

Makroglobulinemia Waldenstroma

Najczęściej
zadawane pytania





NAJCZĘŚCIEJ ZADAWANE PYTANIA

Wizja IWMMF

Wspieranie wszystkich, których dotknęła makroglobulinemia Waldenstroma, jednocześnie rozwijając poszukiwania leku.

Misja IWMMF

Oferowanie wzajemnego wsparcia społeczności makroglobulinemii Waldenstroma i innym zainteresowanym chorobą.

Przekazywanie informacji i programów edukacyjnych, które są odpowiedzią na problemy pacjentów.

Promowanie i wspieranie badań prowadzących do lepszego leczenia i ostatecznie do wyleczenia.

Opublikowane przez International Waldenström's Macroglobulinemia Foundation (IWMMF)

Niniejsze informacje są przekazane przez IWMMF bez dodatkowych kosztów. Prosimy o rozważenie dołączenia i/lub wsparcia IWMMF, aby umożliwić nam dalsze udostępnianie podobnych materiałów i wspieranie badań nad lepszymi terapiami i lekarstwem na makroglobulinemię Waldenstroma. Możesz do nas dołączyć i/lub wesprzeć nas na naszej stronie, www.iwmmf.com, lub możesz przesłać wsparcie drogą pocztową na adres: 6144 Clark Center Avenue, Sarasota, FL 34238.

IWMMF jest organizacją non-profit zwolnioną z podatku zgodnie z 501(c)(3), NIP 54-

1784426. Prawo autorskie IWMMF, 2019

PRZEDMOWA

Niniejsza wersja z 2019 roku *Najczęściej zadawanych pytań* jest opublikowana przez International Waldenstrom's Macroglobulinemia Foundation (IWMF), organizację non-profit założoną w 1994 roku przez Arnolda Smoklera. Fundacja IWMF została założona, aby oferować wzajemne wsparcie społeczności makroglobulinemii Waldenstroma i innym zainteresowanym chorobą; przekazywać informacje i programy edukacyjne, które dotyczą problemów pacjentów oraz promować i wspierać badania prowadzące do lepszego leczenia i ostatecznie do wyleczenia.

IWMF ma szczęście posiadać takich powierników, takich jak Elena Malunis, Marcia Klepac, Pete DeNardis, Barry Nelson i Linda Nelson, którzy z należytą dokładnością opracowali najczęściej zadawane pytania i odpowiedzi na temat makroglobulinemii Waldenstroma i cierpliwie tworzyli tę czytelną pomoc dla nas.

IWMF wyraża wdzięczność dla dr Roberta A. Kyle, dr Jorge J. Castillo i dr Jeffrey V. Matousa za przeprowadzenie recenzji oryginalnego rękopisu i dr Jorgeowi J Castillo za opinię o aktualizacji.

Prawo autorskie IWFM, 2019

Sfinansowane przez dotację od Pharmacyclics LLC, An AbbVie Company i Janssen Biotech, Inc.



Spis treści

WSTĘP	7
WSTĘPNE KLUCZOWE PYTANIA	7
Czym jest WM?	7
Jaka jest różnica pomiędzy WM a LPL (chłoniakiem limfoplazmatycznym)? Czy są to takie same choroby?	7
Mój lekarz powiedział, że WM jest rzadką chorobą. Jak rzadka jest to choroba? Co to oznacza dla mnie?	7
Czy istnieje lek na WM?	7
Ile pozostało mi lat życia?	7
Czy powinienem/powinnam zasięgnąć dodatkowej opinii? Jeżeli tak to kiedy?	8
Gdzie znaleźć dobrego lekarza, który udzieli dodatkowej opinii?	8
Kiedy rozpocząć leczenie?	8
Jakie sposoby leczenia są zatwierdzone dla WM?	8
PYTANIA OGÓLNE	8
Czy powinienem/powinnam zaszczepić się przeciwko półpaścowi?	8
Czy powinienem/powinnam zaszczepić się przeciwko grypie? Co ze szczepionką w postaci donosowej?	9
Czy powinienem/powinnam zaszczepić się przeciwko zapaleniu płuc?	9
Co zrobić, aby chronić układ odpornościowy?	9
Czy będę mógł/mogła podróżować?	9
Jak często umawiać wizyty z moim hematologiem/onkologiem?	9
INNE PYTANIA O WM	9
Kim był Waldenström? Co oznacza słowo „makroglobulinemia”?	9
Czym jest IgM i jaki ma związek z WM?	9
Co powoduje WM? Czy występują przyczyny środowiskowe?	10
Czym jest IgM MGUS?	10
Czy występują predyspozycje rodzinne do WM? Czy powinienem/powinnam obawiać się, że moje dzieci również zachorują?	10
Czy chorując na WM istnieje większe ryzyko zachorowania na inne nowotwory?	10
Czym są MYD88 i mutacja MYD88, które pojawiają się u chorych na WM?	10
Jakie jest znaczenie mutacji MYD88 L265P w WM?	11
Czy są inne ważne mutacje genowe w WM?	11
PYTANIA O OBJAWY PRZEDMIOTOWE I PODMIOTOWE	11
Jakie są typowe objawy przedmiotowe i podmiotowe WM? Jaki jest związek pomiędzy WM a zmęczeniem?	11
Jakie problemy skórne są powiązane z WM?	11
Co wywołuje nocne pocenie się w WM?	11
W jaki sposób WM może wpływać na moje oczy?	11
Czym jest neuropatia obwodowa? Jakie to uczucie?	12
W jaki sposób leczyć neuropatię obwodową? Czy to się poprawi podczas leczenia?	12

Czym jest zespół nadlepkości krwi? Czym jest plazmafereza? Po co się to robi? Co powinienem/powinnam zrobić przed, w trakcie i po plazmaferezie?.....	12
PYTANIA DOTYCZĄCE DIAGNOSTYKI I BADAŃ	12
W jaki sposób diagnozowane jest WM?.....	12
Czym jest biopsja szpiku kostnego? Na co należy być przygotowanym?.....	13
Jak często należy wykonywać biopsję szpiku kostnego?.....	13
Który pomiar jest bardziej wiarygodny/wartościowy – IgM czy SV (lepkość surowicy)?.....	13
Czy poziomy IgG i IgA są ważnym pomiarem do obserwacji?	13
Jakie są kluczowe wartości liczbowe w badaniu krwi?	13
PYTANIA NA TEMAT LECZENIA	13
Dlaczego znajduję się na liście „obserwuj i czekaj”, a nie jestem w trakcie leczenia, jeżeli choruję na nowotwór?.....	13
Czego można się spodziewać po leczeniu na WM?	14
Co mogę zrobić dla siebie?	14
Czy jest żywność, która wpływa korzystnie lub szkodzi podczas leczenia? Czy istnieją alternatywne sposoby leczenia WM?.....	14
Czy istnieją sposoby leczenia celujące w mutację MYD88 u chorych na WM?	15
Co jeżeli leczenie nie odniesie skutku?	15
Jakie są inne „późne i rzadkie” komplikacje WM?.....	15
Chłoniak rozlany z dużych komórek B	15
Amyloidoza:	15
Krioglobulinemia	15
Hipogammaglobulinemia	15
Zespół Binga-Neela.....	15

WSTĘP

Najczęściej zadawane pytania mają na celu wsparcie dopiero co zdiagnozowanych i starszych pacjentów z makroglobulinemią Waldenstroma (WM) oraz ich opiekunów. Niniejsza broszura zawiera odpowiedzi na najczęściej zadawane pytania dotyczące WM w bardzo czytelnej formie dla osób bez większej wiedzy z zakresu biologii. Chorzy dopiero co zdiagnozowani mogą chcieć przeczytać broszurę od początku do końca, podczas gdy Ci którzy wiedzą więcej o chorobie mogą skupić się na wybranych pytaniach.

