

CML: ÚTMUTATÓ CSALÁDTAGOK ÉS GONDOZÓK RÉSZÉRE



MIT ÉRDEMES TUDNIA A CML-RŐL? MIRE SZÁMÍTSON?



MI A CML, ÉS MIÉRT ALAKUL KI EZ A BETEGSÉG?

A krónikus mieloid leukémia (röviden: CML) a fehérvérsejtek daganatos betegsége. Egy mutáció – magyarul genetikai hiba – okozza. A 9-es és a 22-es kromoszómából kis darabok letörnek, majd kicserélődnek, így létrejön az úgynevezett Philadelphia-kromoszóma. Ennek következtében egy új gén keletkezik: a **BCR-ABL** gén, mely megzavarja a fehérvérsejtek képződését a csontvelőben, és kontroll nélküli osztódásukat okozza.¹ A betegség súlyosbodásával párhuzamosan nagyszámú fehérvérsejt halmozódik fel a vérben és a csontvelőben. Egyelőre még nem tudjuk, mi okozza a genetikai mutációt.²

MILYEN VIZSGÁLATOKKAL DIAGNOSZTIZÁLHATÓ A CML?

Vér- és csontvelőminták vizsgálatával állapítjuk meg a diagnózist és azt, hogy a betegség melyik szakasza (fázisa) zajlik éppen. Pontosabb diagnózis a Philadelphia-kromoszóma kimutatásával állítható fel. Ehhez citogenetikai vizsgálatot (FISH) végeznek. A kóros BCR-ABL gén jelenlétét molekuláris genetikai vizsgálattal (PCR) mutatják ki.³ Néhány esetben a lép ultrahangvizsgálatát kéri az orvos, hogy lássa, megnagyobbodott -e, ugyanis ez CML tünete lehet.⁴

HA CML-T ÁLLAPÍTANAK MEG VALAKINÉL, VÁRHATÓAN MILYEN KEZELÉSBEN RÉSZESÜL?

A diagnózis időpontjában a CML-es betegek többsége a „krónikus” szakaszban van (ezt korai stádiumnak is nevezzük).⁵ A legtöbb ilyen beteg a tirozin-kináz-gátlóknak (TKI-knek) nevezett tablettás gyógyszerekkel kezelhető. Sokféle TKI létezik ugyan, ám ezek mindegyike úgy hat, hogy gátolja a leukémia sejtek osztódását.⁵

A kezelésre jól reagáló betegeknél a kóros fehérvérsejtek száma néhány hónapon belül lecsökken. A kóros fehérvérsejtek eltűnését a vérből remisszióknak nevezzük. Megfelelő válasz esetén nagyon nagy a hosszú távú remisszió esélye. Bár a kezelésnek lehetnek mellékhatásai, az ilyen betegek kilátásai nagyon jók, várható élettartamuk csaknem olyan, mint a normál populációé.⁶

MINDEN ÚJONNAN DIAGNOSZTIZÁLT BETEG REAGÁL A GYÓGYSZERES KEZELÉSRE?

A CML-lel újonnan diagnosztizált betegek zöme jól reagál az elsőként választott TKI-re.⁵ Az orvos a *BCR-ABL* gén szintjének mérésével ellenőrzi a terápiás választ, illetve figyelemmel kíséri, hogy a fehérvérsejtek száma visszatér-e a normál tartományba. Ha a beteg nem reagál az első kezelésre, vagy ha túl sok mellékhatás jelentkezne, az orvos más típusú TKI alkalmazása mellett dönthet. Mivel többféle TKI áll rendelkezésre, a legtöbb betegnél találunk olyan gyógyszert, melynek biztonsági profilja megfelelő.⁷

A CML-ES BETEGNEK EGÉSZ ÉLETÉBEN SZEDNIE KELL A GYÓGYSZERT?

A közelmúltban végzett vizsgálatok eredményei szerint a betegek egy része bizonyos idő után – káros következmények nélkül – abbahagyhatja a CML-kezelést.⁸ Fontos azonban megjegyezni, hogy a CML-es betegek többségének a betegség féken tartása érdekében egész életében folytatnia kell a kezelést.⁹



RÖVIDEBB A CML-ES BETEG VÁRHATÓ ÉLETTARTAMA?

