

Makroglobulinemia Waldenstroma

Niezbędne informacje:
Poradnik dla pacjentów



International Waldenstrom's
Macroglobulinemia Foundation
We współpracy z:





Makroglobulinemia Waldenstroma

Niezbędne informacje: Poradnik dla pacjentów

Stephen M. Ansell, MD, PhD

Dorotha W. i Grant L. Sundquist profesor w Hematologic Malignancies Research, profesor medycyny Mayo Clinic, Mayo Clinic College of Medicine

Carl Harrington

Emerytowany prezes IWWMF,
Global Patient Initiative

Steven Treon, MD, PhD

Dyrektor, Bing Center for Waldenstrom's Macroglobulinemia, profesor medycyny Dana-Farber Cancer Institute, Harvard Medical School

Publikacja została wsparta przez:



Zastrzeżenie medyczne: Przedstawione tu informacje są przeznaczone wyłącznie do zastosowań edukacyjnych. Nie powinny być traktowane jako zamiennik specjalistycznej porady medycznej. Pacjenci powinni korzystać z podanych informacji w pełnej konsultacji i pod opieką lekarza z doświadczeniem w leczeniu WM. Odradzamy pacjentom korzystanie z jakichkolwiek informacji zawartych w niniejszym dokumencie bez ujawnienia ich lekarzowi.

Niezbędne informacje: Poradnik dla pacjentów

1. Co to jest makroglobulinemia Waldenstroma (WM)?

- WM to rodzaj nowotworu krwi, w którym wytwarzana jest zbyt duża ilość określonego nieprawidłowego białka — przeciwciała (immunoglobuliny) o nazwie IgM. IgM to największe ze wszystkich przeciwciał, zwane makroglobuliną. Ogólnie rzecz biorąc, IgM jest „pierwszą odpowiedzią” na infekcje. Nieprawidłowe białko IgM normalnie nie występuje u zdrowych ludzi i nazywane jest również białkiem M lub paraproteiną.
- W przypadku WM nieprawidłowe komórki nie ulegają programowanej śmierci komórek. Zamiast tego, gromadzą się w szpiku kostnym. Mogą w ten sposób wypreć prawidłowe komórki szpiku kostnego, które tworzą nowe czerwone krwinki, co prowadzi do niedokrwistości, a także wypreć wytwarzanie innych komórek, które chronią nas przed infekcjami.
- Te nieprawidłowe komórki WM mogą również rosnąć poza szpikiem kostnym i powodować powiększenie węzłów chłonnych i śledziony lub rozmnażać się w przestrzeni płucnej, mózgu lub kręgosłupie.
- Komórki WM i nadmiar IgM mogą uszkadzać komórki i narządy w organizmie, powodując objawy takie jak męczliwość, drętwienie, mrowienie i osłabienie.
- Nadmiar IgM krąży również we krwi. Ze względu na duży rozmiar IgM, krew może stać się bardzo gęsta, co jest stanem znanym jako nadmierna lepkość. Może to prowadzić do pęknięcia naczyń krwionośnych, powodując krwawienie w siatkówce lub mózgu. IgM może również odkładać się w narządach takich jak nerki i wpływać na ich czynność.
- U niektórych pacjentów z WM mogą występować objawy związane bezpośrednio z samym białkiem IgM, takie jak amyloidoza, krioglobulinemia, choroba zimnych aglutynin lub demielinizacyjna neuropatia obwodowa. Są one rzadkie. Więcej informacji można znaleźć w witrynie internetowej IWMF: iwmf.com.

2. WM to rzadki, obecnie nieuleczalny, ale poddający się leczeniu nowotwór krwi.

- WM jest zwykle nowotworem powolnym, wolno rosnącym, a wielu chorych nie wymaga leczenia, a jedynie okresowych badań krwi. Większość osób z WM wymagających leczenia ma czas na rozważenie opcji leczenia.

