

KARTA INFORMACYJNA

MYELOMA PATIENTS EUROPE

AMYLOIDOZA AL



Myeloma
Patients
Europe

Edition: Myeloma Patients Europe (MPE)

Updated: November 2020

Myeloma Patients Europe AISBL

Avenue Louise 143/4

1050 Brussels

Belgium

www.mpeurope.org

info@mpeurope.org

Polska wersja językowa:

hematoonkologia.pl

KARTA INFORMACYJNA

EUROPEJSKIE STOWARZYSZENIE PACJENTÓW CHORYCH NA SZPICZAKA

Europejskie Stowarzyszenie pacjentów chorych na szpiczaka (Myeloma Patients Europe, MPE) opracowało szereg informacji dla pacjentów i organizacji stowarzyszających grupy pacjentów dotyczących dostępnych metod leczenia szpiczaka plazmocytoowego jak również innych ważnych problemów związanych z chorobą.

Materiały informacyjne poruszają najważniejsze zagadnienia związane z leczeniem, żeby pacjent mógł czuć się bezpiecznie i wiedział, jakie pytania zadawać swojemu lekarzowi.

W każdym opisanym leku/metodzie leczenia poruszone są następujące kwestie:

Informacje dostępne są dla następujących leków lub zagadnień:

- | | |
|---|---|
| ■ Czym jest szpiczak plazmocytowy? | ■ Amyloidozą |
| ■ Czym jest dany lek/metoda leczenia? | ■ Belantamab mafodotin |
| ■ Jak on/-a działa? | ■ Bortezomib |
| ■ Jakie są korzyści z tego leczenia? | ■ Karfilzomib |
| ■ Jakie są jego skutki uboczne? | ■ Daratumumab |
| ■ Kto nie powinien być leczony tym lekiem/tą metodą leczenia? | ■ Elotuzumab |
| ■ Jaki jest sposób podawania i dawkowania leku? | ■ Iksazomib |
| | ■ Lenalidomid |
| | ■ Panobinostat |
| | ■ Pomalidomid |
| | ■ Talidomid |
| | ■ Transplantacja komórek krwiotwórczych |

Leczenie szpiczaka plazmocytoowego ciągle się rozwija. Wraz z nowymi danymi lub pojawieniem się nowych leków powyższe informacje będą uaktualniane.

Czym jest amyloidoza?

Termin amyloidoza odnosi się do grupy chorób spowodowanych gromadzeniem się w organizmie nieprawidłowo uformowanego białka, zwanego amyloidem. Amyloidoza jest bardzo rzadko występującą, poważną chorobą, która może doprowadzić do zagrażających życiu uszkodzeń narządów.

Istnieje wiele rodzajów amyloidoz. Nazwę choroby tworzy się dodając do członu „amyloidoza” nazwę białka, które odkłada się w narządach, np. amyloidoza łańcuchów lekkich (w skrócie AL). Stanowi ona ok 75% wszystkich amyloidoz, a jej szacowana częstość to 9 przypadków na milion mieszkańców/rok. Podejrzewa się jednak, że z powodu niespecyficznych objawów, które są przypisywane innym, bardziej powszechnym jednostkom chorobowym, częstość występowania amyloidozy pozostaje niedoszacowana.

Jaki jest związek amyloidozy AL ze szpiczakiem plazmocytowym

Amyloidoza AL jest chorobą pokrewną w stosunku do szpiczaka z dwóch powodów. Po pierwsze, wywodzi się ona z tych samych, nieprawidłowych komórek plazmatycznych, które u zdrowych osób są odpowiedzialne za produkcję przeciwciał niezbędnych do walki z infekcjami. Przeciwciała, zwane inaczej immunoglobulinami, składają się z 4 łańcuchów białkowych: 2 łańcuchów lekkich – kappa (κ) i lambda (λ) oraz dwóch łańcuchów ciężkich. W amyloidozie AL nowotworowe komórki plazmatyczne produkują nieprawidłowy łańcuch lekki tylko jednego typu – λ (częściej) lub κ (rzadziej). Nieprawidłowa budowa łańcuchów lekkich uniemożliwia ich rozpuszczenie, a w konsekwencji odkładają się one w narządach wewnętrznych.

Poprzez podobną patogenezę obu chorób, cel ich leczenia jest również taki sam – zniszczenie jak największej liczby patologicznych plazmocytw. Zatem kolejną cechą, która czyni amyloidozę AL pokrewną szpiczakowi, jest leczenie, które opiera się na tych samych lekach.

U około 12-15% chorych na szpiczaka plazmocytoowego rozwinię się amyloidoza. U jeszcze mniejszej liczby chorych wytworzona zostanie tylko niewielka ilość amyloidu, która nie będzie dawała objawów i może pozostać nierozpoznana. W obu przypadkach mówimy o amyloidozie w przebiegu szpiczaka plazmocytoowego, a leczenie jest takie samo jak w przypadku samego szpiczaka.

Jak diagnozuje się amyloidozę AL?