A legtöbb CML-es beteg a krónikus szakaszban van a diagnózis felállításakor. Ezek a betegek rendszerint nagyon jól reagálnak a modern gyógyszerekre, és kiváló kilátásaik vannak az élettartam és életminőség tekintetében.⁶ Intenzívebb kezelésre van szükség a CML előrehaladott stádiumaiban, melyekben a várható élettartam jellemzően alacsonyabb. Ugyanakkor a modern kezelési módszereknek köszönhetően igen ritkán fordul elő, hogy a krónikus szakaszban diagnosztizált betegség előrehaladottabb stádiumba súlyosbodik.⁵

MILYEN MELLÉKHATÁSOKKAL JÁR A TKI-KEZELÉS?

Mint minden más daganatellenes kezelés esetén, úgy a TKI-kezelés alatt is jelentkeznek mellékhatások, például krónikus fáradtság, gyomorpanaszok vagy bőrelváltozások. Ezek a mellékhatások nehézséget okozhatnak ugyan a betegek számára, de nem túlságosan súlyosak, és megfelelő kezeléssel hatásosan kézben tarthatók.¹⁰

FOLYTATHATÓ A KEZELÉS MELLÉKHATÁSOK, PÉLDÁUL CSONT- VAGY IZOMFÁJDALOM, ILLETVE IZOMGÖRCÖK JELENTKEZÉSE ESETÉN?

Nagyon fontos, hogy a beteg jelezze az orvosnak, ha mellékhatás jelentkezik. Az orvos tanácsot adhat vagy kezelést javasolhat a mellékhatások rendezése érdekében, vagy más típusú TKI-t rendelhet.⁹

Lényeges, hogy rendszeresen és az utasításoknak megfelelően folytassa a beteg a gyógyszer szedését (ezt hívjuk terápiás adherenciának, kezeléshez való ragaszkodásnak). Ez alapvető a CML sikeres kezeléséhez. Tudományos vizsgálatok igazolták, hogy ha a beteg az adagok több mint 10%-át kihagyja, kisebb valószínűséggel tartható kézben a betegség. A betegségkontroll a terápiás válasz mélysége mutatja. Kívánatos legalább a major molekuláris válasz (MMR) elérése a lehető legjobb hosszútávú eredményhez.¹¹



CSALÁDTAGKÉNT VAGY GONDOZÓKÉNT HOGYAN SEGÍTHETEK A BETEGNEK A KEZELÉS SORÁN?

Amint már említettük a CML esetén igencsak lényeges a terápiás adherencia. Ez az a terület, ahol Ön értékes támogatást nyújthat a betegnek. Például gondoskodhat róla, hogy a beteg környezetében élő személyek megértsék annak fontosságát, hogy a CML-es beteg rendszeresen, pontosan az orvos által előírt módon szedje a gyógyszerét. Azzal is segíthet, hogy emlékezteti a beteget a gyógyszerbevételre, amikor az esedékes. Mindannyiunknak zsúfolt az élete, így könnyen elfeledkezünk bizonyos dolgokról. Lehetséges, hogy Ön olyan helyzetben van, hogy praktikus megoldásokat, kreatív módszereket javasolhat a betegnek azért, hogy eszébe jusson a gyógyszer bevétele.

A modern eszközök is a segítségünkre lehetnek, például az elektronikus gyógyszeres dobozok, melyek szöveges emlékeztetőt küldenek a beteg okostelefonjára. Előfordulhat olyan eset is, amikor a beteg nem akarja bevenni a gyógyszert, például mellékhatások miatt. Ilyenkor Ön beszélhet vele a lehetőségekről, és bátoríthatja, hogy a gyógyszer elhagyása helyett beszélje meg a mellékhatásokat a kezelőorvosával.

HOGYAN SEGÍTHET A BETEGNEK, HOGY A LEHETŐ LEGHASZNOSABB LEGYEN SZÁMÁRA AZ ORVOSSAL VALÓ TALÁLKOZÁS?

