

Concluzie: În pofida faptului că pacienta a fost tână, fără patologii concomitente, Pneumonie comunitară severă, primară, stafilococică, complicată cu pleurezie, rezistentă la multe preparate antibacteriene. Acest fapt ne direcționează ca în orice pneumonii severe, bolnavul este strict necesar a fi examinat obligatoriu mai detaliat, în primul rând bacteriologic pentru a stabili etiologia pneumoniei, de examina statutul imun, monitorizarea radiologică să fie efectuată la prima necesitate.

### **Concluzii**

Pneumonie severă pot face indivizii la orice vârstă. Evoluție pneumoniei mult depinde de bolile cronice concomitente, care se acutizează cu mare risc de decompensarea a funcției organului. Intoxicație endogenă compromite imunitatea bolnavului.

De aceea tratamentul în special antibioterapia necesită administrarea preparatelor clasice în asocierea cu alte medicamente antibacteriene, care puțin influențează asupra răspunsului imun a bolnavului.

### **Bibliografie**

1. Anuarul statistic „Sănătatea publică în Moldova”, Centrul Științifico - Practic Sănătate Publică și Management Sanitar, anii 1994-2005.
2. Anuarul statistic „Sănătatea publică în Moldova”, Centrul Științifico - Practic Sănătate Publică și Management Sanitar, anul 2008.
3. Botnaru V. Pneumonia extraspitalicească la adult: recomandări practice. Chișinău, 2004; p.67.
4. Centers for Diseases Control and Prevention. Pneumonia and influenza death rates. United States, 1979-1994. MMWR Morb. Mortal. Wkly. Rep., 1995; 44:535.
5. Mandell L.A., Marrie T.J., Grossman R.F. et al. Canadian guidelines for the initial management of community-acquired pneumonia: an evidence-based update by the canadian infections diseases society and the canadian thoracic society. Clin. Inf. Dis., 2000; 31:383-421.
6. Macfarlane J., Boswell T., Douglas G. et al. British Thoracic Society Guidelines for the management of community acquired pneumonia in adults admitted to hospital. Thorax., 2001;56(suppl. 4):1-63.
7. Mandell L.A., Bartlett J. G., Dowell S.F. et al. Update of practice guidelines for the management of community-acquired pneumonia in immunocompetent adults. Clin. Infect. Dis., 2003; 37:1405-1433.
8. Чучалин А. Синопальников А. Яковлев С. и др. Внебольничная пневмония у взрослых: практические рекомендации по диагностике, лечению и профилактике. Пособие для врачей. Министерство Здравоохранения РФ. Москва, 2005; с. 198.

## **PROBLEMA BOLILOR RARE ALE APARATULUI RESPIRATOR ȘI ALE TEHNOLOGIILOR MEDICALE ORFANE**

**Serghei V. Pisarenco<sup>1</sup>, D. Sain<sup>1</sup>, I. Haidarlı<sup>1</sup>, Sergiu S. Pisarenco<sup>2</sup>,  
Tatiana Gherbiș<sup>2</sup>, Iurie Djugostran<sup>1</sup>**

<sup>1</sup> Institutul de Ftiziopneumologie „Chiril Draganiuc”, <sup>2</sup> USMF „Nicolae Testemițanu”

### **Summary**

#### ***Problem of rare diseases of respiratory organs and the deserted medical technologies***

Definitions of rare diseases are given. Prevalence, medical, psychological and social features of rare diseases, and also the pharmaco-economic characteristic of their treatment are outlined. The measures directed on the decision of a problem of diagnostics, the account and

treatment of rare and orphaned diseases are offered.

### Rezumat

Se prezintă definiția bolilor rare. Este elucidată prevalența, particularitățile medico-psiho-sociale ale bolilor rare, precum și caracteristicile farmaco-economice ale tratamentului acestora. Se propun activități direcționate spre soluționarea problemei diagnosticului, evidenței și tratamentului bolilor rare și orfane.

*„Bolile rare sunt rare până sunt puțin cunoscute”.*

*Prof. Fanconi*

În ultimii ani atenția comunității medicale mondiale este concentrată asupra bolilor rare, cauzele și patogenia cărora continuă să rămână puțin studiate și metodele de tratament – insuficient exploatate. Una din manifestările acestei atenții s-a dovedit a fi marcarea pe 29 februarie 2008 a Zilei Europene a bolilor rare (European Rare Disease Day). Inițiator al inovației – Organizația Europeană de studiere a bolilor rare (EURORDIS – European Organisation for Rare Diseases). Această dată nu a fost selectată accidental, deoarece 29 februarie – „este o zi rară pentru oameni foarte speciali”. În această zi organizațiile, participante la studierea bolilor rare, au realizat acțiuni comunitare în toate țările Uniunii Europene (UE).