Odpowiadanie na pytania dotyczące tej choroby wymaga użycia terminologii, która może być nieznana dla niektórych czytelników. Terminy odnoszące się do WM są zdefiniowane w broszurze, *Terminy i skróty*, które można znaleźć na stronie internetowej fundacji IWMF www.iwmf.com/system/files/WM_Glossary.pdf. Jeżeli czytelnicy mają inne pytania, których nie ma w tej broszurze, lub potrzebują dodatkowego wytłumaczenia wybranego zagadnienia, powinni kierować swoje zapytania do pracownika opieki zdrowotnej.

WSTĘPNE KLUCZOWE PYTANIA

Czym jest WM?

Makroglobulinemia Waldenstroma (WM) jest chłoniakiem lub nowotworem. Występuje w leukocytach nazywanych limfocytami B lub komórkami B, które zwykle dojrzewają w komórki plazmatyczne, których zadaniem jest produkcja immunoglobulin (przeciwciała) pomagających organizmowi w zwalczaniu infekcji. W WM występuje złośliwa zmiana komórki B na późnym etapie rozwoju i trwa jej proliferacja jako klon z identycznymi komórkami, głównie w szpiku kostnym, ale również w węzłach chłonnych i innych tkankach i organach. Znana jest jako chłoniak limfoplazmatyczny (ang. LPL) i powiązana z produkcją białka przeciwciała lub immunoglobuliny znanej jako IgM w celu diagnozy WM.

Jaka jest różnica pomiędzy WM a LPL (chłoniakiem limfoplazmatycznym)? Czy są to takie same choroby? Czasami nazwy WM i LPL (chłoniak limfoplazmatyczny) są używane zamiennie, pomimo że WM jest tak naprawdę LPL. Jednakże, WM stanowi około 90-95% wszystkich chorych na LPL. Komórki nowotworowe LPL mają cechy zarówno komórek limfocytowych B, jak i komórek osocza, stąd nazwa limfoplazmatyczny. Komórki LPL mogą wydzielać przeciwciała immunoglobulin (IgM, IgA, IgG, IgE lub IgD), ale te, które wydzielają IgM nazywają się WM. Obecnie kliniczna nazwa w przypadku LPL z krążącym monoklonalnym IgM to WM. LPL jest terminem opisującym strukturę szpiku kostnego lub węzłów chłonnych używanym przez patologów.

Mój lekarz powiedział, że WM jest rzadką chorobą. Jak rzadka jest to choroba? Co to oznacza dla mnie?

WM jest rzadkim nowotworem diagnozowanym u około 3 do 5 osób na milion rocznie przy około 1500 nowych zdiagnozowanych przypadkach w zeszłym roku w Stanach Zjednoczonych. Schorzenie to jest zależne od wieku i występuje bardzo rzadko u osób poniżej 40 roku życia (mniej niż 1 procent chorych). Zazwyczaj chorzy mają pomiędzy 60 a 70 lat. Z nieznanых powodów WM pojawia się dwukrotnie częściej u mężczyzn niż kobiet oraz częściej u osób rasy białej. Występują predyspozycje rodzinne do WM, przy czym większość badań sugeruje, że około 20-25% chorych ma członka rodziny pierwszego stopnia z WM lub z innymi zaburzeniami komórek B. WM jest rzadką chorobą i jako taka nie generuje wsparcia finansowego do badań, ponieważ nie stanowi zachęty finansowej dla firm farmaceutycznych.

Czy istnieje lek na WM?

Nie, ale jakość życia i przeżywalność chorych na WM stale się poprawia dzięki coraz lepszym sposobom leczenia.

Ile pozostało mi lat życia?

Mimo że WM jest nieuleczalne to w większości przypadków może być skutecznie leczone w celu zapewnienia dobrej jakości życia przez wiele lat. U większości chorych WM jest powolną, przewlekłą chorobą. W badaniach średnia przeżywalność waha się od 5 do 10 lat. Średnia przeżywalność wskazuje, że połowa wszystkich chorych przeżywa od 5 do

10 lat. Kolejnym sposobem na odpowiedź na to pytanie jest spojrzenie na 5-letni wskaźnik przeżywalności. 5-letni wskaźnik przeżywalności wskazuje procent ludzi żyjących przynajmniej 5 lat po wykryciu nowotworu. Procent oznacza ilość na 100. 5-letni wskaźnik przeżywalności chorych na makroglobulinemię Waldenstroma wynosi około 75%. Jednakże, należy zauważyć, że wskaźnik przeżywalności zależy od liczby pojedynczych czynników w tym wieku pacjenta oraz czy ma inne schorzenia. Należy też pamiętać, że statystyki dotyczące wskaźnika przeżywalności chorych na WM są szacunkowe. Wraz z pojawieniem się nowych środków i sposobów leczenia, które są bardziej skuteczne i mniej toksyczne, wydłuża się długość życia chorych. Do głównych powodów śmierci na WM należą postęp choroby, przekształcenie w chłoniaka o wysokim stopniu złośliwości lub komplikacje związane z terapią. Jednakże, ze względu na zaawansowany wiek chorych na WM wielu umrze z powodów niezwiązanych z chorobą.

Czy powinienem/powinnam zasięgnąć dodatkowej opinii? Jeżeli tak to kiedy?

Nowo zdiagnozowani pacjenci lub wymagający leczenia zazwyczaj zasięgają dodatkowej opinii u uznanego specjalisty z zakresu WM lub hematologa/onkologa posiadającego doświadczenie w diagnozie i leczeniu WM. WM jest rzadką chorobą i dlatego wielu hematologów/onkologów może mieć małe doświadczenie w leczeniu chorych na WM. W magazynie fundacji IWMF *Torch* został opublikowany artykuł na ten temat pod tytułem „Czy powinienem/powinnam zasięgnąć dodatkowej opinii” (ang. Should I Get a Second Opinion) napisany przez dr Morie A. Gertz, MACP. Ten artykuł można znaleźć na stronie www.iwmf.com/sites/default/files/docs/publications/Gertz5Second.pdf.

Gdzie znaleźć dobrego lekarza, który udzieli dodatkowej opinii?

Generalnie, więcej chorych na WM, a zatem i doświadczonych lekarzy znajduje się w szpitalach uniwersyteckich. Strona internetowa IWMF posiada listę lekarzy, którzy interesują się i mają doświadczenie w leczeniu WM www.iwmf.com/get-support/directory-wm-physicians.

