

Mieloma multiplo

Cos'è il
mieloma multiplo?

Siamo qui
per spiegarcelo.

www.anticancerfund.org | www.esmo.org



www.anticancerfund.org



www.esmo.org

Guide ESMO/ACF per il Paziente
basate sulle Linee Guida per la Pratica Clinica ESMO

MIELOMA MULTIPLO: UNA GUIDA PER IL PAZIENTE

INFORMAZIONI PER IL PAZIENTE BASATE SULLE LINEE GUIDA PER LA PRATICA CLINICA ESMO

La presente guida è stata preparata dall'Anticancer Fund come servizio per il paziente, per aiutare lui/lei e i suoi familiari a comprendere meglio la natura del mieloma multiplo e a riconoscere le migliori opzioni terapeutiche disponibili in base al sottotipo di malattia. Raccomandiamo ai pazienti di chiedere ai loro medici quali sono gli esami o i tipi di trattamenti necessari per la tipologia e lo stadio di malattia. Le informazioni mediche riportate in questo documento si basano sulle linee guida per la pratica clinica della European Society for Medical Oncology (ESMO) per il trattamento del mieloma multiplo. La presente guida per il paziente è stata sviluppata in collaborazione con l'ESMO ed è distribuita con il permesso dell'ESMO. La guida è stata scritta da un clinico e rivista da due oncologi dell'ESMO, uno dei quali è l'autore principale delle linee guida per la pratica clinica destinate ai medici professionisti. La guida è stata rivista anche dai rappresentanti della European Oncology Nursing Society (EONS) e dai rappresentanti dei pazienti dell'ESMO Patient Advocates Working Group.

Ulteriori informazioni sull'Anticancer Fund sono disponibili all'indirizzo www.anticancerfund.org

Ulteriori informazioni sulla European Society for Medical Oncology sono disponibili all'indirizzo www.esmo.org

La definizione dei termini contrassegnati con l'asterisco è fornita alla fine del documento.

Sommario

| | |
|---|----|
| Scheda informativa sul mieloma multiplo | 3 |
| Definizione di mieloma multiplo | 5 |
| Il mieloma multiplo è frequente? | 6 |
| Quali sono le cause del mieloma multiplo? | 7 |
| Come viene diagnosticato il mieloma multiplo? | 8 |
| Cosa è importante sapere ai fini della scelta del trattamento migliore? | 11 |
| Quali sono le opzioni di trattamento? | 13 |
| Quali sono i possibili effetti indesiderati dei trattamenti? | 18 |
| Cosa succede una volta terminato il trattamento? | 20 |
| Definizione dei termini tecnici | 22 |

I testi della presente guida sono stati scritti dal Dott. Alberto Mussetti (per conto dell'Anticancer Fund) e rivisti dalla Dott.ssa Ana Ugarte (Anticancer Fund), dalla Dott.ssa Svetlana Jezdic (ESMO), dal Prof. Philippe Moreau (ESMO), dal Prof. Christian Buske (ESMO), da Vanessa Marchesi, PhD (ESMO), da Claire Bramley (ESMO), dal Prof. Jean-Yves Douillard (ESMO), da Anita Margulies BSN RN (EONS), Patricia Bosman, MSc (EONS), Ananda Plate (ESMO Patient Advocates Working Group; Myeloma Patients Europe), Alfonso Aguarón (Myeloma Patients Europe) e Ana Vallejo (Myeloma Patients Europe).

I testi sono stati tradotti in italiano da un traduttore professionista e validati dal Dott. Alberto Mussetti.

SCHEDA INFORMATIVA SUL MIELOMA MULTIPO

Definizione:

- Il mieloma multiplo è un tumore maligno che origina dalle plasmacellule*, un tipo di globuli bianchi che si annidano nel midollo osseo. Queste cellule fanno parte del sistema immunitario e hanno la funzione di produrre anticorpi* per proteggerci dalle infezioni.

Diagnosi:

- Al momento della diagnosi possono essere presenti sintomi* specifici come affaticamento, aumento della frequenza di infezioni, dolore osseo o fratture spontanee.
- Le indagini necessarie per formulare una diagnosi sono:
 - o L'identificazione della proteina monoclonale* (un anticorpo* prodotto dalle plasmacellule* dei pazienti con mieloma multiplo) nel sangue o in campioni di urine delle 24 ore;
 - o L'aspirato midollare* o la biopsia midollare* per misurare la percentuale di cellule di mieloma nel midollo osseo;
 - o La valutazione delle lesioni ossee* può essere effettuata dal medico mediante una risonanza magnetica (RM), una tomografia computerizzata (TC)* *total body* a basso dosaggio di radiazioni o una tomografia a emissione di positroni (*positron emission tomography, PET*)*.
 - o Gli esami del sangue per valutare la funzionalità renale e i livelli di calcio e di emoglobina*.

Trattamento:

- Il trattamento è necessario solo in caso di malattia sintomatica* (in presenza di ipercalcemia*, problemi renali, anemia* o lesioni ossee*) o di malattia asintomatica ad alto rischio*.
- *I pazienti che ricevono il trattamento di prima linea si dividono in due gruppi:*
 - o Pazienti in buone condizioni fisiche ritenuti idonei per il trapianto autologo*: 4-6 cicli di chemioterapia* a base di bortezomib* seguiti da melfalan* ad alti dosi e dal trapianto autologo* nell'ambito della riduzione della malattia dopo il consolidamento*.
 - o Pazienti con comorbidità* significative o che non presentano condizioni fisiche sufficientemente buone per sottoporsi a trapianto autologo*: in questi pazienti, i trattamenti standard sono rappresentati da combinazioni orali di melfalan* e prednisone* con farmaci più recenti. In questo caso, dopo la fine dei cicli di trattamento programmati non sono necessarie ulteriori terapie.
- *Trattamento della malattia recidivata* e refrattaria*:*

La scelta del trattamento dipende da diversi parametri riguardanti il paziente (età e stato di salute) e le terapie precedentemente somministrate. Il trapianto autologo* può rappresentare ancora un'opzione. Il trapianto allogenico* deve essere eseguito solo nell'ambito delle sperimentazioni cliniche.
- L'arruolamento negli studi clinici è fortemente raccomandato per i trattamenti sia di prima linea sia delle linee successive, poiché attualmente parecchi nuovi farmaci attivi sono in fase di sperimentazione.