Önnek kiemelt szerepe lehet abban, hogy a beteg a lehető legjobban ki tudjon használni minden olyan alkalmat, amikor felkeresi orvosát, még ha az az Ön számára is megterhelő érzelmileg. Ha előzetesen megbeszéljük és felírják a kérdéseiket, azzal hozzájárulnak, hogy a beteg minden szükséges információt megkapjon az orvostól. Előfordul, hogy a beteg nehezen fejezi ki érzéseit és adja át azokat az információkat az orvosnak, amelyeket el szeretne mondani. Ezekre emlékeztetheti a beteget, alkalmasint közvetítheti, amit a beteg közölni kíván, ha ez nehézséget jelentene számára.

Bizonyos körülmények között lehetséges, hogy a beteg szeretne bonyolultabb kérdéseket feltenni a kezelését illetően. Ön egyre többet tudhat meg a kezeléssel, és szerepet vállalhat az orvossal folytatott megbeszéléseken.



MILYEN EGYÉB TÁMOGATÁST NYÚJTHAT ÖN A BETEG SZÁMÁRA?

Elemi jelentőséggel bír a beteg támogatása. A CML hosszú távú betegség, melynek lefolyása közben számos gyakorlati, testi és pszichés kihívással szembesül a beteg. Habár a betegek zöménél kedvező a várható élettartam, a legtöbbüknek minden nap szednie kell a gyógyszerét. Mellékhatások jelentkezhetnek, ezekkel meg kell küzdenie a betegnek, illetve feltehetően sokszor megy kórházba. Az Ön által a betegnek nyújtott támogatás minden tekintetben felbecsülhetetlen.

Az Ön támogatása és megértése meglehetősen fontos ahhoz, hogy a beteg érezze, nincsen egyedül a megpróbáltatások közepette. A CML alaposabb megismerése révén megadhatja a betegnek a szükséges támogatást.

A betegképviselői szervezetek segítséget és támogatást nyújtanak a betegeknek és gondozóiknak egyaránt. Némely szervezeteket kimondottan a családok, szülők és gondozók számára hoztak létre.

Az ilyen szervezetek igazán hasznos alkalmakat teremthetnek arra, hogy olyan emberekkel ossza meg a megszerzett ismereteket, akik ugyanolyan helyzetben vannak, mint Ön. További tájékoztatást a MOHA honlapján talál (www.onkohemat.hu).



SZÓJEGYZÉK

BCR-ABL GÉN

A BCR-ABL gén jelenléte a CML sejtekre jellemző, egyedi vonás. Két másik gén, a BCR és az ABL összeolvadásából jön létre, ezek normál körülmények között külön-külön egységeket képeznek a genetikai kódon belül. A gének egyesülésekor a bennük foglalt utasítások megváltoznak. A CML-betegben kimutatható, BCR-ABL gént hordozó sejtek rendellenes módon viselkednek.

CSONTVELŐ

A csontvelő a csont belsejében található lágy szövet. Össejteket tartalmaz, melyek az új vörsejtek előállításáért felelősek.

KROMOSZÓMA

A genetikai kód nagyon hosszú. Azért, hogy elférjen testünk minden sejtjében, a kromoszómáknak nevezett, kifinomult felépítésű szerkezetekbe szerveződik.

KRÓNIKUS FÁZIS

A CML krónikus szakaszában (fázisában) a legstabilabb a betegség, ekkor lassan halad előre. A betegek zöme (85%-a) a diagnózis megállapításakor a krónikus fázisban van⁵, ebben a stádiumban a legkönnyebb a kezelés.

MAJOR MOLEKULÁRIS VÁLASZ (MMR)

A molekuláris válasz azt jelzi, hogy milyen mértékben csökkent a BCR-ABL gént tartalmazó sejtek száma.

A major molekuláris válasz vagy MR3.0 az az állapot, amikor a BCR-ABL mennyisége nagyon alacsony: 1000 sejtől körülbelül 1-ben található meg a kóros gén.

POLIMERÁZ-LÁNCREAKCIÓ (PCR)

A polimeráz-láncreakcióval (rövidítése: PCR) egy bizonyos gén mennyisége mérhető. Az orvosok ezzel a vizsgálóeljárással mérik a jelen lévő BCR-ABL gén mennyiségét a molekuláris válasz ellenőrzéséhez.

LÉP

A lép szerepet játszik a fertőzések leküzdésében, és szabályozza a vörsejtek szintjét. Ez a szervünk a vér szűrésével eltávolítja az öreg vagy sérült vörösvértesteket.