3. Jak rzadka jest WM? Jaka jest zachorowalność na WM?

- W USA odnotowuje się około 1500–3000 nowych przypadków WM rocznie, podobnie w Europie. WM stanowi ogółem około 1–2% wszystkich raków krwi.
- Ta rzadkość sprawia, że większość onkologów środowiskowych spotyka w swojej karierze co najwyżej niewiele przypadków WM

4. W jaki sposób diagnozowana jest WM?

- Oprócz badań krwi, do diagnozy niezbędna jest biopsja szpiku kostnego.
- Około 90–95% osób z WM ma taką samą mutację genetyczną w genie, który koduje białko zwane MYD88, natomiast 30–40% ma mutację genetyczną w genie CXCR4. Niektóre mutacje genu CXCR4 wpływają na skuteczność różnych metod leczenia.

5. Skąd się wzięła u mnie WM? Czy moje dzieci też na nią zapadną?

- Przyczyna WM jest nieznana. Mutacje genetyczne związane z WM (w genach MYD88 i CXCR4) są nabyte w ciągu życia i nie są dziedziczne.
- Maksymalnie 25% osób z WM ma krewnego pierwszego stopnia (rodzic, rodzeństwo lub dziecko) lub drugiego stopnia (dziadek, ciocia, wujek, kuzyn) z WM lub innym chłoniakiem z komórek B.
- W niewielkiej liczbie rodzin WM mają zarówno rodzice, jak i dzieci, a także rodzeństwo.
- W przypadkach „rodzinnej” WM rozsądnym krokiem byłoby wykonanie badań morfologicznych krwi i badań w kierunku nieprawidłowego białka poprzez wykonanie elektroforezy białka surowicy. Lekarz podstawowej opieki zdrowotnej może rozważyć zlecenie tych badań krwi potomstwu, które ma 40 lat lub więcej, biorąc pod uwagę późne występowanie WM.

6. WM zazwyczaj przebiega stadiami. Czy przejdę przez wszystkie stadia?

- Często zaczyna się od rozpoznania MGUS (gammopatii monoklonalnej o nieokreślonym znaczeniu), która zazwyczaj jest prekursorem WM. U części tych osób rozwija się bezobjawowa (tłąca się) WM. Leczenie jest potrzebne dopiero wówczas, gdy nastąpi progresja do objawowej WM.
- Nie każdy przechodzi przez te stadia progresji. W rzeczywistości u większości pacjentów z MGUS nie dochodzi do progresji do objawowej WM. Można pozostać na zawsze w stadium MGUS lub bezobjawowym.

7. Kiedy potrzebuję leczenia?

- Zazwyczaj leczenie jest potrzebne, gdy osoba ma objawy związane z niską liczbą krwinek i wysokim obciążeniem nowotworowym — jak męczliwość lub krwawienie — albo gdy podwyższony poziom IgM powoduje objawową nadmierną lepkość krwi, albo uszkadza komórki lub narządy.
- Przebieg WM może się znacznie różnić w zależności od osoby. Niektóre osoby mają na przykład objawy przy niskim poziomie IgM, a inne czują się dobrze przy wysokim poziomie. Dlatego lekarze na ogół leczą ludzi w zależności od ich objawów. Dopiero gdy poziom IgM staje się bardzo wysoki, lekarz może podjąć decyzję o rozpoczęciu leczenia w celu zmniejszenia ryzyka rozwoju nadmiernej lepkości krwi.

8. Czy należy zasięgnąć dodatkowej opinii?

- WM jest chorobą rzadką, zaleca się więc, aby spróbować uzyskać dodatkową opinię od lekarza wymienionego w międzynarodowym katalogu lekarzy IWMF. Uzyskanie dodatkowej opinii należy omówić z zespołem medycznym.

9. Jakie mam możliwości leczenia?

- Dobrą wiadomością jest to, że w dzisiejszych czasach dostępnych jest wiele możliwości leczenia. W przeszłości było ich zaledwie kilka, często ze znacznymi skutkami ubocznymi.
- Leczenie z grubsza dzieli się na dwie kategorie: Leki doustne, które można przyjmować bezterminowo lub leczenie infuzyjne, przyjmowane przez ograniczony czas. Zespół medyczny pomoże Panu/Pani w wyborze opcji najlepszej dla Pana/Pani.
- Rytuksymab jest lekiem stosowanym w leczeniu wielu nowotworów krwi, w tym WM. Niestety, czasami powoduje on krótkotrwały wzrost poziomu IgM, który może być niebezpieczny. Niektóre osoby wymagają zabiegu medycznego zwanego plazmaferezą w celu krótkotrwałego obniżenia poziomu IgM przed rozpoczęciem terapii rytuksymabem. Leczenie rytuksymabem można też rozpocząć później w schemacie leczenia.
- Należy pamiętać o poinformowaniu zespołu medycznego o wszelkich skutkach ubocznych, które wystąpią po leczeniu. Nierzadko można zastosować strategie zmniejszające ich wpływ.