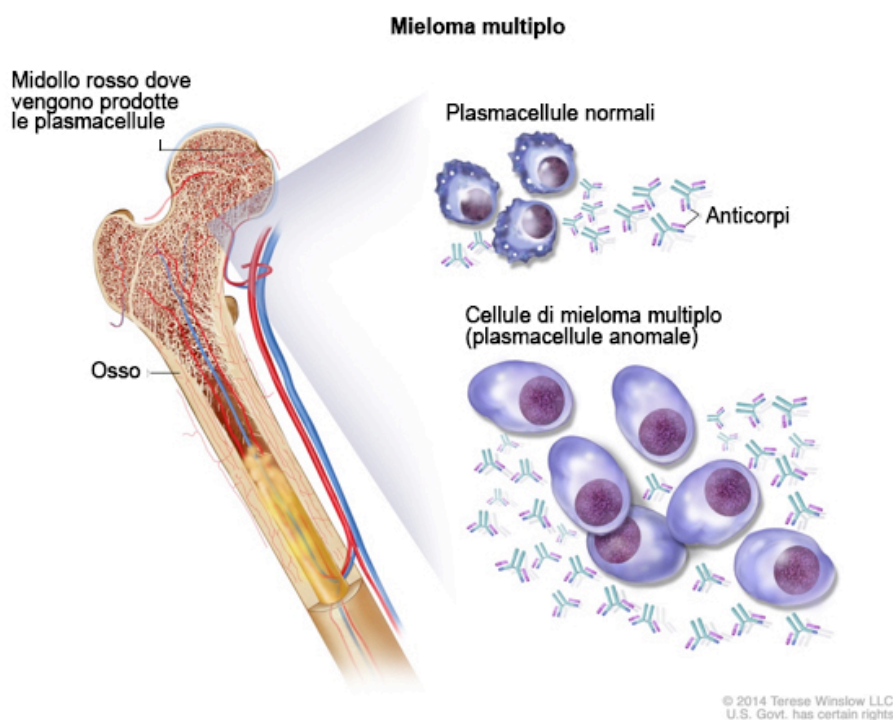
Follow-up:

- Poiché il mieloma multiplo è caratterizzato da sintomi* ricorrenti, al fine di identificare il prima possibile un'eventuale recidiva* della malattia ed evitare un danno d'organo è necessario un follow-up a lungo termine.
- Gli esami del sangue e delle urine devono essere eseguiti ogni 2-3 mesi. Gli esami radiologici* e l'esame del midollo osseo* vanno effettuati in base alla valutazione individuale.
- In caso di ricomparsa del mieloma multiplo, l'obiettivo è quello di ottenere un'ulteriore risposta scegliendo tra le diverse terapie disponibili.

DEFINIZIONE DI MIELOMA MULTIPLO

Il mieloma multiplo è un tumore maligno delle plasmacellule*, un tipo di globuli bianchi che si annidano nel midollo osseo. La funzione delle plasmacellule* è quella di produrre anticorpi*. Gli anticorpi* sono naturalmente presenti nel nostro sistema immunitario e contribuiscono a proteggere il corpo dalle infezioni causate da agenti come batteri o virus. Quando le plasmacellule* crescono in maniera incontrollata, la produzione delle altre cellule che originano nel midollo osseo viene soppressa. Ciò può portare a condizioni come anemia*, disturbi emorragici, infezioni e lesioni ossee*. Nella maggior parte dei casi si assiste anche a una produzione anomala di anticorpi* non funzionali chiamati proteine monoclonali*. Nel mieloma multiplo viene prodotta una grande quantità di un singolo tipo di anticorpi* anomali che non hanno alcuna utilità per l'organismo.

Nella maggior parte dei casi, i trattamenti possono indurre lunghi intervalli senza sintomi* della malattia, permettendo ai pazienti di avere una buona qualità di vita. Pertanto, il mieloma multiplo può essere considerato una condizione cronica.



Rappresentazione del midollo osseo dove vengono prodotte le plasmacellule: vengono mostrate plasmacellule* normali e plasmacellule* anomale di mieloma multiplo.*

IL MIELOMA MULTIPLO È FREQUENTE?

Il mieloma multiplo non ha la stessa frequenza del carcinoma della mammella, del colon, del polmone o della prostata, ma è considerato la seconda neoplasia maligna del sangue più comune dopo i linfomi non-Hodgkin*.

Poiché la sua incidenza* aumenta con l'età, il mieloma multiplo è considerato una malattia dell'anziano.

In Europa, la probabilità che una persona sviluppi un mieloma multiplo nell'arco della vita è dello 0,31%. Ciò significa, per esempio, che ogni anno in Europa verranno diagnosticati 4-6 casi di malattia ogni 100.000 persone. L'incidenza* è inferiore nelle donne. L'età mediana alla diagnosi è di 72 anni. I tassi di incidenza sono più alti nelle persone di origine afroamericana e più bassi negli asiatici.

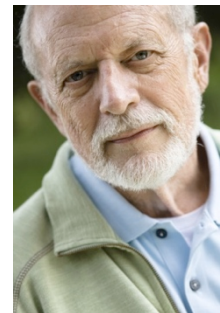
QUALI SONO LE CAUSE DEL MIELOMA MULTIPLO?

A tutt'oggi le cause del mieloma multiplo non sono ancora chiare. Sono stati identificati alcuni fattori di rischio*. I fattori di rischio* aumentano la probabilità di insorgenza del cancro, ma non sono una condizione né necessaria né sufficiente a causarlo. I fattori di rischio* non costituiscono di per sé una causa.

Alcune persone che presentano questi fattori di rischio* non svilupperanno mai un mieloma multiplo, mentre altre persone che non presentano nessuno di questi fattori di rischio* potrebbero comunque svilupparlo.

I principali fattori di rischio* per sviluppo del mieloma multiplo sono:

- La gammopatia monoclonale di significato non determinato (*Monoclonal Gammopathy of Uncertain Significance, MGUS*): i casi di mieloma multiplo originano perlopiù da una condizione benigna* nota come MGUS. Le persone affette da questa condizione mostrano una bassa produzione anomala di proteina monoclonale* senza sintomi*. La maggior parte dei soggetti con questa condizione non svilupperà mai un mieloma multiplo sintomatico*. Nella maggioranza dei casi la MGUS viene scoperta accidentalmente durante lo svolgimento degli esami del sangue di routine.
- L'età avanzata: la probabilità di sviluppare un mieloma multiplo aumenta con l'età.
- La predisposizione genetica: l'incidenza* del mieloma multiplo differisce leggermente tra le etnie. Inoltre, il sesso femminile costituisce un modesto fattore protettivo nei confronti dell'insorgenza del mieloma multiplo.
- I fattori ambientali: l'esposizione alle radiazioni, il benzene e gli insetticidi sono stati associati al mieloma multiplo. Queste associazioni hanno un ruolo minore nello sviluppo del mieloma multiplo.



Tranne che per la MGUS e per l'età, per tutti gli altri fattori di rischio* non sono disponibili evidenze.

COME VIENE DIAGNOSTICATO IL MIELOMA MULTIPLO?

Il mieloma multiplo deriva spesso dalla MGUS. Se è presente la MGUS, i pazienti vengono monitorati da un medico. Se la MGUS progredisce ed evolve in mieloma multiplo, la somministrazione tempestiva del trattamento può prevenire lo sviluppo dei sintomi* della malattia.

