

Waldenströmin makroglobulinemia

Keskeistä tietoa:
Potilaan opas

**IWMMF**

International Waldenstrom's
Macroglobulinemia Foundation
Yhteistyössä:





Waldenströmin makroglobulinemia

Keskeistä tietoa: Potilaan opas

Stephen M. Ansell, LT, FT

Hematologisten pahanlaatuisten kasvaimien tutkimuksen Dorothea W. ja Grant L. Sundquist -professori sekä lääketieteen professori Mayo Clinicin lääketieteellisessä korkeakoulussa

Carl Harrington

IMWF:n puheenjohtaja
emeritus, kansainvälisen
potilashankkeen johtaja

Steven Treon, LT, FT

Bing Center for Waldenstrom's Macroglobulinemia -keskuksen johtaja Dana-Farber-syöpäinstituutissa, lääketieteen professori Harvardin lääketieteellisessä yliopistossa

Tämän julkaisun sponsorit:



Lääketieteellinen vastuuvapauslauseke: Tämän julkaisun tiedot on tarkoitettu vain koulutusmateriaaliksi. Ne eivät korvaa ammattimaista lääkärinhoitoa. Potilaan on käytettävä tietoja yhteistyössä ja hoitosuhteessa pätevän lääkärin kanssa. Lääkärillä on oltava kokemusta WM:n hoidosta. Emme suosittele potilaita käyttämään tämän julkaisun tietoja kertomatta siitä lääkärilleen.

Keskeistä tietoa: Potilaan opas

1. Mikä on Waldenströmin makroglobulinemia (WM)?

- WM on eräänlainen verisyöpä, jossa kehittyy liian paljon tiettyjä poikkeavia proteiineja sekä IgM (tai immunoglobuliini) -nimistä vasta-ainetta. IgM on suurin kaikista makroglobuliineiksi kutsutuista vasta-aineista. Sen rooli on reagoida ensimmäisenä infektioihin. Tavallisesti poikkeavaa IgM-proteiinia ei esiinny terveillä ihmisillä, ja sitä kutsutaan myös M-proteiiniksi tai paraproteiiniksi.
- WM:n tapauksessa poikkeavat WM-solut eivät käy läpi ohjelmoitunutta solukuolemaa. Nämä WM-solut kerääntyvät sen sijaan luuytimeen. Tämä voi aiheuttaa anemiaa syrjäyttämällä tavalliset uusia punasoluja tuottavat luuydinsolut sekä syrjäyttää muiden infektiolta suojaavien solujen tuottamisen.
- Nämä poikkeavat WM-solut saattavat myös kasvaa luuytimen ulkopuolella ja aiheuttaa imusolmukkeiden sekä pernan laajenemista tai lisääntyä nopeasti keuhkoissa, aivoissa tai selkärangassa.
- WM-solut ja ylimääräinen IgM saattavat vaurioittaa soluja ja elimiä sekä aiheuttaa esimerkiksi väsymyksen, tunnottomuuden, kihelmöinnin tai voimattomuuden oireita.
- Ylimääräinen IgM menee myös verenkiertoon. IgM:n suuren koon vuoksi verestä saattaa tulla erittäin paksua. Tätä veren tilaa kutsutaan hyperviskositeetiksi. Se voi johtaa verisuonien hajoamiseen, joka aiheuttaa verenvuotoa verkkokalvolla tai aivoissa. IgM voi varastoitua myös elimiin, kuten munuaisiin, ja vaikuttaa niiden toimintaan.
- Osalla WM-potilaista voi olla oireita, jotka liittyvät suoraan itse IgM-proteiiniin, kuten amyloidoosi, kryoglobulinemia, kylmäagglutiniinin aiheuttama hemolyyttinen anemia tai demyelinoiva polyneuropatia. Nämä ovat harvinaisia. Voit etsiä lisätietoa IWMF:n verkkosivuilta: iwmf.com.

2. WM on harvinainen ja tällä hetkellä parantumaton, mutta hoidettavissa oleva verisyöpä.

- WM on yleensä hidaskasvuinen syöpä, ja usein potilailta vaaditaan hoitojen sijaan säännöllisiä verikokeita. Useimmilla hoitoa tarvitsevilla WM-potilailla on aikaa harkita hoitovaihtoehtoja.

3. Kuinka harvinainen WM on? Mikä on WM:n ilmaantuvuus?

- Yhdysvalloissa on vuosittain 1 500–3 000 WM-tapausta, ja Euroopassa niitä on 1 500–3 000 vuodessa. Kaiken kaikkiaan WM-tapauksia on 1–2 % kaikista verisyövistä.
- Sen harvinaisuuden vuoksi useimmat syöpään erikoistuneet lääkärit kohtaavat WM-tapauksia vain vähän tai eivät ollenkaan uransa aikana.