Kiedy rozpocząć leczenie?

Chorzy powinni zacząć leczenie w chwili pojawienia się objawów lub rzadziej, gdy wyniki badań krwi wskazują na ryzyko dla zdrowia. Do pewnego stopnia decyzja o podjęciu leczenia zależy od tolerancji objawów przez pacjenta i tego jak wpływają na jego jakość życia. Poziom IgM sam w sobie nie jest wskazaniem do leczenia. Dodatkowe wskazania do leczenia można znaleźć na stronie: www.iwmf.com/about-wm/treatment/reasons-undergo-treatment. Również w magazynie fundacji IWMF *Torch* został opublikowany artykuł na ten temat pod tytułem „Kto i kiedy powinien rozpocząć leczenie makroglobulinemii Waldenstroma?” (ang. Who Needs Treatment for Waldenstrom’s Macroglobulinemia and When?) napisany przez dr n. med. Stephena M. Ansell. Ten artykuł można znaleźć na stronie www.iwmf.com/sites/default/files/docs/publications/BestOfTorch16.2Ansell.pdf.

Jakie sposoby leczenia są zatwierdzone dla WM?

Obecnie jedynym zatwierdzonym sposobem leczenia WM w Stanach Zjednoczonych, Izraelu, Kanadzie i wielu europejskich państwach jest Imbruvica (ibrutinib). Większość sposobów leczenia opartych jest o wyniki osiągnięte przy podobnych chorobach, takich jak chłoniak grudkowy, przewlekła białaczka limfatyczna i szpiczak mnogi. Istnieje wiele dostępnych opcji leczenia dla chorych na WM, a informacje o nich można uzyskać na stronie www.iwmf.com/media-library/iwmf-publications. Dodatkowo, różne duże centra leczenia nowotworów opracowały wytyczne leczenia WM. Można je znaleźć na stronie www.iwmf.com/media-library/wm-medical-practice-guidelines-research. Sposoby leczenia ciągle się rozwijają, a nowe terapie są odkrywane i testowane w badaniach klinicznych. Aby uzyskać zaktualizowaną listę badań należy przejść na stronę rządu amerykańskiego www.clinicaltrials.gov, na której znajdują się wszystkie badania kliniczne prowadzone w Stanach Zjednoczonych i w wielu innych krajach.

PYTANIA OGÓLNE

Czy powinienem/powinnam zaszczepić się przeciwko półpaścowi?

Tak. Szczepienie przeciwko nieaktywnemu wirusowi półpaśca nazywane Shingrix należy skonsultować z lekarzem. W niektórych przypadkach do przeciwdziałania półpaścowi zalecane jest branie profilaktycznych leków antywirusowych.

Czy powinienem/powinnam zaszczepić się przeciwko grypie? Co ze szczepionką w postaci donosowej?

Należy co roku szczepić się przeciwko grypie. To jest szczepionka zawierająca martwe wirusy i jest bezpieczna w użyciu. Szczepionka w postaci donosowej nazywana FluMist to szczepionka z żywymi wirusami i nie jest zalecana dla chorych na WM.

Czy powinienem/powinnam zaszczepić się przeciwko zapaleniu płuc?

Tak. Centrum Kontroli Chorób w Stanach Zjednoczonych zaleca, aby wszyscy dorośli powyżej 65 roku życia otrzymali polisacharydową szczepionkę przeciwko pneumokokom (PPSV), natomiast osoby poniżej 65 roku życia w przypadku stanu obniżającego odporność organizmu na infekcje. Chłoniak znajduje się na liście tych stanów. Ponowne szczepienie zalecane jest pięć lat po otrzymaniu pierwszej dawki dla osób poniżej 64 roku życia znajdujących się w grupie wysokiego ryzyka infekcji pneumokokami lub nagłej utraty przeciwciał.

Co zrobić, aby chronić układ odpornościowy?

Często myć ręce i unikać dotykania twarzy dłońmi, zwłaszcza w okresie przeziębień. Na bieżąco szczepić się przeciwko grypie i zapaleniu płuc. Jeść zdrowe, dobrze zrównoważone posiłki i pamiętać o odpowiedniej ilości snu. Unikać bliskiego kontaktu z ludźmi, u których są widoczne objawy przeziębienia, grypy i innych chorób. Myć surowe owoce i warzywa przed zjedzeniem i pamiętać o gotowaniu mięsa i owoców morza we właściwej temperaturze. To są środki ostrożności, które powinni przestrzegać wszyscy, bez znaczenia na stan zdrowia.

Czy będę mógł/mogła podróżować?

Nadal możesz podróżować, ale zapewne z pewnymi ograniczeniami lub zachowaniem dodatkowych środków ostrożności. Takie zamknięte miejsca jak samoloty, zatłoczone lotniska i publiczne środki transportu są źródłami infekcji, zwłaszcza w sezonie przeziębieniowym. Jeżeli Twoja choroba postępuje do punktu, w którym wymagane jest leczenie lub jesteś w trakcie leczenia, które znacząco osłabia układ odpornościowy, należy zapytać hematologa/onkologa czy konieczne są ograniczenia w podróżowaniu. Jeżeli planujesz wyjazd w odległe lub egzotyczne miejsce, gdzie mogą obowiązywać określone alerty chorobowe lub wymagane są dodatkowe szczepienia, należy to skonsultować z lekarzem. Należy też pamiętać, aby być na bieżąco z zalecanymi szczepieniami i często myć dłonie oraz uważać na żywność na obszarach, na których występują choroby przenoszone przez żywność lub wodę.

Jak często umawiać wizyty z moim hematologiem/onkologiem?

Zależy to w dużej mierze od stanu choroby lub tego czy otrzymujesz leczenie. Jeżeli chorujesz na wczesnym etapie WM i Twój stan jest stabilny nie musisz chodzić na wizyty u hematologa/onkologa częściej niż parę razy w roku. Jeżeli choroba jest dopiero co zdiagnozowana lub postępuje, hematolog/onkolog będzie chciał kontrolować Cię podczas częstszych wizyt, być może co 2-3 miesiące. Jeżeli jesteś w trakcie leczenia, Twój hematolog/onkolog może zdecydować o monitorowaniu nawet częściej podczas tego okresu, ponieważ niektóre sposoby leczenia mogą mieć skutki uboczne, które należy wykrywać wcześniej i odpowiednio kontrolować. Radzimy skonsultować się z hematologiem/onkologiem.

INNE PYTANIA O WM

Kim był Waldenström? Co oznacza słowo „makroglobulinemia”?

Dr Jan Waldenström (1906-1996) był szwedzkim lekarzem, który opisał dwóch pacjentów z objawami znanymi obecnie jako makroglobulinemia Waldenstroma po raz pierwszy w 1944 roku. „Makroglobulinemia” jest wyrazem złożonym – „makro” oznacza duży, a „globulinemia” oznacza białko we krwi. W przypadku WM, komórki nowotworowe WM produkują nadmiar dużego białka we krwi, nazywanego IgM.

Czym jest IgM i jaki ma związek z WM?