10. Co zrobić, jeśli WM nawróci?

- WM może nawrócić lub postępować po początkowym leczeniu, mimo długiego okresu remisji po chemioterapii lub mimo ciągłej terapii. Jeśli początkowe leczenie było skuteczne przez kilka lat, lekarz może je powtórzyć lub zalecić nową metodę leczenia. U wielu pacjentów bezpośrednio leczenie nie jest potrzebne od razu, ponieważ nawrót choroby jest bezobjawowy, a pacjenta można obserwować za pomocą regularnych kontroli. Możliwości należy omówić z zespołem medycznym.

11. Jak długo będę żyć?

- W ostatnich latach długość życia osób z WM znacznie wzrosła. W przeszłości wielu pacjentom mówiono, że po rozpoznaniu choroby pozostało im 3–5 lat życia.
- Obecnie jest to okres znacznie dłuższy — niektórzy specjaliści w dziedzinie WM mówią o średnio 15–20 latach od daty diagnozy. W rzeczywistości przyczyna zgonu wielu pacjentów jest niezwiązana z WM. Najważniejsze jest to, że ramy czasowe znacznie się wydłużyły i nadal się wydłużają wraz z nowszymi, bezpieczniejszymi i skuteczniejszymi lekami.

12. Gdzie mogę uzyskać pomoc?

Należy skontaktować się z IWMF:

International Waldenström's Macroglobulinemia Foundation

iwmf.com

Telefon: 941-927-4963

Międzynarodowy: 001-941-927-4963

IWMF, jedyna międzynarodowa organizacja poświęcona wyłącznie makroglobulinemii Waldenstroma, jest organizacją non-profit założoną przez pacjentów i kierowaną przez nich, z prostą, ale przekonującą wizją i misją.

NASZA WIZJA: Świat bez WM (makroglobulinemii Waldenstroma)

NASZA MISJA: Wspieranie i edukowanie wszystkich, których dotknęła makroglobulinemia Waldenstroma (WM) w celu poprawy wyników pacjentów, z jednoczesnym rozwijaniem poszukiwania metody uleczenia.

IWMF jest zaangażowana w tworzenie świata bez WM poprzez znalezienie metody uleczenia. Od 1999 roku IWMF zainwestowała ponad 21 milionów dolarów w projekty badawcze dotyczące WM na całym świecie. Dzięki tym badaniom pacjenci z WM żyją dłużej i mają lepsze możliwości leczenia, które mogą prowadzić do dłużej utrzymujących się remisji z mniejszą ilością skutków ubocznych.

W witrynie internetowej IWMF można:

- Pobrać bezpłatny pakiet informacyjny dla nowo zdiagnozowanych.
- Pobrać bezpłatne publikacje na temat WM napisane w jasnym, zrozumiałym stylu i dostępne w wielu językach.
- Dołączyć do lokalnej grupy wsparcia lub globalnego partnera IWMF.
- Dołączyć do IWMF Connect, społeczności internetowej oferującej szeroki wybór moderowanych dyskusji e-mailowych związanych z WM lub do IWMF na Facebooku.
- Wziąć udział w corocznym forum edukacyjnym IWMF lub w naszych webinarach online.
- Subskrybować IWMF Torch, nasz bezpłatny biuletyn kwartalny.
- Z oddziałem IWMF można skontaktować się na stronie iwmf.com/international-affiliates/
- Kontakt z partnerem IWMF: iwmf.com/partners/
- Aby we współpracy ze swoim zespołem medycznym skontaktować się z katalogiem lekarzy IWMF w celu uzyskania drugiej opinii, przejdź na stronę: iwmf.com/directory-of-wm-physicians/

WM to rzadka choroba, ale z IWMF nikt nie jest już sam.



**International Waldenström's
Macroglobulinemia Foundation**

6144 Clark Center Avenue, Sarasota, FL 34238

Telefon: 941-927-4963

Międzynarodowy: 001-941-927-4963

iwmf.com