4. Miten WM diagnosoidaan?

- Verikokeiden lisäksi luuydinbiopsia on olennainen diagnoosille.
- Noin 90–95 %:lla WM-potilaista on sama geenimutaatio geenissä, joka koodaa MYD88-nimistä proteiinia, kun taas 30–40 %:lla potilaista geenimutaatio on CXCR4-geenissä. Jotkin CXCR4-mutaatiot vaikuttavat muiden hoitojen vaikuttavuuteen.

5. Miksi sain WM:n? Voivatko lapseni saada sen?

- WM:n syitä ei tunneta. WM:ään liittyvät geenimutaatiot (MYD88 ja CXCR4) tapahtuvat kuitenkin elinikäsi aikana, eivätkä ne periydy vanhemmiltasi sinulle tai sinulta lapsillesi.
- Korkeintaan 25 %:lla WM-potilaista on ensimmäisen asteen sukulainen (vanhempi, sisarus tai lapsi) tai toisen asteen sukulainen (isovanhempi, täti, setä tai serkku), jolla on WM tai jokin toinen B-solulymfoma.
- On olemassa pieni määrä perheitä, joissa vanhemmilla, lapsilla ja sisaruksilla on WM.
- Tämän tapaisissa perinnöllisissä WM-tapauksissa kannattaa tehdä verikokeet verisolujen määrän tarkistamiseksi sekä seerumin proteiinin elektroforeesi poikkeavan proteiinin havaitsemiseksi. WM:n myöhäisen puhkeamisen takia perusterveydenhuollon lääkärisi voi harkita näiden verikokeiden tilaamista jälkeläisille, jotka ovat 40-vuotiaita tai vanhempia.

6. WM kehittyy usein vaiheittain. Käynkö läpi kaikki vaiheet?

- WM alkaa usein MGUS (merkitykseltään epäselvä monoklonaalinen gammopatia) -diagnoosilla, joka tavallisesti edeltää tautia. Sen jälkeen tauti kehittyy monilla oireettomaksi (tai kyteväksi) WM:ksi. Hoitoa vaaditaan vain, jos WM kehittyy oireilevaksi.
- Tauti ei kuitenkaan aiheuta kaikilla näitä vaiheita. Todellisuudessa tauti ei kehity useimmilla MGUS-potilailla oireilevaksi WM:ksi. MGUS-vaihe tai oireeton WM voivat kestää koko eliniän.

7. Milloin tarvitsen hoitoa?

- Yleensä hoitoa tarvitaan, kun henkilöllä on joko alhaiseen verenkuvaan ja korkeaan kasvainkuormitukseen liittyviä oireita, kuten väsymystä tai verenvuotoa, tai kun korkeat IgM-tasot aiheuttavat selviäoireista hyperviskositeettia taikka vaurioittavat soluja tai elimiä.
- WM voi ilmetä eri tavalla henkilöstä riippuen. Esimerkiksi joillain alhaisetkin IgM-tasot aiheuttavat oireita, kun taas toisilla oireita ei synny, vaikka tasot olisivatkin korkeat. Siksi lääkärit hoitavat potilaita pääasiallisesti heidän oireidensa mukaisesti. Lääkärisi voisi päättää aloittaa hyperviskositeetin kehittymisen riskiä madaltavan hoidon vain, jos IgM-tasot olisivat todella korkeat.

8. Pitäisikö minun hakeutua myös toisen erikoislääkärin vastaanotolle?

- Koska WM on harvinainen tauti, on suositeltavaa kuulla mielipide toiseltakin lääkäriltä, joka löytyy IWMMF:n kansainväliseltä lääkäreiden listalta. Keskustele toisen mielipiteen kuulemisesta lääkärisi kanssa.

9. Mitkä ovat hoitovaihtoehtoni?

- Nykyään on onneksi olemassa useita hoitovaihtoehtoja. Ennen niitä oli vain vähän, ja sivuvaikutukset olivat usein merkittäviä.
- Hoitoja on pääasiassa kahdenlaisia: Suun kautta otettavia lääkkeitä, joiden käyttöä voi jatkaa toistaiseksi, tai infuusiohoito, joka voi kestää tietyn ajan. Lääkärisi auttaa sinua valitsemaan sinulle parhaiten sopivan hoitovaihtoehdon.
- Rituximab on useiden verisyöpien – kuten WM:n – hoitoon käytetty lääke. Valitettavasti se saattaa aiheuttaa mahdollisesti vaarallisen, usein lyhytkestoisen IgM:n aktivoitumiseksi kutsutun IgM-tasojen kohoamisen. Jotkin potilaat tarvitsevat plasmafereesiksi kutsuttua lääketieteellistä toimenpidettä madaltamaan heidän IgM-tasojensa väliaikaisesti ennen Rituximab-hoidon aloittamista. Rituximab-lääkkeen anto voidaan vaihtoehtoisesti aloittaa hoidon myöhäisemmässä vaiheessa.
- Kerro lääkärillesi hoidon jälkeen kokemistasi sivuvaikutuksista. Usein on olemassa keinoja vähentää niiden vaikutusta.