Bolile rare pot fi congenitale, cât și câștigate, frecvența cărora nu depășește un anumit nivel stabilit pe cale legală. De exemplu, în țările UE ea nu depășește 5 cazuri la 10 000 de pacienți.

Exemple de boli pulmonare rare pot servi sindromul Goodpasture (1 caz la 2 milioane de populație), proteinoza pulmonară alveolară (1 caz la 1 milion de populație), deficitul de alfa1-antitripsină (1 caz la 3000 de nou-născuți) și fibroza chistică (1 caz la 2000 de nou-născuți).

Actualmente, o listă completă de boli pulmonare rare cu tratament dificil nu există, cu toate că pe siteul [www.orpha.net](http://www.orpha.net), consacrat acestor boli, există o bază de date complexă. Acestea pot fi patologii, care afectează exclusiv plămânii (cum ar fi fibroza pulmonară idiopatică), dar și alte părți ale corpului și/sau organe deopotrivă cu plămânii (de exemplu, sclerodermia).

În timp ce fiecare din aceste boli poate afecta un număr nesemnificativ de persoane, de asemenea boli poate suferi cel puțin 1% din populația țării. În Europa savanții comunică despre circa 30 de milioane de persoane suferinde de boli rare, adică aproximativ fiecare al cincisprezecelea european.

Spre regret, informația epidemiologică accesibilă este inadecvată pentru a caracteriza tabloul clinic exact al majorității bolilor rare. Deseori informația privind numărul de pacienți cu o anumită boală rară nu este reflectată în bazele de date și, drept consecință, este dificilă estimarea prin metode sigure coordonate a numărului de persoane cu o boală rară țara respectivă sau pe scară mondială.

Bolile rare conduc la stări foarte grave, cronice, deseori degenerative și periculoase pentru viață, în jumătate din cazuri instalându-se în copilărie și, de regulă, având un impact grav asupra calității sănătății pacienților:

- la pacienți apare deficiență de autonomie sau pierderea acesteia;
- ei și familiile lor devin vulnerabili și sunt izolați în mod deosebit;
- speranța de viață a pacienților cu boli rare este semnificativ redusă și mulți au dizabilități care devin sursă de discriminare și reduc sau distrug orice oportunități sociale;

Astfel, este încă o denumire asociată cu bolile rare — „boli orfane”.

Pentru majoritatea bolilor rare sunt caracteristice problemele asociate, cum ar fi:

- lipsa calificării medicale pentru confirmarea diagnosticului: perioadă îndelungată de la apariția primelor simptome până la un diagnostic adecvat conduce la rețineri foarte periculoase și inadmisibile, la fel ca și un diagnostic eronat se rezultă cu un tratament neadecvat;

- deficitul de informație: și cu privire la boală nemijlocit și referitor la instituțiile în care

se poate beneficia de o asistență, inclusiv imposibilitatea trimerii la un medic specialist, profesionist competent;

- deficiența de cunoștințe științifice: aceasta conduce la dificultăți de evoluție a tehnicilor terapeutice, de definire a strategiilor terapeutice, la deficitul de produse terapeutice, preparate medicamentoase și de scheme medicale adecvate;

- pentru majoritatea bolilor rare nu există protocol pentru practica clinică;

- lipsa politicilor de sănătate calitative adecvate: pacientul cu diagnosticul confirmat poate supraviețui câțiva ani, rămânând exclus din sistemul de sănătate publică.

- costul înalt al preparatelor orfane existente și al tutelei: cheltuieli financiare suplimentare, eferente din viața cu boală.

Problema persoanelor cu boli rare în unele țări a fost abordată încă în anii '80 ai secolului XX. Astfel, în a. 1983 în S.U.A. în cadrul adoptării actului legislativ „Orphan Drug Act” pentru prima dată apare noțiunea de „boli orfane”. Acest termen cuprindea 1600 de boli rare, cauzele de apariție și tratamentul cărora la acel moment erau puțin studiate. În Japonia în a. 1993 peste 170 de stări patologice au fost definite ca fiind boli orfane și circa 100 – ca posibile orfane.

În deceniile trecute s-au înregistrat și anumite succese în combaterea bolilor orfane. În prezent în Australia, Taiwan, Singapore, S.U.A., Japonia sunt adoptate legi speciale, care stimulează știința și elaborarea de preparate pentru tratamentul bolilor rare. Condiția de conferire a statutului de preparat orfan constă în determinarea numărului de persoane suferinde de boli recunoscute ca fiind rare. În SUA. numărul acestora nu trebuie să depășească 200 de mii de persoane (locuitori ai acestei țări), iar în UE – 228 de mii de persoane. Este de menționat, că în prezent în Uniunea Europeană acest statut este deținut de 450 de preparate medicamentoase.