Sintomi* caratteristici del mieloma multiplo

Sintomi* causati dall'infiltrazione del midollo osseo:

- Affaticamento: è la sensazione fisica di stanchezza avvertita anche dopo aver riposato. È correlato all'anemia* (basso livello di emoglobina*) e alla presenza anomala del mieloma multiplo nel corpo.
- Dolore osseo e fratture ossee: a volte è presente dolore osseo di progressiva intensità che raramente risponde ai comuni antidolorifici. Questo dolore viene spesso avvertito nella colonna vertebrale, nelle costole o nelle ossa delle anche e potrebbe essere il risultato di fratture ossee.
- Infezioni: le infezioni possono verificarsi con maggiore frequenza e avere tempi di guarigione più lunghi rispetto a quelli precedentemente richiesti per la stessa persona. Ciò è dovuto sia alla riduzione della conta di globuli bianchi sia alla funzione anomala delle plasmacellule*.
- Sanguinamento: raramente, può verificarsi un sanguinamento anomalo (per esempio quando ci si lava i denti) o possono formarsi con maggiore facilità lividi o ematomi*. Ciò è dovuto alla bassa conta di piastrine* e ad anomalie nei meccanismi responsabili di arrestare il sanguinamento, causate dalla presenza della proteina monoclonale* nel sangue.

Sintomi* o segni correlati alla produzione in eccesso di proteina monoclonale*:

- Problemi renali di entità da lieve a grave: questa condizione è causata dal danno diretto arrecato dalla filtrazione della proteina monoclonale* a opera dei reni. Solitamente questa condizione non causa sintomi* sino a quando il danno non diventa grave.
- Amiloidosi*: è causata dall'accumulo anomalo di proteina monoclonale* in sedi corporee specifiche (cuore, reni ecc.). I depositi anomali di proteina possono causare infiammazione cronica e danno d'organo.
- Neuropatia periferica: è il risultato del danno arrecato dalla proteina monoclonale* ai nervi. I disturbi sensoriali (formicolio, percezione alterata del calore nelle mani e nei piedi ecc.) sono i sintomi* più comuni.

La **diagnosi di mieloma multiplo** si basa sulle seguenti indagini:

Identificazione della proteina monoclonale* nel sangue o in campioni di urine delle 24 ore: la ricerca della proteina viene effettuata mediante un esame chiamato elettroforesi* proteica. Vengono quindi eseguite altre indagini, come l'immunofissazione* (per identificare i tipi di proteina monoclonale* presenti) e i test che misurano i livelli di catene leggere libere nel siero*.

Determinazione della percentuale di cellule di mieloma presenti nel midollo osseo: la percentuale di cellule di mieloma nel midollo viene analizzata mediante aspirato midollare* e/o biopsia midollare*. Entrambe le procedure sono minimamente invasive e hanno una durata di circa 10-15 minuti. Prima di eseguire la procedura viene praticata al paziente un'anestesia* locale. La procedura dovrebbe provocare una sensazione di lieve bruciore. I campioni ottenuti sono necessari per quantificare la percentuale di plasmacellule* presenti nel midollo osseo e per eseguire test genetici come l'ibridazione in situ con fluorescenza (*Fluorescence In situ Hybridization, FISH*)*. Questi test sono utili in quanto forniscono informazioni aggiuntive sulla prognosi* della malattia, che sono importanti perché potrebbero influenzare la scelta del trattamento.

Valutazione delle lesioni ossee*: al fine di identificare possibili fratture o aree di infiltrazione della malattia è necessario eseguire un esame radiologico completo dello scheletro. La risonanza magnetica (RM)* della colonna vertebrale e della pelvi è più sensibile dell'esame radiografico* nell'identificare le lesioni ossee* ed è utile per diagnosticare lesioni non ancora sintomatiche*. Per valutare le lesioni ossee* potrebbe essere necessaria anche una TC* *total body* a basso dosaggio o una PET*.



Esami del sangue: la conta completa delle cellule ematiche* e il dosaggio dei livelli di calcio, di creatinina*, di albumina* e di beta-2-microglobulina* sono tutte indagini necessarie per valutare se la malattia sia sintomatica* e per stabilire la prognosi*.

Queste indagini permettono di porre una diagnosi differenziale tra tre condizioni:

Gammopatia monoclonale di significato non determinato (MGUS): condizione benigna* che raramente evolve in mieloma multiplo ed è caratterizzata da livelli sierici di proteina monoclonale* < 3g/dl, una percentuale di plasmacellule* tumorali nel midollo osseo < 10%, livelli normali di calcio, funzionalità renale* nella norma, livelli normali di emoglobina* e assenza di lesioni ossee*.

Mieloma multiplo asintomatico* (a lenta evoluzione): condizione patologica che progredisce in mieloma multiplo con una frequenza annua del 10% nei primi 5 anni dopo la diagnosi. È caratterizzato da livelli sierici di proteina monoclonale* $\geq 3g/dl$ o da livelli urinari di proteina monoclonale* $\geq 500mg/24$ ore e/o da una percentuale di plasmacellule* tumorali nel midollo osseo del 10-60% senza eventi definienti il mieloma multiplo (elencati nella tabella sottostante) o amiloidosi*.

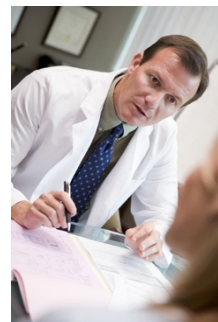
Mieloma multiplo: condizione sintomatica* richiedente il trattamento. Ha le stesse caratteristiche del mieloma multiplo asintomatico* (a lenta evoluzione), ma è associata anche a eventi definienti il mieloma multiplo (elencati nella tabella sottostante).

| Eventi definienti il mieloma multiplo | Definizione |
|---------------------------------------|---|
| <i>Ipercalcemia*</i> | Livelli sierici di calcio > 1 mg/dl oltre il limite superiore di normalità o > 11 mg/dl |
| <i>Problemi renali</i> | Clearance della creatinina* < 40 ml per min o creatinina* sierica > 2 mg/dl |

| Eventi definenti il mieloma multiplo | Definizione |
|---|--|
| <i>Anemia*</i> | Valore di emoglobina* > 2 g/dl sotto il limite superiore di normalità o < 10 g/dl |
| <i>Lesioni ossee*</i> | Evidenza di una o più lesioni ossee* all'esame radiografico dello scheletro, alla TC*, alla PET-TC* o alla RM* |
| <i>Eccesso di plasmacellule* nel midollo osseo</i> | Percentuale di plasmacellule* tumorali nel midollo osseo \geq 60% |
| <i>Rapporto delle catene leggere libere nel siero* molto alto</i> | Rapporto delle catene leggere libere nel siero* coinvolte e non coinvolte \geq 100 |

COSA È IMPORTANTE SAPERE AI FINI DELLA SCELTA DEL TRATTAMENTO MIGLIORE?

Per poter scegliere il trattamento ottimale, il medico deve valutare molti aspetti tenendo conto sia del paziente sia del mieloma multiplo.