Immunoglobulina M lub w skrócie IgM jest jednym z 5 podstawowych przeciwciał (IgG, IgA, IgM, IgD i IgE), które są produkowane przez komórki B (które są rodzajem białych krwinek). IgM jest największym przeciwciałem w ludzkim układzie krążenia. Jest to pierwsze przeciwciało, które reaguje na pierwszą ekspozycję na antygen lub infekcję. WM atakuje komórki B, kiedy są w trakcie przemiany w komórki osocza. Stają się nietypowymi „komórkami limfoplazmatycznymi (LPL)” w szpiku kostnym.

Mimo że nie są użyteczne dla organizmu, komórki LPL są stale tworzone. Wraz ze wzrostem liczby komórek LPL, gromadzą

się w szpiku kostnym, węzłach chłonnych, śledzionie i innych organach. W wyniku tego w szpiku kostnym normalne krwinki zostają wyparte i prowadzi to do stopniowego obniżenia normalnej liczby krwinek. Duże ilości IgM we krwi mogą powodować jej większe od normalnego zagęszczenie (zespół nadlepkości krwi). IgM (przeciwciało) może czasami niewłaściwie rozpoznawać tkanki organizmu jako obce i przyłączać się do nich, prowadząc do stanów zapalnych i uszkodzeń. Jeżeli przyłączają się do nerwów i powodują uszkodzenia, nazywane jest to neuropatią. Jeżeli IgM niszczy komórki krwi, nazywa się to niedokrwistością hemolityczną autoimmunologiczną. Dla lepszego zrozumienia podstaw immunologii i immunoglobulin, można skorzystać z broszury IWMF, Podstawy immunologii na stronie www.iwmf.com/media-library/iwmf-publications.

Co powoduje WM? Czy występują przyczyny środowiskowe?

Nieznane są konkretne przyczyny WM. IgM-MGUS (gammapatia monoklonalna o nieokreślonym znaczeniu) jest stanem prekursorowym dla WM. Płeć męska, rasa biała, starzenie się i występowanie WM lub innych schorzeń komórki B w rodzinie, występowanie WZW, AIDS oraz narażenie na niektóre rozpuszczalniki, barwniki i pestycydy są czynnikami ryzyka wystąpienia tej choroby.

Czym jest IgM MGUS?

WM jest poprzedzona stanem znanym jako gammapatia monoklonalna o nieokreślonym znaczeniu (MGUS) typu IgM i jest bardzo wczesnym etapem, kiedy występuje niewiele komórek LPL w szpiku kostnym. Są często niewykrywalne w tkankach, jeżeli są pobrane za pomocą biopsji, ale występuje wykrywalna ilość nietypowego IgM (zazwyczaj o niskim poziomie). Może być pobrana z próbki krwi wykonanej bez powiązanego powodu w momencie, kiedy chory nie ma żadnych objawów. Przyczyna MGUS (oraz WM) jest nieznana, ale staje się powszechniejsza wraz ze starzeniem się ludzi. Po pewnym czasie (zwykle latach) te komórki stopniowo gromadzą się i kumulują. Nagromadzenie takich objawów jak zmęczenie, utrata masy ciała, nocne pocenie się, gorączka lub nawracające infekcje może w rezultacie prowadzić do zdiagnozowania WM. Ryzyko przejścia z IgM MGUS w objawowe WM wymagające leczenia wynosi 1-2% rocznie. Występują inne bardziej powszechne rodzaje MGUS powiązane z IgG, IgA lub rzadko IgD.

Czy występują predyspozycje rodzinne do WM? Czy powinienem/powinnam obawiać się, że moje dzieci również zachorują?

Występują predyspozycje rodzinne do WM, przy czym większość badań sugeruje, że u około 20-25% chorych występuje historia tej choroby lub innych zaburzeń komórek B w rodzinie. Obecnie nie ma badania, które przewidzi czy jakkolwiek członek rodziny chorego na WM zachoruje na tę chorobę, chociaż osoby z IgM MGUS (gammapatią monoklonalną o nieokreślonym znaczeniu) są w grupie większego ryzyka. Mimo że ryzyko rozwinięcia WM jest większe u rodzin z przypadkami rodzinnymi, ryzyko bezwzględne jest bardzo niskie ze względu na rzadkość choroby. Zalecamy nie martwić się o dzieci, gdyż WM jest głównie chorobą starszych ludzi, a sposoby leczenia tej choroby poprawiają się. W magazynie fundacji IWMF *Torch* został opublikowany artykuł na ten temat pod tytułem „Gammapatia monoklonalna o nieokreślonym znaczeniu (MGUS) i wczesna makroglobulinemia Waldenstroma (ang. SWM) ” (ang. Monoclonal Gammopathy of Undetermined Significance (MGUS) and Smoldering Waldenstrom’s Macroglobulinemia (SWM) napisany przez dr Roberta A. Kyle’a. Ten artykuł można znaleźć na stronie www.iwmf.com/sites/default/files/docs/publications/Kyle.pdf.

Czy chorując na WM istnieje większe ryzyko zachorowania na inne nowotwory?

Różne badania sugerują zwiększone ryzyko wybranych nowotworów, w tym prostaty, piersi, skóry, płuc i tarczycy jak również inne nowotwory krwi. Niektóre z nich, zwłaszcza nowotwory krwi mogą być związane z wybranymi terapiami leczenia WM, w tym środki alkilujące i analogi nukleozydowe. Chorzy na WM powinni kontynuować rutynowe badania u świadczeniodawców opieki zdrowotnej na inne rodzaje nowotworów.

Czym są MYD88 i mutacja MYD88, które pojawiają się u chorych na WM?

MYD88 jest normalnym białkiem zakodowanym przez gen nazywany myeloid differentiation primary response 88. Kiedy komórki B są wystawione na antygeny, MYD88 inicjuje kilka kaskad sygnałów komórki, które prowadzą do ekspresji czynników krytycznych dla rozwoju i aktywacji komórek B, z których jedną jest BTK. Wykryto, że pojedyncza określona mutacja w genie MYD88, oznaczona jako MYD88 L265P ma dużo większe występowanie w WM (około 90% chorych), niż w innych rodzajach nowotworów krwi. W magazynie fundacji IWMF *Torch* został opublikowany artykuł na ten temat pod

tytułem „Mutacja MYD88 L265P” (ang. Mutation MYD88 L265P) napisany przez dr n. med. Stevena Treona. Ten artykuł można znaleźć na stronie www.iwmf.com/sites/default/files/docs/publications/Treon.pdf.

Jakie jest znaczenie mutacji MYD88 L265P w WM?

Jej znaczenie nie jest jeszcze poznane. Mimo że jest dominujące w WM (około 90% pacjentów), w danej chwili nie sądzimy, że powoduje chorobę. Jednakże, wygląda na to, że odgrywa rolę w proliferacji i przetrwaniu komórek WM przez doprowadzenie do nadmiernej ekspresji białek takich jak BTK, które biorą udział w rozwoju i aktywacji komórek B. Ze względu na dominację WM, jej obecność lub nieobecność może być użyteczna jako część diagnostyki pacjentów z podejrzeniem WM lub podobnych chorób.

Czy są inne ważne mutacje genowe w WM?