Rozpoznanie amyloidozy AL we wczesnym etapie rozwoju choroby jest kluczowe, umożliwia bowiem włączenie leczenia zanim dojdzie do nieodwracalnych uszkodzeń narządów oraz zapobiega dalszemu pogorszeniu ich stanu. W trakcie diagnostyki wykorzystywanych jest wiele badań:

- laboratoryjne – badania krwi i moczu celem wykrycia nieprawidłowego białka oraz celem oceny funkcji narządów/stopnia ich uszkodzenia;
- badania obrazowe, które uwidaczniają narządy wewnętrzne i oceniają ich budowę lub funkcję, np. echokardiografia, rezonans magnetyczny;
- biopsja tkanki – polega na pobraniu igłą niewielkiej ilości tkanki pacjenta, najczęściej skóry, tkanki tłuszczowej z okolicy brzucha lub błony śluzowej odbytnicy. Można również wykonać biopsję innych, podejrzanych o zajęcie przez amyloid narządów.

Jakie są metody leczenia amyloidozy AL?

Głównym celem leczenia amyloidozy AL jest zahamowanie uszkodzenia zajętych narządów i, w miarę możliwości, stopniowa poprawa ich funkcji. Proces regeneracji narządów jest powolny. Dotychczas nie było leków pozwalających usunąć złogi amyloidu z narządów. Obecnie ich skuteczność sprawdza się w badaniach klinicznych dotychczasowe rezultaty są obiecujące. Amyloidozę AL leczy się podobnie jak szpiczaka plazmocytoowego. Niektóre wyniki badań klinicznych wykazały nawet lepszą skuteczność tych samych leków w amyloidozie AL niż w szpiczaku plazmocytoowym.

Dostępными metodami leczenia są chemioterapia lub autologiczna transplantacja komórek krwiotwórczych (czyli przeszczepienie komórek własnych pacjenta), która może dać długotrwałą remisję choroby. Do tej procedury w amyloidozie AL kwalifikują się relatywnie młodzi chorzy, pozostający w dobrym stanie ogólnym z odpowiednio dobrą funkcją narządów. Zaawansowane stadium uszkodzeń narządów zwiększa ryzyko śmierci w trakcie transplantacji, dlatego w takich przypadkach się jej nie wykonuje. W takiej sytuacji stosuje się leczenie za pomocą chemioterapii lub immunoterapii dostosowanej do zaawansowania choroby.

Najważniejszymi lekami stosowanymi w leczeniu amyloidozy AL są inhibitory proteasomu (bortezomib oraz inhibitory kolejnej generacji: karfilzomib i iksazomib), które są stosowane w schematach dwu- lub trójkowych i pozwalają uzyskać długotrwałą odpowiedź na leczenie. Leki te bardzo poprawiły rokowanie w amyloidozie AL. Oprócz inhibitorów proteasomu stosowane są chemioterapeutyki (melfalan, cyklofosfamid), leki immunomodulujące (talidomid, lenalidomid, pomalidomid) oraz przeciwciała monoklonalne antyCD38 – daratumumab. Lek ten spowodował przełom w leczeniu szpiczaka i amyloidozy AL. Daratumumab zachowuje wysoką skuteczność zarówno stosowany pojedynczo, jak i w skojarzeniu z innymi lekami, dając długotrwałą odpowiedź i poprawę funkcji narządów.

Okolo 12-15% chorych na szpiczaka plazmocytoowego rozwinię amyloidozę. U jeszcze mniejszej liczby chorych wytworzona zostanie tylko niewielka ilość amyloidu, która nie będzie dawała objawów i może pozostać nierozpoznana. W obu przypadkach mówimy o amyloidozie w przebiegu szpiczaka plazmocytoowego. Takich chorych leczy się tak samo jak szpiczaka plazmocytoowego.

Bibliografia:

- 1.Orphanet Journal of Rare Diseases – AL Amyloidosis, E.Desport et al. – 21 August 2012 -<https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/1750-1172-7-54>
- 2.Medscape – Pitfalls in the Diagnosis of Primary Amyloidosis – Cheng E. et al. – Clin Lymphoma Myeloma. 2010;10(3):177-180. – <http://www.medscape.com/viewarticle/723576>
- 3.What is new in diagnosis and management of light chain amyloidosis? – Giovanni Palladini, Giampaolo Merlini. <https://doi.org/10.1182/blood-2016-01-629790>
- 4.Bahlis, N., Lazarus, H. Multiple myeloma-associated AL amyloidosis: is a distinctive therapeutic approach warranted?. Bone Marrow Transplant 38, 7–15 (2006). <https://doi.org/10.1038/sj.bmt.1705395>





© Myeloma Patients Europe (MPE)

MPE is a network of European myeloma patient organisations. It supports national patient organisations to improve treatment and access for patients in their countries and helps inform and raise awareness on a European level through its educational programmes. Please note, this information does not replace the information provided by your doctor. If there is anything that is not clear to you, please always ask your clinical team.



© Myeloma Patients Europe (MPE)

Myeloma Patients Europe

 [mpeurope](https://www.facebook.com/mpeurope)

 [@mpeurope](https://twitter.com/mpeurope)

info@mpeurope.org

www.mpeurope.org