Informazioni rilevanti sul paziente

- Stato generale di salute: deve essere valutato con punteggi specifici relativi allo svolgimento delle attività giornaliere. Vi sono anche altri fattori fisici che devono essere tenuti in considerazione prima di iniziare il trattamento:
 1. la funzionalità cardiaca (elettrocardiogramma* ed ecocardiografia*)
 2. la funzionalità respiratoria (test di funzionalità polmonare)
 3. la funzionalità epatica e renale (esami del sangue).
- Storia medica personale: per scegliere il trattamento giusto è necessario conoscere i problemi di salute rilevanti pregressi o attuali, come le precedenti procedure chirurgiche a cui il paziente è stato sottoposto o le malattie croniche da cui è affetto (diabete, fibrillazione atriale, infezioni virali ecc.).
- Età: anche se l'età di per sé non deve essere considerata l'unico criterio per giudicare le condizioni generali del paziente, vi sono limiti standard di età che vengono utilizzati per stabilire se un paziente potrebbe risultare idoneo a una terapia più intensiva. Solitamente, avere un'età inferiore a 65 anni permette ai pazienti di sottoporsi alla terapia intensiva, mentre avere più di 70 anni esclude questa possibilità. Per le persone di età compresa tra 65 e 70 anni, la decisione dipende dallo stato generale di salute del soggetto.

Informazioni rilevanti sul mieloma multiplo

Il trattamento non è necessario quando il mieloma multiplo non è associato a sintomi*.

La stadiazione* della malattia e l'analisi citogenetica* non sono necessarie per il mieloma multiplo asintomatico* (a lenta evoluzione).

Stadiazione*

Quando il mieloma multiplo è sintomatico* e deve essere avviato il trattamento, sono necessarie informazioni sullo stadio della malattia.

Le informazioni sullo stadio sono importanti per selezionare il trattamento giusto. Più basso è lo stadio, migliore sarà la prognosi*. L'International Staging System (ISS) è un punteggio molto utile che viene utilizzato per questa malattia e si basa soltanto sui livelli sierici di albumina* e di beta-2-microglobulina*.

| Stadio | Definizione |
|------------|---|
| Stadio I | Livelli sierici di beta-2-microglobulina* < 3,5 mg/dl e livelli sierici di albumina* ≥ 3,5 g/dl |
| Stadio II | No stadio I o III |
| Stadio III | Livelli sierici di beta-2-microglobulina* ≥ 5,5 mg/l |

La citogenetica* fornisce importanti informazioni aggiuntive riguardanti la prognosi*, poiché è noto che alcune anomalie genetiche sono associate a risposte terapeutiche più scadenti.

Mieloma multiplo: una guida per il paziente –

Informazioni basate sulle Linee Guida per la Pratica Clinica ESMO - v.2017.1

Pagina 11

Il presente documento è distribuito dall'Anticancer Fund con il permesso dell'ESMO.

Le informazioni contenute in questo documento non sostituiscono il parere del medico, sono a esclusivo uso personale e non possono essere in alcun modo modificate, riprodotte o divulgate senza il permesso scritto dell'ESMO e dell'Anticancer Fund.

Come valutare la risposta alla terapia

L'efficacia della terapia viene valutata in base alla riduzione dei livelli di proteina monoclonale*, che vengono misurati nel siero o nelle urine. Altre indagini, per esempio la valutazione del midollo osseo*, potrebbero essere effettuate su base individuale qualora il medico le reputi necessarie o nel caso in cui il paziente stia ricevendo il trattamento nell'ambito di una sperimentazione clinica.

| Tipo di risposta | Definizione |
|---------------------------------------|---|
| <i>Risposta completa stringente</i> | Assenza della proteina monoclonale* nel siero o nelle urine (immunofissazione* negativa, rapporto delle catene leggere libere* nella norma, assenza di plasmacellule* tumorali nel midollo osseo) |
| <i>Risposta completa</i> | Assenza della proteina monoclonale* nel siero e/o nelle urine (immunofissazione* negativa, rapporto delle catene leggere libere* anomalo, percentuale di plasmacellule* nel midollo osseo < 5%) |
| <i>Risposta parziale molto buona</i> | Riduzione pari o superiore al 90% della proteina sierica più proteina urinaria < 100 mg nelle 24 ore o proteina sierica e/o proteina urinaria rilevabile mediante immunofissazione*, ma non tramite elettroforesi* |
| <i>Risposta parziale</i> | Riduzione \geq 50% della proteina sierica e riduzione della proteina urinaria delle 24 ore \geq 90% o a valori < 200 mg nelle 24 ore Nei pazienti senza livelli misurabili di proteina monoclonale* sierica e urinaria, può essere utilizzata la differenza tra i livelli di catene leggere libere* delle immunoglobuline coinvolte e non coinvolte. Nei pazienti senza livelli misurabili di proteina monoclonale* sierica e urinaria e senza livelli misurabili di catene leggere libere* coinvolte, può essere utilizzata la percentuale di plasmacellule* midollari. Comparsa di una o più nuove lesioni ossee* o aumento della o delle lesioni esistenti se questa è l'unica misura della malattia |
| <i>Risposta minima</i> | Come per la remissione* parziale, ma riduzione \geq 25% e \leq 49% della proteina sierica o urinaria |
| <i>Stabilizzazione della malattia</i> | I criteri di risposta non soddisfano la definizione di risposta completa, risposta parziale molto buona, risposta parziale, risposta minore |
| <i>Progressione della malattia</i> | Uno o più dei seguenti criteri Aumento del 25% rispetto al valore più basso di risposta confermata in uno o più dei seguenti criteri: Proteina monoclonale sierica* o proteina monoclonale* urinaria. Nei pazienti senza livelli misurabili di proteina monoclonale* sierica e urinaria, può essere utilizzata la differenza tra i livelli di catene leggere libere* coinvolte e non coinvolte. Nei pazienti senza livelli misurabili di proteina monoclonale* sierica e urinaria e senza livelli misurabili di catene leggere libere* coinvolte, può essere utilizzata la percentuale di plasmacellule* midollari. Comparsa di una o più nuove lesioni ossee* o aumento della o delle lesioni esistenti se questa è l'unica misura della malattia. Aumento delle plasmacellule* circolanti se queste sono l'unica misura della malattia. |

QUALI SONO LE OPZIONI DI TRATTAMENTO?

Quando si sceglie un trattamento per il mieloma multiplo, vi sono tre domande da considerare:

- 1) La malattia è localizzata solo in una sede senza interessamento generale delle ossa?
- 2) La malattia è sintomatica*?
- 3) Il trapianto autologo* di cellule staminali costituisce un'opzione?

Rispondere a queste domande aiuterà a decidere quale trattamento scegliere e quando questo trattamento debba essere iniziato.



1) La malattia è localizzata solo in una sede senza interessamento generale delle ossa?

In alcuni casi rari, le plasmacellule* anomale hanno colpito solo una singola sede localizzata (per esempio, lesione ossea* al femore) del corpo. In questo scenario, che è chiamato plasmocitoma solitario, non è necessario un trattamento sistemico*. La terapia di scelta è rappresentata dalla radioterapia* o dall'escissione chirurgica della lesione. Successivamente è necessario un rigoroso follow-up, dal momento che questa condizione evolve spesso in mieloma multiplo.