Badacze przyglądają się kilku innym mutacjom genowym wykrytym u chorych na WM. Jest to nadal praca wstępna, ale przynajmniej jedna mutacja w genie CXCR4 została wykryta u około 30-40% chorych na WM. CXCR4 może prowadzić do większego zajęcia szpiku kostnego, a mniejszego węzłów chłonnych, wyższego IgM i większego prawdopodobieństwa zespołu nadlepkości krwi i nabytej choroby von Willebranda. CXCR4 jest łączony z „GPS” komórki WM w taki sposób, że komórki WM przylegają do szpiku kostnego. Mutacje CXCR4 nie były związane z gorszymi możliwościami przetrwania, ale mogą być związane z niższą skutecznością podczas leczenia ibrutinib. IWMF obecnie finansuje badanie nad CXCR4.

PYTANIA O OBJAWY PRZEDMIOTOWE I PODMIOTOWE

Jakie są typowe objawy przedmiotowe i podmiotowe WM? Jaki jest związek pomiędzy WM a zmęczeniem?

WM może wywoływać różne objawy przedmiotowe i podmiotowe. Najpowszechniejsze jest powolne postępowanie zmęczenia i trudności w oddychaniu spowodowanym niedokrwistością. Niedokrwistość jest wynikiem obniżenia czerwonych krwinek spowodowanym zwiększoną liczbą komórek limfoplazmatycznych (LPL) w szpiku kostnym. Do innych objawów przedmiotowych i podmiotowych objawów należą krwawienie dziąseł i nosa, zawroty głowy, obniżona liczba czerwonych krwinek, objawy neurologiczne, takie jak neuropatia obwodowa, powiększone węzły chłonne, powiększona śledziona, utrata masy ciała i nocne pocenie się. Większość objawów jest przypisana do obniżenia komórek czerwonych krwinek przez proliferację komórek limfoplazmatycznych (LPL) w WM lub wydzielanie monoklonalnego IgM (zespół nadlepkości krwi, neuropatia obwodowa i niedokrwistość hemolityczna autoimmunologiczna).

Jakie problemy skórne są powiązane z WM?

Problemy skórne występują rzadko przy WM. Sporadycznie, komórki WM mogą zajmować skórę lub wydzielane przez WM IgM może być złożone w skórze. Do objawów mogą należeć zgrubienie skóry, guzki lub wysypka. W przypadku wystąpienia tych objawów należy umówić się na wizytę u dermatologa, aby wykluczyć inne powody problemów skórnych. Sporadycznie, u osób z WM może wystąpić trombocytopenia (niska liczba płytek krwi) lub wysoki poziom IgM może powodować powikłania krwotoczne w skórze, prowadząc do tendencji do powstawania siniaków, wybroczyn (małych czerwonych lub fioletowych plam) lub purpury (małych obszarów o czerwonym lub fioletowym kolorze). W magazynie fundacji IWMF *Torch* został opublikowany artykuł na ten temat pod tytułem „Makroglobulinemia Waldenstroma i skóra” (ang. Waldenstrom’s Macroglobulinemia and the Skin) napisany przez dr Julie S. Lehman. Ten artykuł można znaleźć na stronie www.iwmf.com/sites/default/files/docs/publications/Lehman.pdf.

Co wywołuje nocne pocenie się w WM?

Obfite nocne pocenie się jest jednym z objawów komórki B (inne to gorączka i nieokreślona utrata masy ciała) powiązana z chłoniakiem. Nie znamy pewnej odpowiedzi na to, co jest przyczyną, ale jednym z możliwych mechanizmów jest to, że postęp chłoniaka i sposób zwalczania infekcji przez organizm mają coś wspólnego — mogą prowadzić do mobilizacji komórek odpornościowych i powiązanych białek zwanych cytokinami, a ich aktywność może odpowiadać za gorączkę, bóle mięśniowe i nocne pocenie się.

W jaki sposób WM może wpływać na moje oczy?

WM może wpływać na oczy na różne sposoby, zwłaszcza przy podniesionym poziomie lepkości surowicy we krwi. W magazynie fundacji IWMF *Torch* został opublikowany artykuł na ten temat pod tytułem „Choroba Waldenstroma i oczy”

(ang. Waldenstrom and the Eye) napisany przez optometrystkę Maureen Hanley. Ten artykuł można znaleźć na stronie www.iwmf.com/sites/default/files/docs/publications/Hanley.pdf.

Czym jest neuropatia obwodowa? Jakie to uczucie?

Białko IgM w WM może prowadzić do neuropatii obwodowej (ang. PN). Szacuje się, że około 20-30% chorych na WM ma PN wywołany białkiem IgM. Te białko prowadzi do dysfunkcji nerwów, które wychodzą od rdzenia kręgowego do obwodowych części ciała (ręce, dłonie, nogi i stopy). PN może być także następstwem wybranych sposobów leczenia WM, np. bortezomibem (Velcade) i talidomidem. Do objawów PN należą mrowienie lub kłucie, drętwienie, uczucie zimna, napięcia, pieczenie, ból strzelający lub kłujący i zwiększona wrażliwość na dotyk. Te objawy zazwyczaj najpierw odczuwalne są na stopach i mogą przechodzić w górę, tak że zajęte mogą być obydwie dłonie. PN może wpływać też na nerwy ruchowe i nerwy autonomiczne prowadząc do objawów, takich jak trudność we wstawaniu z pozycji siedzącej, uczucie oszołomienia po wstaniu i obniżona siła chwytu. W magazynie fundacji IWMF *Torch* został opublikowany artykuł na ten temat pod tytułem „Choroba Waldenstroma i neuropatia obwodowa” (ang. Waldenstrom’s and Peripheral Neuropathy) napisany przez dr Todda Levine’a. Ten artykuł można znaleźć na stronie www.iwmf.com/sites/default/files/docs/publications/Levine.pdf.

W jaki sposób leczyć neuropatię obwodową? Czy to się poprawi podczas leczenia?

Najpierw, jeżeli to jest możliwe, należy określić powód neuropatii obwodowej (PN). Jeżeli powodem jest WM, leczenie choroby może przynieść poprawę. Trudna jest odbudowa funkcji nerwu po jego uszkodzeniu. Celem większości sposobów leczenia WM jest utrzymanie stabilnego stanu neuropatii i zapobieganie jej pogorszeniu. Istnieje wiele terapii mających na celu złagodzenie objawów neuropatii. Nie ma ogólnego porozumienia, które są bardziej skuteczne i dotyczą one leków bez recepty lub leków na receptę.

Czym jest zespół nadlepkości krwi? Czym jest plazmaferaza? Po co się to robi? Co powinienem/powinnam zrobić przed, w trakcie i po plazmaferazie?