În numeroase țări ale Europei, în SUA preparatele orfane constituie un segment integrat al pieței farmaceutice, având regulile proprii de producere, înregistrare, suport statal, protecție juridică (brevetară) etc.

Piața preparatelor orfane este unul din cele mai științific intensive și activ evolutive segmente ale pieței farmaceutice mondiale, creșterea rapidă a cărei, cu toate acestea, este influențată de concurența joasă și costul de producție înalt al preparatelor orfane. Una din cauzele mai frecvente a lipsei concurenței poate servi nivelul natural jos al cererii de preparate medicamentoase pentru tratamentul bolilor rare. Mai mult ca atât, promovarea pe piață a preparatelor orfane se asociază pentru companiile farmaceutice cu investiții majore, necesare pentru elaborarea medicamentelor și realizarea cercetărilor clinice. Evident, riscul eferent din aceasta urmează a fi compensat pe contul preferințelor și înlesnirilor [înregistrarea centrală a medicamentului, reduceri de 50-80% pentru taxa de înregistrare și de consultație, regim special pentru protecția proprietății intelectuale (statul timp de 7-10 ani nu înregistrează medicamente similare) și suport financiar direct].

O cauză nu mai puțin importantă – absența abordării studierii eficienței și inofensivității administrării preparatelor orfane, deoarece abordarea obișnuită a cercetărilor pe scară mare și metodic planificate nu sunt acceptabile.

Conform Agenției Medicale Europene (EMA), recent au fost numite companiile pentru dezvoltarea, designul și realizarea cercetărilor clinice ale preparatelor orfane, și s-a adoptat un buget special pentru susținerea elaborărilor de către unele companii farmaceutice mici și medii în domeniul medicamentelor orfane.

Cu toate acestea, persistă problema creării și producerii medicamentelor, practic nesolicitate în țările dezvoltate, dar care au o piață extinsă de desfacere în țările, în care necesitatea în acestea nu este susținută de capacitatea de plată a populației și a guvernelor. În primul rând aceasta se referă la medicamentele antituberculoase<sup>1</sup> și contra infecțiilor tropice în țările sărace.

---

<sup>1</sup> - inclusiv tuberculoza, provocată de micobacterii rezistente la medicamente: Multi Drug-Resistant Tuberculosis, Extensively Drug-Resistant Tuberculosis, Extremely Drug-Resistant, Extensively Drug-Resistant Tuberculosis.

Se presupune, că creșterea permanentă a finanțării elaborării preparatelor orfane va crea condiții favorabile pentru dezvoltarea acestui segment de piață și soluționarea reușită a problemelor combaterii bolilor rare.

În ultimul timp pentru combaterea bolilor rare și orfane adițional la preparatele medicamentoase se mai implementează alte tehnologii medicale (intervenții chirurgicale, etc.), care permit de a proteza completamente sau aproape completamente funcțiile pierdute ale organelor, enzimelor, hormonilor și de a influența radical evoluția bolii. Pentru desemnarea acestor tehnologii necesare vital, fără de care pacientul nu poate viețui sănătos sau cu o calitate de viață decentă, în lume a fost acceptată noțiunea de tehnologii medicale orfane (tab. 1).

*Tabelul 1*

**Tehnologii medicale orfane, care influențează asupra aparatului respirator**

<b>Denumirea tehnologiei medicale</b>	<b>Indicații pentru administrare</b>
Pirfenidon	Tratamentul fibrozei pulmonare idiopatice
Temocilină sodiu	Tratamentul infecției pulmonare, provocate de Burkholderia cepacia, cu fibroză chistică
Tobramicină (praf pentru inhalatii )	Tratamentul infecției pulmonare, provocate de bacilul pioocianic, cu fibroză chistică
Anticorp monoclonal uman contra Pseudomonas aeruginosa serotip O11	Tratamentul pneumoniei, provocate de Pseudomonas aeruginosa, serotip O11
Vaccin modificat recombinat al virusului Ankara care reprezintă antigenul tuberculos 85A	Profilaxia tuberculozei la persoanele vaccinate BCG
(1R,2S)6-brom-alfa-[2-(dimetilamino)etil]-2-metoxi-alfa-(1-naftil)-beta-fenil-3-cvinolinetanol	Tratamentul tuberculozei
N-adamantanil-N'-geranil-etilendiamină	

În contextul celor menționate, se poate conchide, că soluționarea eficientă a problemei bolilor rare și orfane prevede:

a) la nivel statal necesitatea:

- de a modifica substratul ideologic al activităților organelor de stat de control-reglare, când ajutorul statului va merge numai la pacientul care suferă de o boală răspândită;
- de a crea o bază normativă de drept (la nivelul înregistrării, serviciului vamal și distribuirii), pentru definirea regulilor de includere a medicamentelor orfane în formulare, liste, registre;
- de a întocmi lista patologiilor rare (prezentând noțiuni) și lista medicamentelor pentru tratamentul acestora;
- de a stimula producătorii de preparate orfane;
- de a defini canalele livrărilor de stat ale medicamentelor orfane, precum și de repartiție a acestor preparate;
- de a examina problema necesității creării Programului Național interdisciplinar privind bolile rare (această problemă având semnificație medicală, dar și un ecou social).

b) la nivel comunitar oportunitatea:

- asocierii pacienților în organizații comunitare. În numeroase țări în cazul unei activități cunoscute aceste organizații reprezintă o forță importantă. Ele sunt cunoscute de autorități, reprezentanții lor se produc în mijloacele de informare în masă, țin prelegeri, apără interesele pacienților în cadrul elaborării documentelor normative, care reglează politica socială și medicamentoasă. Acum de câțiva ani grupele de pacienți fac parte din Comitetul European al Medicamentului pentru tratamentul bolilor rare (Committee for Orphan Medicinal Products - COMP).

## Încheiere

Spre regret, majoritatea bolilor rare sunt incurabile. Diagnosticul modern oportun și tratamentul corect permite amânarea și minimalizarea manifestărilor clinice și ameliorarea speranței de viață a pacientului suferind.

Pentru majoritatea pacienților cu boli rare sunt caracteristice anumite probleme:

- absența unei informații calitative și a cunoștințelor științifice;
- inaccesibilitatea unui diagnostic corect;
- diagnosticul tardiv;
- absența unei farmacoterapii eficiente și inofensive;
- erori și dificultăți în procesul de tratament și îngrijire;
- consecințe sociale grave și de altă origine pentru pacienți.

Este necesar de menționat, că simptomatologia generală poate masca o boală rară, ceea ce conduce la stabilirea unui diagnostic incorect și, drept consecință, administrarea unui tratament incorect, iar uneori și dăunător. De aceea, suspectarea unei boli rare este oportună în orice afecțiune, când simptomele manifeste nu sunt completamente caracteristice pentru tabloul clinic, când manifestările se instalează atipic la o vârstă tânără sau în cazul în care selectarea tratamentului este imposibilă și boala progresează.

Schimbarea situației privind bolile rare este posibilă ameliorând informarea și atenționând medicii din veriga primară asupra acestei patologii. Ei trebuie fără ezitări să trimită pacienții respectivi la specialist pentru o asistență ulterioară calificată. Este important ca specialiștii, în special, în domeniul medicinei respiratorii să dispună de calificare suficientă pentru, cel puțin, a presupune prezența unei boli rare și a dirija pacientul expertului în această patologie.

## Bibliografie

1. Database of rare diseases at Orphanet. <http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/index.php>.
2. February 29th Is The First Rare Disease Day. Medical News Today. 28 February 2008. <http://www.medicalnewstoday.com/articles/98767.php>. Retrieved on 14 February 2009.
3. Information from the European Organization for Rare Diseases (EURORDIS). [http://www.eurordis.org/rubrique.php3?id\\_rubrique=6](http://www.eurordis.org/rubrique.php3?id_rubrique=6).
4. Rare Diseases: Understanding This Public Health Priority. European Organisation for Rare Diseases (EURORDIS). November 2005. [http://www.eurordis.org/IMG/pdf/princeps\\_document-EN.pdf](http://www.eurordis.org/IMG/pdf/princeps_document-EN.pdf). Retrieved on 16 May 2009.
5. Useful Information on Rare Diseases from an EU Perspective. European Commission. [http://ec.europa.eu/health/ph\\_information/documents/ev20040705\\_rd05\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/health/ph_information/documents/ev20040705_rd05_en.pdf). Retrieved on 19 May 2009.

## PARTICULARITĂȚILE TUBERCULOZEI LA PERSOANE SOCIAL DEZADAPTATE ÎN MUNICIPIUL CHIȘINĂU

**Iuliana Maxian, Eugen Chiforiuc**

(Conducător științific – Aurelia Ustian, dr. conf. univ.)  
Catedra Pneumoftiziologie USMF „Nicolae Testemițanu”

## Summary

### *Tuberculosis peculiarities in social persons without residence*

The data of 95 patients without a residence with pulmonary tuberculosis who have been inregistered last free years in mun.Chisinau have been studied. At 35 (36,8%) diagnosis has been exposed postmortem. From 54 of patients with dilated TB process has been inregistered 63.0% with elimination of bacilli. Pozitive rezults of treatment in 24.2% has been fixed only,