TIROZIN-KINÁZ-GÁTLÓ (TKI)

A tirozin-kináz-gátlók (tirozin-kináz-inhibitorok, rövidítve: TKI) a CML kezelésére szolgáló gyógyszerek. A leukémia sejtekben lévő BCR-ABL gén hatását gátolják.

FEHÉRVÉRSEJTEK

Ez a sejtszövet az immunrendszer részét képezi, tagjai segítenek a fertőzések és más betegségek leküzdésében. A csontvelői őssejtek termelik őket.

IRODALOM

1. Salesses S, Verfaillie CM. BCR/ABL: from molecular mechanisms of leukemia induction to treatment of chronic myelogenous leukemia. *Oncogene*. 2002; 2, 8547–8559. 2. Nambiar M, Raghavan SC. How does DNA break during chromosomal translocations? *Nucleic Acids Research*. 2011; 39 (14), 5813–5825. 3. Jabbarou and Kantarjian. CME Information: Chronic Myeloid Leukemia: 2016 update on diagnosis, therapy and monitoring. *American Journal of Hematology*. 2016; 91: 252–265. 4. Cancer Research UK <http://www.cancerresearchuk.org/aboutcancer/chronic-myeloid-leukaemia-cml/getting-diagnosed/tests/ultrasound> Letöltve 2017. november. 5. Negrin RS, Schiffer CA. Patient education: Chronic myeloid leukemia (CML) in adults (Beyond the Basics). UpToDate. 2016 <https://www.uptodate.com/contents/chronic-myeloid-leukemia-cml-in-adults-beyond-the-basics> 6. NHS Choices 2016 <https://www.nhs.uk/conditions/chronic-myeloid-leukaemia/> Letöltve 2017. november. 7. DeAngelo DJ. Managing chronic myeloid leukemia patients intolerant to tyrosine kinase inhibitor therapy. *Blood Cancer Journal*. 2012; 19 (2): e95. 8. Hughes TP, Ross D. Moving treatment-free remission into mainstream clinical practice in CML. *Blood*. 2016; 128 (1): 17–23. 9. Bloodwise <https://bloodwise.org.uk/info-support/chronic-myeloid-leukaemia/treatment> Letöltve 2017. november. 10. National Comprehensive Cancer Network Guidelines for Patients. CML. 2016 11. Marin D, Bazeous, et al. Adherence Is the Critical Factor for Achieving Molecular Responses in Patients With Chronic Myeloid Leukemia Who Achieve Complete Cytogenetic Responses on Imatinib. *Journal of Clinical Oncology*. 2010; 28: 2381–2388.

Készült a Novartis Hungária Kft által a Magyar Onkohematológiai Betegkért Alapítvány ajánlásával.

Ez a beteg tájékoztató általános információkat tartalmaz a CML-lel kapcsolatban. Tekintettel arra, hogy a betegségek lefolyása, az egyes betegek sajátosságainak megfelelő életmód, táplálkozás egyedileg eltérő lehet, kiemelten fontos az Ön számára, hogy bármilyen életmód-változtatást előzetesen a kezelőorvosával egyeztessen. Személyes egészségi állapotára vonatkozó minden kérdésben szíveskedjen kezelőorvosához fordulni. Kérjük, olvassa el az Ön által szedett gyógyszerhez mellékelt hivatalos beteg tájékoztatót.

Lektoráló orvos neve: Dr. Szombath Gergely

www.onkohemat.hu • www.facebook.com/onkohemat.hu • HU1912778012 • Lezárás dátuma: 2019. 12. 03.

JOGI NYILATKOZAT

A MOHA hiteles információk közzétételére törekszik, de azok időszerepességével, érvényességével, teljességével kapcsolatban, illetve a tájékoztatóból fakadó esetleges károkért felelősséget nem vállal. Felhívjuk a figyelmét, hogy anyagaink kizárólag tájékoztató és ismeretterjesztő jellegűek, így nem adhatnak választ minden olyan kérdésre, amely egy adott betegséggel, kezeléssel vagy más témával kapcsolatban felmerülhet, és nem pótolhatják az orvosokkal, gyógyszereszekkel vagy más egészségügyi szakemberekkel való személyes találkozást, beszélgetést és gondos kivizsgálást.