2) La malattia è sintomatica*? Sono presenti sintomi*?

Se la malattia è asintomatica* (mieloma a lenta evoluzione), è necessario un rigoroso follow-up, solitamente senza trattamento. Una volta che vi è evidenza di sedi multiple della malattia (interessamento diffuso del midollo osseo o lesioni ossee* multiple), è di cruciale importanza capire se siano presenti segni e sintomi* della malattia. Se la malattia è sintomatica*, deve essere avviato un trattamento sistemico*.

Normalmente, il trattamento includerà terapie che:

- Trattano il mieloma multiplo a livello sistemico (distruggendo le cellule di mieloma in tutto il corpo).
- Trattano il mieloma multiplo a livello locale (ossia in specifiche sedi corporee), come la chirurgia o la radioterapia* se sono presenti lesioni ossee* sintomatiche* (es. fratture della colonna vertebrale).

3) Il trapianto autologo* di cellule staminali costituisce un'opzione?

Quando incorporato nella terapia di prima linea, il trapianto autologo* di cellule staminali (eseguito utilizzando le cellule staminali del paziente stesso) fornisce le migliori risposte della malattia. Benché oggi sia meno tossico che in passato, il trapianto autologo è riservato solo ai pazienti più giovani e ai pazienti in buone condizioni fisiche che sono in grado di tollerare gli effetti indesiderati della procedura. In genere, un'età superiore a 70 anni esclude i pazienti dalla possibilità di sottoporsi a un trapianto di cellule staminali. Qualora un paziente di età avanzata sia in buone condizioni fisiche e non presenti altri problemi rilevanti di salute, potrebbe essere fatta un'eccezione. La decisione di effettuare la procedura dipende dall'accurata valutazione clinica di ogni singolo caso.

I trattamenti descritti di seguito presentano benefici, rischi e controindicazioni. Affinché i pazienti siano informati delle possibili conseguenze del trattamento, è importante che chiedano al medico quali sono i rischi e i benefici attesi di ogni tipo di terapia. Nei casi in cui sono disponibili diverse opzioni di trattamento, la scelta deve essere discussa dopo aver soppesato i rischi e i benefici di ogni terapia.

Piano di trattamento di prima linea per i pazienti candidabili a trapianto autologo* di cellule staminali

I pazienti in buone condizioni fisiche (o di età inferiore a 65 anni) che risultano candidabili al trapianto autologo* di cellule staminali vengono solitamente sottoposti a un trattamento di induzione*. Scopo di questo trattamento è quello di ridurre il carico della malattia* prima del trapianto. Una volta che il carico della malattia* si è ridotto, l'obiettivo è mantenere una risposta il più a lungo possibile con un trapianto autologo*.



In genere, il trattamento di induzione* è costituito da un regime a tre farmaci:

- Bortezomib* (V)/talidomide* (T)/desametasone* (D) (VTD)
- Bortezomib* (V)/ciclofosfamide* (C)/desametasone* (D) (VCD)
- Bortezomib* (P)/doxorubicina* (A)/desametasone* (D) (PAD)
- Lenalidomide* (R)/bortezomib* (V)/desametasone* (D) (RVD – in Europa questa combinazione non è stata ancora approvata).

Normalmente, un ciclo di trattamento ha una durata di 21 o 28 giorni. La risposta al trattamento viene valutata prima di ogni ciclo. Il numero totale di cicli necessari per completare il trattamento di induzione* è compreso tra 4 e 6, a seconda del tipo di risposta, della terapia e dello stato di salute del paziente.

Dopo la terapia di induzione*, al fine di prolungare l'intervallo in cui i pazienti rimangono liberi dalla malattia, è necessaria una fase di consolidamento*. Nel mieloma multiplo, il consolidamento* viene ottenuto con il trapianto autologo* di cellule staminali. Il trapianto è preceduto dalla raccolta di cellule staminali autologhe (del paziente) mediante una procedura chiamata aferesi*. Al fine di stimolare il rilascio di cellule staminali dal midollo osseo al torrente circolatorio, il paziente riceve un fattore di crescita* (fattore stimolante le colonie granulocitarie [*granulocyte-colony stimulating factor*, G-CSF]) da solo o in combinazione con la chemioterapia* (ciclofosfamide*). Dopo alcuni giorni, quando il numero di cellule staminali aumenta, il paziente viene sottoposto alla procedura di aferesi*. Il numero di cellule staminali può essere determinato mediante gli esami del sangue. Il sangue periferico* viene filtrato, mentre le cellule staminali vengono raccolte e congelate. Una volta che la raccolta è stata completata e che il paziente si è ristabilito dalla procedura, il soggetto può essere ricoverato per il trapianto autologo*. Quest'ultimo consiste nella somministrazione della chemioterapia* ad alte dosi (solitamente con un farmaco chiamato melfalan*) seguita dalla reinfusione delle cellule staminali del paziente stesso.

Se con il primo trapianto non si ottiene una risposta completa o quasi completa, può essere eseguito un secondo trapianto autologo*, solitamente entro 3-6 mesi dal primo.

Il trapianto allogenico* di cellule staminali (da donatore) deve essere eseguito solo nel contesto di una sperimentazione clinica.

Piano di trattamento di prima linea per i pazienti NON candidabili a trapianto

I pazienti non candidabili a trapianto autologo* di cellule staminali (pazienti di età pari o superiore a 70 anni o in cattive condizioni fisiche) vengono generalmente trattati con un regime di induzione a tre farmaci. I pazienti più fragili possono essere trattati con un regime a due farmaci.

Regimi a tre farmaci:

- Bortezomib* (V)/melfalan* (M)/prednisone* (P) (VMP)
- Melfalan* (M)/prednisone* (P)/talidomide* (T) (MPT)

Regimi a due farmaci:

- Lenalidomide*(R)/desametasone* (D) (RD)
- Bendamustina*/prednisone*
- Melfalan*/prednisone*

Piano di trattamento di seconda linea per la malattia recidivata* o refrattaria*

Al fine di permettere ai pazienti di trarre beneficio da nuovi farmaci o combinazioni di farmaci attualmente in fase di sperimentazione, deve essere incoraggiata la partecipazione alle sperimentazioni cliniche.

Gli aspetti da considerare ai fini della scelta del trattamento di prima linea valgono anche per la terapia di seconda linea o delle linee successive. La scelta dipende da diversi fattori riguardanti il paziente (età, stato di salute) e i trattamenti precedentemente somministrati (tipo, efficacia, tollerabilità).