Zespół nadlepkości krwi, rzadki, ale niepowtarzalny dla WM, pojawia się, gdy niezwykle wysokie poziomy białka IgM powodują zagęszczenie krwi (przypominające bardziej syrop klonowy niż wodę), które może prowadzić do krwawień głównie z dziąseł lub nosa. Plazmaferaza jest często wykorzystywana przy zespole nadlepkości krwi, aby zapewnić tymczasową ulgę dla chorego. Podczas plazmaferazy (PP) przy WM chorzy są podłączeni dożylnie do specjalnego urządzenia, przez które jest przepuszczana krew, a osocze (z IgM) jest usuwane i wyrzucane, natomiast pozostała krew wraca do chorego. Usunięte osocze jest zazwyczaj wymieniane na albuminę lub świeże zamrożone osocze w celu utrzymania właściwej objętości krwi. Poprawa objawów jest zazwyczaj szybka. PP nie redukuje objętości komórki nowotworu; zatem komórki WM nadal tworzą IgM, a WM musi być leczone. W magazynie fundacji IWMF *Torch* został opublikowany artykuł na ten temat pod tytułem „Plazmaferaza i makroglobulinemia Waldenstroma” (ang. Plasmapheresis and Waldenstrom’s Macroglobulinemia) napisany przez dr Marvina J. Stone’a. Ten artykuł można znaleźć na stronie www.iwmf.com/sites/default/files/docs/publications/Stone.pdf. Kolejne odniesienie znajduje się w arkuszu informacji IWMF o plazmaferazie, które można przeczytać w wielu językach na stronie www.iwmf.com/media-library/iwmf-publications.

PYTANIA DOTYCZĄCE DIAGNOSTYKI I BADAŃ

W jaki sposób diagnozowane jest WM?

Diagnoza WM składa się z dwóch elementów. Pierwszym jest obecność surowicy (przejrzystej, żółtawej części krwi, która nie krzepnie) monoklonalnego białka IgM, tak zwanego „białka makroglobuliny”. Drugim jest obecność nietypowej komórki populacji w szpiku kostnym. Nietypowe komórki (komórki limfoplazmatyczne) znajdują się w szpiku kostnym i są odpowiedzialne za produkcję białka IgM. Aby postawić diagnozę, Twój lekarz zacznie od serii pytań nazywanymi wywiadem medycznym. Następnie odbędzie się badanie polegające na sprawdzeniu objawów przedmiotowych i podmiotowych choroby (patrz powyżej: PYTANIA O OBJAWY PRZEDMIOTOWE I PODMIOTOWE). Na podstawie tych informacji zostaną zlecone badania medyczne i badania krwi. W przypadku podejrzenia WM konieczna jest biopsja szpiku kostnego. Aby uzyskać więcej informacji o diagnozowaniu WM, należy odnieść się do broszury IWMF, Badania medyczne, którą można znaleźć na stronie www.iwmf.com/media-library/iwmf-publications. W magazynie fundacji IWMF *Torch*

został opublikowany artykuł na ten temat pod tytułem „W jaki sposób diagnozowana jest makroglobulinemia Waldenstroma” (ang. How is Waldenstrom’s Macroglobulinemia is Diagnosed) napisany przez dr Morie A. Gertz, MACP. Ten artykuł można znaleźć na stronie www.iwmf.com/sites/default/files/docs/publications/Gertz4.pdf.

Czym jest biopsja szpiku kostnego? Na co należy być przygotowanym?

Biopsja szpiku kostnego wykonywana jest w celu szukania nieprawidłowości w szpiku kostnym, który jest gąbczastą tkanką wewnątrz większych kości, gdzie produkowane są krwinki. Ta procedura może być wykonywana w gabinecie lekarskim lub w szpitalu w lekkiej sedacji lub znieczuleniu miejscowym. Próbką jest zazwyczaj pobierana specjalną igłą z kości biodrowej tylnej. Może być pobrana zarówno aspiracyjna, jak i stała próbka szpiku (biopsja). Patolog bada komórki szpiku kostnego pod mikroskopem i wykonuje dodatkowe badania komórek barwieniami w celu określenia obecności nieprawidłowości. Podczas podawania miejscowego znieczulenia może pojawić się uczucie dyskomfortu lub nacisku. W miejscu wykonania biopsji może pojawić się siniak lub opuchlizna przez kilka dni po zabiegu.

Jak często należy wykonywać biopsję szpiku kostnego?

Biopsja szpiku kostnego jest konieczna w celu zdiagnozowania WM. Częste biopsje szpiku kostnego nie są zalecane w celu monitorowania choroby, ponieważ jest to kosztowna i inwazyjna technika i nie jest konieczna w celu monitorowania choroby. Mogą wystąpić sytuacje, kiedy Twój hematolog/onkolog może podjąć decyzję o wykonaniu dodatkowej biopsji w celu określenia, czy chory potrzebuje leczenia lub dowiedzieć się, jak szpik kostny chorego reaguje na leczenie lub podczas przebiegu badania klinicznego.

Który pomiar jest bardziej wiarygodny/wartościowy – IgM czy SV (lepkość surowicy)?

Pomiar IgM lub elektroforeza osocza białek (ang. SPEP) jest jednym z ważniejszych wskaźników wykorzystywanych w określeniu stanu choroby chorego na WM. Wielu chorych na WM nigdy nie ma wysokiej lepkości osocza, ale częściej ma inne objawy związane z chorobą (niedokrwistość, neuropatia obwodowa itp.). Jednakże, pomiar lepkości osocza jest ważny dla tych pacjentów, którzy mają wysokie poziomy IgM, zazwyczaj więcej niż 3 g/dl.

Czy poziomy IgG i IgA są ważnym pomiarem do obserwacji?

U chorych na WM zwykle występują niskie poziomy zarówno IgG lub IgA lub obydwu z nieznanymi powodów. Jeżeli pacjent doświadcza nawracających infekcji (np. infekcje zatok lub zapalenie oskrzeli), dużą rolę mogą odgrywać niskie poziomy IgG i IgA, a leczenie może składać się z IVIG (dożylnie IgG). Jeżeli pacjent nie doświadcza nawracających infekcji, poziomy IgG i IgA nie są ważne.

Jakie są kluczowe wartości liczbowe w badaniu krwi?

Większość hematologów/onkologów zwraca większą uwagę na trendy w wynikach badań niż na same wartości liczbowe. Poziom IgM sam w sobie nie jest wskazaniem do leczenia. Jeżeli nie ma objawów powiązanych z rosnącymi wartościami liczbowymi, leczenie może nie być wymagane. Ogólnie mówiąc, najważniejszymi badaniami krwi do monitorowania są elektroforeza osocza białek lub poziom IgM. Chorzy z amyloidozą, krioglobulinemią, powiększonymi węzłami chłonnyymi lub rzadko związanymi z WM chorobami nerek powinni monitorować progresję choroby wykonując dodatkowe badania. Więcej informacji o tych specjalnych warunkach można przeczytać w publikacji IWMF, broszurze Badania medyczne na stronie www.iwmf.com/media-library/iwmf-publications.

PYTANIA NA TEMAT LECZENIA

Dlaczego znajduję się na liście „obserwuj i czekaj”, a nie jestem w trakcie leczenia, jeżeli choruję na nowotwór?