10. Entä jos WM:ni uusiutuu?

- WM voi uusiutua tai edetä ensimmäisen hoidon jälkeen pitkästäkin remissiosta huolimatta kemoterapian tai jatkuvien hoitojen jälkeen. Jos ensimmäinen hoito on ollut toimiva useiden vuosien ajan, lääkärisi voi toistaa sen tai suositella uutta hoitoa. Monet potilaat eivät tarvitse välitöntä hoitoa, sillä uusiutuminen on oireetonta ja potilasta voidaan tarkkailla tavallisin menetelmin. Keskustele vaihtoehtoista lääkärisi kanssa.

11. Kuinka paljon elinaikaa minulla on?

- WM-potilaiden elinaika on pidentynyt huomattavasti viime vuosina. Ennen potilaille kerrottiin diagnoosin jälkeen, että heillä on 3–5 vuotta elinaikaa jäljellä.
- Nykyään elinajanodote on paljon pidempi. Osa johtavista asiantuntijoista sanoo, että ennustettu elinaika on 15–20 vuotta diagnoosin saamisesta. Useiden potilaiden kuolinsyy on todellisuudessa jokin muu kuin WM. Tärkeintä on, että elinajanodote on pidentynyt huomattavasti, ja että se pitenee edelleen uusien, turvallisten ja kehittyneempien lääkkeiden ansiosta.

12. Mistä voin saada apua?

Ota yhteyttä IWMF:ään:

International Waldenström's Macroglobulinemia Foundation

iwmf.com

Puhelin: 941-927-4963

Kansainvälinen: 001-941-927-4963

IWMF on potilaiden perustama ja johtama ainoa kansainvälinen voittoa tavoittelematon organisaatio, joka keskittyy yksinomaan Waldenströmin makroglobulinemiaan ja jonka visio sekä tavoitteet ovat yksinkertaiset mutta vakuuttavat.

VISIOMME: Maailma ilman Waldenströmin makroglobulinemiaa (WM).

TAVOITTEEMME: Parantaa hoitotuloksia tukemalla ja opettamalla Waldenströmin makroglobulinemiaan (WM) sairastuneita ja edistää mahdollisuuksia löytää parantava hoito.

IWMF työskentelee ahkerasti kehittääkseen parantavan hoidon ja luodakseen maailman ilman WM:ää. Vuodesta 1999 lähtien IWMF on sijoittanut yli 21 miljoonaa dollaria WM:n tutkimukseen ympäri maailman. Tämän tutkimuksen ansiosta WM-potilaat elävät kauemmin, ja paremmat hoitomuodot lievittävät oireita pidempään ja aiheuttavat vähemmän sivuvaikutuksia.

Vieraile IWMF:n verkkosivustolla:

- Lataa ilmainen äskettäin diagnosoiduille tarkoitettu tietopaketti.
- Lataa ilmaisia WM:ää käsitteleviä julkaisuja, jotka on kirjoitettu selkeällä ja helposti ymmärrettävällä tyylillä. Saatavilla useilla eri kielillä.
- Liity paikalliseen IWMF-tukiryhmään tai kansainväliseen sidosorganisaatioon.
- Liity IWMF Connect -verkkoyhteisöön, josta löydät laajan aineiston moderoituja WM:ään liittyviä sähköpostikeskusteluja, tai IWMF:n Facebookiin.
- Osallistu IWMF:n vuosittaiseen koulutusfoorumiin tai liity webinaareihimme.
- Tilaa ilmainen neljä kertaa vuodessa ilmestyvä IWMF Torch -uutiskirjeemme.
- Ota yhteyttä IWMF:n sidosorganisaatioon osoitteessa iwmf.com/international-affiliates/
- Ota yhteyttä IWMF:n yhteistyökumppaneihin osoitteessa: iwmf.com/partners/
- Ota lääkärisi kanssa yhteyttä IWMF:n kansainväliseltä lääkärien listalta löytyvään lääkäriin saadaksesi toisen mielipiteen: iwmf.com/directory-of-wm-physicians/

WM on harvinainen tauti, mutta IWMF ei jätä sinua yksin.



**International Waldenstrom's
Macroglobulinemia Foundation**

6144 Clark Center Avenue, Sarasota, FL 34238

Puhelin: 941-927-4963

Kansainvälinen: 001-941-927-4963

iwmf.com