In questo contesto possono essere utilizzate le seguenti terapie:

- Lenalidomide*/desametasone*
- Pomalidomide*/desametasone*: solo per i pazienti che sono già andati incontro a fallimento della terapia con lenalidomide* e bortezomib*
- Bortezomib* da solo o in combinazione con desametasone* o doxorubicina pegilata*
- Carfilzomib*/lenalidomide*/desametasone* o carfilzomib*/desametasone*
- Ixazomib*/lenalidomide*/desametasone*: solo per i pazienti che sono già andati incontro a fallimento di una delle precedenti terapie
- Panobinostat*/bortezomib*/desametasone*: solo per i pazienti che sono già andati incontro a fallimento della terapia con bortezomib* e con un farmaco immunomodulatore* (talidomide*, lenalidomide*, pomalidomide*)
- Elotuzumab*/lenalidomide*/desametasone*
- Daratumumab* da solo per i pazienti che sono già andati incontro a fallimento della terapia con inibitori del proteasoma (bortezomib*, carfilzomib*, ixazomib*) e con agenti immunomodulatori* (talidomide*, lenalidomide*, pomalidomide*), e in combinazione con lenalidomide* e desametasone*, o con bortezomib* e desametasone*, per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo sottoposti ad almeno una precedente terapia.



In casi selezionati (nei pazienti che hanno mostrato una buona risposta a un precedente trapianto autologo* e che hanno ottenuto una risposta della malattia di durata superiore a 2 anni) potrebbe essere utilizzato anche il trapianto autologo* di cellule staminali.

Il trapianto allogenico* di cellule staminali (da donatore) deve essere eseguito solo nell'ambito di una sperimentazione clinica.

Trattamento delle complicanze del mieloma multiplo

Per trattare il mieloma multiplo è molto importante curare le sue complicanze organo-correlate. Il tempismo è fondamentale al fine di prevenire il danno d'organo cronico o lo sviluppo di eventi potenzialmente letali.

Compromissione della funzionalità renale: quasi il 50% dei pazienti affetti da mieloma multiplo presenta una compromissione della funzionalità renale. Il trattamento può variare a seconda del grado di disfunzione renale. Insieme alla terapia sistemica*, il trattamento potrebbe includere l'idratazione* per via orale o endovenosa o anche la dialisi*. È fondamentale evitare l'utilizzo di farmaci antinfiammatori non steroidei, come aspirina o nimesulide, che possono danneggiare i reni.

Dolore osseo o lesioni ossee*: nel mieloma multiplo, il danno osseo rappresenta un'evenienza frequente e può essere asintomatico* o causare dolore. In alcuni pazienti le fratture ossee possono essere la manifestazione iniziale del mieloma multiplo e, in questo caso, è necessario un intervento ortopedico. Oltre all'intervento chirurgico, può essere utile anche la radioterapia*.

Se non sono presenti lesioni ossee* ma vi sono segni iniziali di erosione ossea, è consigliabile una terapia con farmaci che rafforzano l'apparato scheletrico. I principali composti utilizzati a tale scopo sono i bifosfonati*. Zoledronato* o pamidronato* vengono somministrati mediante infusione endovenosa. Questo trattamento deve essere continuato per due anni e prima di iniziarlo deve essere esclusa la presenza di infezioni della mandibola.

Aumento dei livelli di calcio nel sangue: questa complicanza è dovuta all'erosione ossea. L'entità dell'aumento può variare. In caso di livelli di calcio molto elevati, sono necessari liquidi per via endovenosa e la terapia con bifosfonati*.

Anemia*: questa condizione è correlata a una bassa conta di globuli rossi. Nel mieloma multiplo le cause dell'anemia* possono essere molteplici. Le più frequenti sono rappresentate dall'infiltrazione del midollo osseo da parte delle plasmacellule* anomale e/o dal danno renale. Nei casi molto gravi possono rendersi necessarie trasfusioni di sangue. La somministrazione di eritropoietina*, un farmaco che stimola la produzione di globuli rossi, può ridurre la necessità di trasfusioni.

Infezioni: sia la chemioterapia* sia il mieloma multiplo possono indebolire il sistema immunitario. Per questa ragione, il medico potrebbe somministrare al paziente alcuni farmaci anti-infettivi per prevenire l'insorgenza di infezioni. In caso di comparsa di febbre o di altri segni di infezione, è fondamentale che i pazienti contattino immediatamente il medico poiché potrebbe essere importante iniziare una terapia adeguata. Il vaccino antinfluenzale è utile per ridurre la frequenza di infezioni respiratorie.

Compressione midollare: la causa di questa complicanza è la presenza di una massa localizzata (plasmocitoma) a livello della colonna vertebrale che comprime il midollo spinale. Può essere causata anche da fratture della colonna. I sintomi* sono dolore localizzato o sintomi* a carico del sistema nervoso come formicolio alle gambe o debolezza muscolare. I pazienti che manifestano questi sintomi* devono rivolgersi immediatamente al medico poiché questa complicanza, se non trattata, può portare a paralisi irreversibile. Le terapie disponibili per trattare questa condizione sono i corticosteroidi*, la radioterapia* o anche la chirurgia.

QUALI SONO I POSSIBILI EFFETTI INDESIDERATI DEI TRATTAMENTI?

Gli effetti indesiderati variano a seconda del tipo di trattamento. Alcuni degli effetti indesiderati più comuni causati dalle terapie per il mieloma multiplo sono:

- **Perdita di appetito:** alcuni trattamenti possono causare inappetenza, che può protrarsi per alcuni giorni dopo il termine del trattamento o a volte più a lungo. I pazienti sono invitati a consumare pasti più piccoli con maggiore frequenza del normale, poiché sono più facili da digerire, a evitare i cibi grassi e ad assumere liquidi in abbondanza (circa 1,5-2 l/giorno).
- **Stipsi:** alcuni farmaci come talidomide*, bortezomib* o desametasone* possono causare stipsi. Questo sintomo* è molto comune e, qualora si presenti, il medico può prescrivere farmaci specifici (lassativi) per trattarlo. Prevenire la stipsi è molto importante. Ai pazienti che sviluppano stipsi si raccomanda di assumere liquidi in abbondanza (2 litri/giorno di acqua/bevande gassate/tè ecc.) e di inserire l'attività fisica tra le proprie attività giornaliere.
- **Diarrea:** questo sintomo* può essere associato a certi farmaci, come lenalidomide* o bortezomib*, o a un'infezione non correlata. I rimedi utilizzabili sono diversi, a seconda della causa della diarrea. Qualora si verifici questo sintomo, è importante informare il medico.
- **Perdita di capelli:** i farmaci chemioterapici* di più vecchia generazione possono causare assottigliamento o perdita dei capelli. A seconda della terapia, questi effetti potrebbero persistere fino a quando il trattamento non viene completato. I capelli ricresceranno una volta terminato il trattamento.
- **Infertilità:** gli agenti alchilanti*, come melfalan* (utilizzato per il trapianto autologo*) e ciclofosfamide* (usata per la raccolta di cellule staminali), hanno più probabilità di causare questo effetto indesiderato. L'assunzione di talidomide* o lenalidomide* potrebbe comportare effetti teratogeni*. Se i pazienti hanno in programma di iniziare una gravidanza o non escludono di iniziarne una in futuro, è importante che chiedano spiegazioni in merito al medico. Oggigiorno esistono alcune strategie che riducono la probabilità di diventare sterili e permettono di raccogliere sperma od ovociti prima di iniziare il trattamento.
- **Infezioni:** virtualmente, tutti gli agenti chemioterapici* possono aumentare l'incidenza di infezioni. Ciò succede a causa della riduzione del numero di globuli bianchi o dell'alterazione della loro funzione. Queste cellule difendono il corpo dalle infezioni batteriche, virali o fungine. Le infezioni batteriche e le riattivazioni virali rappresentano le complicanze infettive più comuni che si verificano nel corso del trattamento e nei mesi successivi al suo completamento. Al fine di ridurre l'incidenza* di questa complicanza, in questa fase vengono solitamente prescritti alcuni farmaci. La neutropenia* è una riduzione dei neutrofili, il tipo di globuli bianchi che ha la funzione di proteggere il corpo dalle infezioni batteriche e fungine. Se si manifesta febbre o qualsiasi altro sintomo* mentre il paziente è neutropenico (ossia presenta un basso numero di neutrofili), è importante contattare il prima possibile il medico poiché esiste la possibilità che si sviluppi un'infezione grave richiedente il ricovero in ospedale. Al fine di ridurre le probabilità di ammalarsi, è bene seguire alcuni suggerimenti:

1) Evitare i luoghi affollati: maggiore è il numero di persone con cui si entra in contatto, maggiori saranno anche le probabilità di ammalarsi. Ciò vale soprattutto durante la stagione influenzale (autunno/inverno).

2) Mangiare in modo sano: ossia evitare alimenti che possono trasmettere infezioni. Seguire le norme igieniche standard ed evitare il consumo di carne o pesce/frutti di mare crudi o di latticini non pastorizzati.

3) Rimanere attivi: praticare attività fisica di leggera intensità, per esempio camminare, può aiutare a ristabilirsi dall'affaticamento indotto dalla chemioterapia* e a mantenere in buone condizioni il cuore, i polmoni e i muscoli. L'attività fisica riduce il rischio di infezioni e aiuta il corpo ad affrontare le situazioni stressanti.

- **Nausea e vomito**: questo effetto indesiderato è generalmente associato ai farmaci chemioterapici* tradizionali. Al fine di prevenire questo effetto indesiderato vengono comunemente utilizzati agenti antiemetici*. A volte, se la prevenzione non è sufficiente, per trattare la nausea e il vomito possono essere prescritti altri farmaci.

- **Neuropatia periferica***: questo effetto indesiderato è frequentemente associato a bortezomib* e a talidomide*. Il danno arrecato ai nervi periferici può causare sia deficit sensoriali (formicolio ai palmi delle mani e alle piante dei piedi) sia dolore. In genere questo danno si sviluppa gradualmente ed esordisce nei piedi e nelle mani. È importante informare il medico se si nota la comparsa di uno di questi sintomi*. Generalmente, per ridurre o far scomparire questi sintomi* è sufficiente adattare il dosaggio del farmaco e modificarne la via di somministrazione (sottocutanea invece che endovenosa per bortezomib*). Oggigiorno, per controllare la neuropatia periferica* sono disponibili alcuni medicinali.

- **Trombosi***: il rischio che si formi un coagulo di sangue è più alto quando talidomide* o lenalidomide* vengono somministrati in combinazione con desametasone*. I segni e sintomi* di trombosi* includono gonfiore, dolore e comparsa di arrossamento e calore localizzati. Se si nota la comparsa di questi segni e/o sintomi* nelle braccia o nelle gambe, occorre contattare immediatamente il medico. A fine di ridurre la probabilità di trombosi viene solitamente prescritta la profilassi* con farmaci anticoagulanti (eparina o aspirina a basse dosi), che può essere raccomandata quando vengono utilizzate le combinazioni di medicinali sopra menzionate.

COSA SUCCEDERE UNA VOLTA TERMINATO IL TRATTAMENTO?

Follow-up con i medici

Nei pazienti con mieloma multiplo è necessario un follow-up a lungo termine al fine di identificare un'eventuale recidiva* della malattia prima che diventi sintomatica*.

Gli esami del sangue, es. la conta completa di cellule ematiche*, la misurazione dei livelli di creatinina* e di calcio, l'elettroforesi* del siero e delle urine e/o la determinazione del rapporto delle catene leggere libere nel siero, devono essere effettuati ogni 2-3 mesi. Gli esami radiologici* e l'esame del midollo osseo* possono essere eseguiti su base individuale.

Ritorno alle attività quotidiane

La diagnosi di mieloma multiplo può causare cambiamenti nella vita quotidiana e anche nelle attività abituali delle persone vicine al paziente. I gruppi di sostegno per i pazienti possono aiutare ad affrontare questi cambiamenti. Vivere con la consapevolezza che il mieloma multiplo potrebbe ricomparire può essere difficile. In base alle conoscenze attualmente disponibili, non esistono raccomandazioni specifiche per ridurre il rischio di recidiva* dopo il completamento del trattamento. A causa del trattamento e del tumore stesso, per alcune persone tornare alla vita normale potrebbe non essere facile. Problemi correlati all'immagine corporea, alla sessualità, all'affaticamento, al lavoro, alla sfera emotiva o allo stile di vita potrebbero essere fonte di preoccupazione. Può essere utile parlare di questi problemi con i familiari, gli amici, con altri pazienti o con il personale medico. Anche i gruppi di sostegno per i pazienti possono essere d'aiuto fornendo consigli su come gestire gli effetti dei trattamenti. In molti Paesi sono disponibili servizi di psiconcologia o servizi telefonici di informazione e assistenza che forniscono ulteriore supporto.



Cosa succederebbe se il mieloma multiplo dovesse ricomparire?

La ricomparsa del mieloma multiplo prende il nome di recidiva* o ricaduta*. In questo caso, il trattamento dipende dall'età, dallo stato di salute del paziente e dai trattamenti precedentemente somministrati.

Attualmente sono disponibili diverse terapie efficaci per il mieloma multiplo recidivato* ed è della massima importanza scegliere quella più appropriata in termini di efficacia e di tossicità.

Ci si aspetta che nei prossimi anni verranno introdotti nella pratica clinica nuovi farmaci.

Generalmente, l'obiettivo della terapia di seconda linea per il mieloma multiplo è quello di ottenere una seconda risposta, preferibilmente prolungata, al fine di garantire al paziente un altro periodo di tempo senza sintomi* della malattia. Questo aspetto potrebbe essere paragonato al concetto di una malattia cronica, come il diabete o l'ipertensione, in cui lo scopo del trattamento non è curare la malattia bensì controllarne i sintomi*. In entrambi i casi, l'obiettivo è permettere al paziente di vivere una vita normale il più a lungo possibile.

Devo valutare la partecipazione alle sperimentazioni cliniche?