Leczenie bezobjawowego (wczesnego) WM nie ratuje życia, poprawia jakości życia, lecz choroby lub zmienia długoterminowej perspektywy. Co więcej, w wyniku chemioterapii mogą wystąpić skutki uboczne jak również zwiększone koszty i niedogodności. Chorym bez znacznych objawów wpływających na jakość życia leczenie nie przyniesie żadnych korzyści z wyjątkiem możliwych skutków ubocznych. Wysokie IgM nie uzasadnia leczenia, natomiast niskie IgM nie oznacza, że leczenie nie jest konieczne. Zasada kciuka oznacza, że to objawy, a nie poziom IgM powinien być czynnikiem decydującym o konieczności leczenia. W magazynie fundacji IWMF *Torch* został opublikowany artykuł na ten temat pod tytułem „Kiedy należy zmienić koncepcję obserwuj i czekaj na leczenie” (ang. When to Move from Watch and Wait to

Treatment) napisany przez dr Morie A. Gertz, MACP. Ten artykuł można znaleźć na stronie www.iwmf.com/sites/default/files/docs/publications/Gertz6W%26W.pdf.

Czego można się spodziewać po leczeniu na WM?

Obecnie nie istnieje terapia, która może wyleczyć z WM. Celem leczenia jest obniżenie lub złagodzenie nasilenia objawów, aby poprawić jakość życia i utrzymać ten stan przez jak najdłuższy czas. Podczas leczenia i chwilę po możliwe jest doświadczenie objawów związanych ze skutkami ubocznymi leczenia. Niektóre z nich mogą pojawić się podczas infuzji i mogą być zmniejszone przez wybrane premedykamenty. Inne mogą pozostać w trakcie całego leczenia i krótką chwilę po jego zakończeniu. Mogą do nich należeć zmęczenie, nudności, wypadanie włosów, utrata masy ciała, niski poziom krwinek i infekcje. Skutki uboczne leczenia różnią się w zależności od konkretnego rodzaju leczenia i należy skonsultować z lekarzem dokładnie czego się spodziewać. Często spotykane skutki uboczne chemioterapii WM znajdują się pod nazwą leku w arkuszu informacji IWMF, który można przeczytać w wielu językach na stronie www.iwmf.com/media-library/iwmf-publications. W magazynie fundacji IWMF *Torch* został opublikowany artykuł na ten temat pod tytułem „WM: Kontrolowanie skutków ubocznych” (ang. WM: Managing the Side Effects) napisany przez dr Jeffrey'a V. Matousa. Ten artykuł można znaleźć na stronie www.iwmf.com/sites/default/files/docs/publications/Matous.pdf.

Co mogę zrobić dla siebie?

ĆWICZENIA FITNESS: Pojawia się coraz więcej dowodów na to, że sprawni chorzy (w porównaniu z chorymi wątłymi) przechodzą lepiej leczenie. Sprawni pacjenci tolerują leczenie z mniejszą liczbą komplikacji i to może przynieść lepsze rezultaty. Stanowczo zaleca się codzienną aktywność w postaci spacerów, w takim tempie, jak jest to fizycznie możliwe bez ryzyka upadku. Istnieje także coraz więcej dowodów na to, że otyłość jest powiązana z nowotworami.

ODŻYWIANIE: Zwracanie uwagi na to, co jemy (obniżanie łącznych kalorii i tłuszczu) jest ważne dla ogólnego zdrowia, a utrzymanie normalnej wagi związane jest z byciem sprawnym. Wielu pacjentów zadaje pytania o cukier. Nie ma dowodów na to, że cukier karmi nowotwór. Jednakże, spożycie cukru to stracone kalorie i ma on bardzo niską wartość odżywczą. Cukier podnosi poziom insuliny, która ma związek ze złogami tłuszczu w ciele i jedynie dodaje się do łącznie przyjmowanych kalorii dziennie. Odpowiednie odżywianie się, utrzymanie właściwej masy ciała i aktywność fizyczna jest ważna w poprawie wyników leczenia WM.

SEN/STRES: Ważna dla chorych jest również odpowiednia ilość snu i zwracanie uwagi na poziom stresu i stanu emocjonalnego podczas radzenia sobie z diagnozą WM.

WSPARCIE: Istnieje wiele źródeł wsparcia Fundacji IWMF, takie jak miejscowe grupy wsparcia (Stany Zjednoczone i inne kraje), internetowe fora dyskusyjne (IWMF-Connect) i LIFELINE, możliwość rozmowy indywidualne z wolontariuszami na temat konkretnych sposobów leczenia i problemów związanych z WM. Te usługi można znaleźć na stronie internetowej fundacji IWMF pod adresem www.iwmf.com/get-support. Poradnictwo psychologiczne może być bardzo pomocne dla każdej osoby, której stres emocjonalny wpływa na jakość życia.

Czy jest żywność, która wpływa korzystnie lub szkodzi podczas leczenia? Czy istnieją alternatywne sposoby leczenia WM?

Podczas rozważania leków komplementarnych i alternatywnych chorzy powinni być bardzo ostrożni z ich użyciem. Przyjmowanie witamin, leków bez recepty i tak zwanych leczniczych produktów spożywczych powinno być zawsze omówione z lekarzem.

Niektóre z tych substancji mogą zmieniać skuteczność konwencjonalnych sposobów leczenia choroby lub pogorszyć skutki uboczne leczenia. Podczas gdy, niektóre komplementarne i alternatywne terapie, takie jak joga lub medytacja są pomocne w radzeniu sobie z problemami psychologicznymi związanymi z przewlekłą sytuacją zdrowotną, inne tak zwane terapie alternatywne mogą być szkodliwe. Aby uzyskać więcej informacji o komplementarnych i alternatywnych sposobach leczenia, należy odwiedzić stronę internetową Krajowego Instytutu Krajowego Centrum Zdrowia Leczenia Komplementarnego i Alternatywnego pod adresem www.nccam.nih.gov.

Czy istnieją sposoby leczenia celujące w mutację MYD88 u chorych na WM?

W obecnej chwili nie ma sposobów leczenia celujących w mutację MYD88 L265P. Jednakże, występują leki, które celują w niektóre białka poniżej ścieżki MYD88. Ibrutinib (Imbruvica) jest terapią doustną rozwiniętą w celu blokowania kinazy tyrozynowej Brutona (BTK). Jak zostało już wspomniane, MYD88 jest normalnym białkiem zakodowanym przez gen nazywany myeloid differentiation primary response 88. Kiedy komórki B są wystawione na antygeny, MYD88 inicjuje kilka kaskad sygnałów komórki, które prowadzą do ekspresji czynników krytycznych dla rozwoju i aktywacji komórek B, z których jedną jest BTK. Wygląda na to, że MYD88 L265P odgrywa ważną rolę w proliferacji i przetrwaniu komórek WM przez doprowadzenie do nadmiernej ekspresji białek takich jak BTK, które biorą udział w rozwoju i aktywacji komórek B.

Co jeżeli leczenie nie odniesie skutku?

