535.
- [54] Stern M, Wiedemann B, Wenzlaff P. on behalf of the German Cystic Fibrosis Quality Assessment Group. From registry to quality management: the German Cystic Fibrosis Quality Assessment project 1995–2006. *Eur Respir J* 2008;31:29–35.

- [55] Vieni G, Faraci S, Cillura M, Lombardo M, Traverso G, Cristadoro S, et al. Stunting is an independent predictor of mortality in patients with cystic fibrosis. *Clin Nutr* 2013;32:382–385.
- [56] Zhou J, Garber E, Desai M, Saiman L. Compliance of clinical microbiology laboratories in the United States with current recommendations for processing respiratory tract specimens from patients with cystic fibrosis. *J Clin Microbiol* 2006;44:1547–1549.
- [57] Laboratory standards for processing microbiological samples from people with cystic fibrosis, September 2010. Report of the UK Cystic Fibrosis Trust Microbiology Laboratory Standards Working Group. 1st ed.; September 2010. [https://www.cysticfibrosis.org.uk/media/82034/CD_Laboratory_Standards_Sep_10.pdf].
- [58] Atemwegsinfektionen bei Mukoviszidose. Mikrobiologisch-infektiologische Qualitätsstandards, MiQ 24. Qualitätssicherungskommission der Deutschen Gesellschaft für Hygiene und Mikrobiologie (DGHM); 2006.
- [59] <CB>Cystic Fibrosis Trust. *Pseudomonas aeruginosa* infection in people with cystic fibrosis. Suggestions for prevention and infection control, Report of the UK Cystic Fibrosis Trust Infection Control Group, 2nd ed.; November 2004.
- [60] Cystic Fibrosis Trust. Methicillin-resistant *Staphylococcus aureus* (MRSA). Report of the UK Cystic Fibrosis Trust Infection Control Group; April 2008.
- [61] Cystic Fibrosis Trust. Antibiotic treatment for cystic fibrosis. Report of the UK Cystic Fibrosis Trust Antibiotic Working Group. 3rd ed.; May 2009.
- [62] Saiman L, Siegel J. the Cystic Fibrosis Foundation Consensus Conference on Infection Control Participants. Infection control recommendations for patients with cystic fibrosis: microbiology, important pathogens and infection control practices to prevent patient-to-patient transmission. *Infect Control Hosp Epidemiol* 2003;24:S6–S52.
- [63] Cystic Fibrosis Trust. The Burkholderia cepacia complex. Suggestions for prevention and infection control. Report of the UK Cystic Fibrosis Trust Infection Control Group. 2nd ed., September 2004.
- [64] Redfern J, Webb K. Benefits of a dedicated cystic fibrosis pharmacist. *J R Soc Med* 2004;97(Suppl. 44):2–7.
- [65] Frontini R, Miharija-Gala T, Sykora J. EAHP survey 2010 on hospital pharmacy in Europe: parts 4 and 5. Clinical services and patient safety. *Eur J Hosp Pharm* 2013;20:69–73.
- [66] A spoonful of sugar. Medicines management in NHS hospitals. London: The Audit Commission, 2001. [<http://www.audit-commission.gov.uk/SiteCollectionDocuments/AuditCommissionReports/NationalStudies/nrspoonfulsugar.pdf>].
- [67] European Society of Clinical Pharmacy. Clinical pharmacy overall goal. http://www.escpweb.org/cms/Clinical_pharmacy.
- [68] UKCF Trust. Pharmacy standards of care. <https://www.cysticfibrosis.org.uk/search.aspx?keywords=pharmacy%20standards>, 2011.
- [69] Ernst MM, Johnson MC, Stark LJ. Developmental and psychosocial issues in cystic fibrosis. *Child Adolesc Psychiatr Clin N Am* 2010;19:263–283.
- [70] Oxley H, Webb AK. How clinical psychologist manages the problems of adults with cystic fibrosis. *J R Soc Med* 2005;98 (Suppl. 45):37–46.
- [71] Jedlicka-Köhler I, Götz M, Eichler I. Parents' recollection of the initial communication of the diagnosis of cystic fibrosis. *Pediatrics* 1996;97:204–209.
- [72] Anderson DL, Flume PA, Hardy KK, Gray S. Transition programs in cystic fibrosis centers: perceptions of patients. *Pediatr Pulmonol* 2002;33:327–331.
- [73] Tuchman LK, Schwartz LA, Sawicki GS, Britto MT. Cystic fibrosis and transition to adult medical care. *Pediatrics* 2010;125:566–573.
- [74] Patton SR, Graham JL, Holsclaw Jr D, Varlotta L. Survey of professionals' expectations of developmental task achievement of cystic fibrosis self-care in children. *Pediatr Pulmonol* 2005;40:135–140.
- [75] Towns SJ, Bell SC. Transition of adolescents with cystic fibrosis from paediatric to adult care. *Clin Respir J* 2011;5:64–75.
- [76] Rosen DS. Transition of young people with respiratory diseases to adult health care. *Paediatr Respir Rev* 2004;5:124–131.
- [77] Robinson WM. Palliative and end-of-life care in cystic fibrosis: what we know and what we need to know. *Curr Opin Pulm Med* 2009;15:621–625.
- [78] Sawicki GS, Dill EJ, Asher D, Sellers DE, Robinson WM. Advance care planning in adults with cystic fibrosis. *J Palliat Med* 2008;11:1135–1141.
- [79] Glascoe CA, Quittner AL. Psychological interventions for people with cystic fibrosis and their families. *Cochrane Database Syst Rev* 2008;3 [CD003148].
- [80] Ward CM, Brinkman T, Slifer KJ, Paranjape SM. Using behavioral interventions to assist with routine procedures in children with cystic fibrosis. *J Cyst Fibros* 2010;9: 150–153.
- [81] Duff AJ, Latchford GJ. Motivational interviewing for adherence problems in cystic fibrosis. *Pediatr Pulmonol* 2010;45:211–220.
- [82] Collaco JM, Morrow CB, Green DM, Cutting GR, Mogayzel Jr PJ. Environmental allergies and respiratory morbidities in cystic fibrosis. *Pediatr Pulmonol* 2013;48:857–864.
- [83] Mehta G, Macek Jr M, Mehta A. Cystic fibrosis across Europe: EuroCareCF analysis of demographic data from 35 countries. *J Cyst Fibros* 2010;9(Suppl. 2):S5–S21.
- [84] Shaw N, Peckham D, Conway S, Denton M. Financial savings following the introduction of a cystic fibrosis electronic. *J Cyst Fibros* 2010;9:S116.
- [85] Etherington C, Conway S, Peckham D. The role of electronic patient records (EPR) in improving service efficiency and clinical performance in a regional adult UK centre. *J Cyst Fibros* 2011;10:S96.