Niektóre sposoby leczenia działają szybciej niż pozostałe, dlatego należy pozostawić odpowiednią ilość czasu na właściwe działanie leczenia. Brak natychmiastowych wyników nie oznacza niepowodzenia leczenia. Co więcej, niektóre sposoby leczenia działają lepiej na niektórych chorych z nie do końca zrozumiałych powodów. Ze względu na fakt, iż WM rozwija się powoli, nie jest konieczne osiągnięcie natychmiastowych wyników. Możliwość wyboru sposobu leczenia zwiększają się cały czas, a jeżeli leczenie się nie powiedzie, lekarz będzie w stanie zasugerować alternatywny sposób leczenia. Możesz również uzyskać poradę od specjalisty z zakresu WM. Na stronie internetowej Fundacji IWMF znajduje się lista specjalistów, którzy mogą udzielić konsultacji www.iwmf.com/get-support/directory-wm-physicians.

Jakie są inne „późne i rzadkie” komplikacje WM?

Chłoniak rozlany z dużych komórek B: W małej ilości chorych na WM, którzy przeżyli z chorobą kilka lat, WM może przekształcić się w chłoniaka olbrzymiokomórkowego, którego przebieg jest agresywny. Może też dobrze reagować na chemioterapię.

Amyloidoza: Wcześniej wspomniano, że białko IgM może prowadzić do efektu zagęszczania krwi (zespół nadlepkości) i/lub uszkodzenia nerwów (neuropatia obwodowa). Białko IgM może też prowadzić do amyloidozy. Wszystkie białka, w tym białko IgM, są biodegradowalne i przetwarzalne. Kiedy element lekkiego łańcucha (kappa lub lambda) monoklonalnego białka IgM nieprawidłowo się fałduje, jest przenoszony we krwi do różnych tkanek i tam pozostaje. Od tej pory nazywany jest złogiem amyloidowym. Amyloid zazwyczaj odkłada się w tkance serca, wątroby, nerek i nerwów. W każdym z tych organów, złogi amyloidu mogą powodować nieprawidłowe działanie tych organów. Złogi amyloidu mogą być wywołane stanami innymi niż WM i nigdy nie są normalnym stanem w organizmie. Ich obecność zawsze wskazuje na nietypowy proces. Amyloidoza wywołana przez WM jest leczona tak jak choroba podstawowa (tj. WM). W magazynie fundacji IWMF *Torch* został opublikowany artykuł na temat amyloidozy pod tytułem „Amyloidoza powiązana z chorobą Waldenstorma lub IgM MGUS” (ang. Amyloidosis associated with Waldenstrom disease or IgM MGUS) napisany przez dr Giampaolo Merlini'ego.

Ten artykuł można znaleźć na stronie www.iwmf.com/sites/default/files/docs/publications/Merlini.pdf.

Krioglobulinemia („krio”): dosłownie oznacza „zimne przeciwciąło we krwi” i związane jest z faktem, że przeciwciała wyzwalają się w temperaturze 37°C (temperatura ciała), a następnie po ogrzaniu ponownie się rozpuszczają. Krioglobulinemia może rozwinąć się z nieznanymi powodami lub może być powiązana z chorobą podstawową taką jak WM. Leczenie krioglobulinemii może zależeć od tego, czy obecne są powiązane choroby. Bezobjawowe „krio” nie wymaga leczenia. W magazynie fundacji IWMF *Torch* został opublikowany artykuł pod tytułem „Krioglobulinemia ” (ang. Cryoglobulinemia) napisany przez Sue Herms. Ten artykuł można znaleźć na stronie www.iwmf.com/sites/default/files/docs/publications/Herms4.pdf.

Hipogammaglobulinemia: Obniżone poziomy immunoglobulin IgA i IgG są powszechne u chorych na WM. Może być to spowodowane obniżoną liczbą normalnych komórek osocza produkujących IgG i IgA. Dodatkowo, u większości pacjentów spowolnienie przebiegu choroby lub nawet całkowita remisja nie poprawia hipogammaglobulinemii. Leczenie wykonywane jest głównie na zasadzie „aktywnej obserwacji” na podstawie częstotliwości nawracających infekcji chorego.

Zespół Binga-Neela: Kiedy komórki WM opuszczają szpik kostny, zbierają się w wybranym organie, zwykle jest to szpik

kostny, wątroba, śledziona i węzły chłonne. Obecność WM jest zazwyczaj ograniczona do tych organów, ponieważ te komórki mają swoistą „lepkość”, która utrzymuje je w tych wybranych miejscach. W rzadkich przypadkach w późnym okresie choroby, komórki WM mogą tracić swoje właściwości lepkości i zajmować inne organy. Kiedy to następuje, chorobę określa się jako „pozaszpikową wznowę nowotworu”. Komórki WM mogą atakować ośrodkowy układ nerwowy (OUN), który składa się z mózgu, rdzenia kręgowego i opon mózgowo-rdzeniowych (membran osłaniających mózg i rdzeń kręgowy). Rozwój komórek WM w ośrodkowym układzie nerwowym znany jest jako zespół Binga-Neela. Leczenie zespołu Binga-Neela różni się i składa się z wielu środków chemioterapeutycznych podawanych doustnie, dożylnie lub przez zastrzyk w kanał kręgowy. W magazynie fundacji IWMF *Torch* został opublikowany artykuł na ten temat pod tytułem „Późne (i rzadkie!) komplikacje makroglobulinemii Waldenstroma” napisane przez dr Morie A. Gertza, MACP. Ten artykuł można znaleźć na stronie www.iwmf.com/sites/default/files/docs/publications/Gertz3.pdf.

Przedstawione tu informacje są przeznaczone wyłącznie do zastosowań edukacyjnych. Nie powinny być traktowane jako zamiennik specjalistycznej porady medycznej. Chorzy powinni korzystać z udzielonych informacji w pełnej konsultacji i pod opieką profesjonalnego lekarza specjalisty z doświadczeniem w leczeniu WM. Odradzamy chorym korzystania z jakichkolwiek informacji zawartych w niniejszym dokumencie bez ujawniania ich lekarzowi. Prawo autorskie The International Waldenstrom's Macroglobulinemia Foundation, Styczeń 2019

Wizja IWMF

Wspieranie wszystkich, których dotknęła makroglobulinemia Waldenstroma, jednocześnie rozwijając poszukiwania leku.

Misja IWMF

Oferowanie wzajemnego wsparcia społeczności makroglobulinemii Waldenstroma i innym zainteresowanym chorobą.

Przekazywanie informacji i programów edukacyjnych, które są odpowiedzią na problemy pacjentów.

Promowanie i wspieranie badań prowadzących do lepszego leczenia i ostatecznie do wyleczenia.

Opublikowane przez International Waldenstrom's Macroglobulinemia Foundation (IWMF)

Niniejsze informacje są przekazane przez IWMF bez dodatkowych kosztów. Prosimy o rozważenie dołączenia i/lub wsparcia IWMF, aby umożliwić nam dalsze udostępnianie podobnych materiałów i wspieranie badań nad lepszymi terapiami i lekarstwem na makroglobulinemię

Waldenstroma. Można do nas dołączyć i/lub wesprzeć na naszej stronie pod adresem www.iwmf.com, lub przesłać wsparcie drogą pocztową na adres: 6144 Clark Center Avenue, Sarasota, FL 34238.



6144 Clark Center Avenue
Sarasota, FL 34238
Tel.: 941-927-4963 Faks: 941-927-4467
www.iwmf.com
E-mail: info@iwmf.com