A dispetto delle migliori terapie attualmente disponibili, dopo il trattamento di prima linea la maggior parte dei pazienti svilupperà una recidiva* della malattia. Negli ultimi anni, in tutto il mondo è stato sviluppato e testato un numero crescente di nuovi farmaci. I medicinali che si dimostrano efficaci negli esperimenti di laboratorio sono idonei a essere valutati nell'uomo nell'ambito di ricerche note come sperimentazioni cliniche. Non tutte le sperimentazioni cliniche si tradurranno in un trattamento migliore e alcuni studi potrebbero dimostrare che il trattamento oggetto di valutazione non è efficace quanto le terapie già in uso. Tuttavia, la partecipazione alle sperimentazioni cliniche è importante perché permette ai pazienti di avere accesso a farmaci che altrimenti non sarebbero disponibili per diversi anni. È importante discutere con il medico la possibilità di partecipare a una sperimentazione clinica. Informazioni sulle sperimentazioni cliniche sono reperibili anche su internet (clinicaltrials.gov o clinicaltrialsregister.eu).

DEFINIZIONE DEI TERMINI TECNICI

Aferesi

Procedura consistente nella raccolta di sangue, nella rimozione di sue componenti come le piastrine* o i globuli bianchi e nella restituzione degli elementi rimanenti al donatore.

Agente alchilante

Tipo di farmaco che viene utilizzato per trattare il cancro. Interferisce con la replicazione del DNA e inibisce la crescita cellulare.

Agente antiemetico

Farmaco che previene o riduce la nausea e il vomito.

Albumina

Tipo di proteina presente nel sangue, nell'albume d'uovo, nel latte e in altre sostanze.

Amiloidosi

Gruppo di malattie caratterizzate dall'accumulo di proteine in determinati organi (amiloidosi localizzata) o in tutto il corpo (amiloidosi sistemica). L'amiloidosi può essere primaria (senza causa nota), secondaria (causata da un'altra malattia, ivi comprese alcune forme tumorali maligne come il mieloma multiplo) o ereditaria (trasmessa dai genitori ai figli). L'amiloidosi colpisce molti organi. Gli organi colpiti possono dipendere dalla forma (primaria, secondaria o ereditaria) di amiloidosi.

Anemia

Condizione caratterizzata dalla riduzione al di sotto della norma del numero di globuli rossi o della quantità di emoglobina. L'emoglobina è contenuta nei globuli rossi che trasportano l'ossigeno dai polmoni al resto del corpo; nei pazienti affetti da anemia, il trasporto di ossigeno ai tessuti diminuisce.

Anestesia

Stato reversibile di perdita della coscienza in cui il paziente non avverte dolore, non ha riflessi normali e risponde in misura minore allo stress. L'anestesia viene indotta artificialmente mediante la somministrazione di sostanze note come anestetici. Può essere totale o parziale e rende possibile l'esecuzione degli interventi chirurgici sui pazienti.

Anticorpo/anticorpi

Proteina prodotta dalle plasmacellule* (un tipo di globuli bianchi) in risposta a un antigene (una sostanza che stimola il corpo a sviluppare una risposta immunitaria specifica). Ogni anticorpo può legarsi solo a un antigene specifico. Scopo di questo legame è quello di contribuire a distruggere l'antigene. Alcuni anticorpi distruggono gli antigeni direttamente, mentre altri ne facilitano la distruzione da parte dei globuli bianchi. Un anticorpo è un tipo di immunoglobulina*.

Asintomatico

Riferito a una malattia, indica l'assenza di sintomi*, come il dolore, o di manifestazioni soggettive della condizione.

Aspirato midollare

Procedura consistente nel prelievo di una piccola quantità di liquido e di cellule contenuti nel midollo osseo mediante l'inserimento di un ago in un osso. Il liquido e le cellule prelevati dal midollo osseo vengono quindi esaminati per la ricerca di anomalie nelle cellule del sangue prodotte dal midollo.

Bendamustina

Principio attivo di un farmaco utilizzato per trattare il mieloma multiplo e altre neoplasie ematologiche maligne. Bendamustina può danneggiare il DNA presente nelle cellule cancerose e causarne la morte. È un tipo di agente alchilante* e un tipo di antimetabolita.

Benigno

Riferito a un tumore, benigno significa non canceroso. I tumori benigni possono aumentare di dimensioni, ma non si diffondono ad altre parti del corpo. Sono detti anche non maligni.

Beta-2-microglobulina

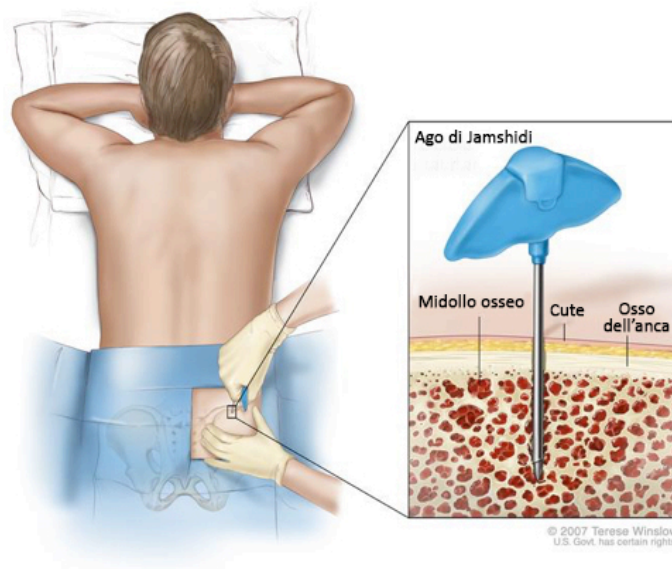
Proteina di piccole dimensioni che si trova normalmente sulla superficie di molte cellule, ivi compresi i linfociti, e in quantità ridotte nel sangue e nelle urine. Un aumento delle sue quantità nel sangue o nelle urine può essere un segno della presenza di determinate malattie, ivi comprese alcune forme tumorali maligne come il mieloma multiplo o il linfoma.

Bifosfonati

Farmaci o sostanze utilizzati per trattare l'ipercalcemia* e il dolore osseo causati da alcuni tipi di tumori maligni. Alcune forme di bifosfonati vengono utilizzate anche per trattare l'osteoporosi e per eseguire esami di diagnostica per immagini atti a valutare l'apparato scheletrico. I bifosfonati inibiscono l'azione di un tipo di cellule contenute nel tessuto osseo che hanno la funzione di distruggerlo. Sono chiamati anche difosfonati.

Biopsia midollare

Procedura consistente nel prelievo di un piccolo campione di osso contenente midollo, solitamente dall'osso dell'anca. Una piccola area di pelle e la superficie dell'osso sottostante vengono rese insensibili mediante la somministrazione di un anestetico. A questo punto, uno speciale ago di grosso calibro viene spinto all'interno dell'osso e ruotato per prelevare un campione di osso contenente al suo interno midollo. Questa procedura può essere eseguita contemporaneamente all'aspirato midollare. Le cellule o i tessuti prelevati saranno analizzati da un anatomopatologo. L'anatomopatologo può studiare il tessuto al microscopio o utilizzare le cellule o il tessuto per eseguire altre analisi. L'anatomopatologo stabilirà se il midollo osseo sia stato colpito o sia libero da cellule di mieloma.



Aspirato midollare e biopsia midollare. Dopo aver desensibilizzato una piccola area di pelle, viene inserito un ago di Jamshidi (un ago lungo e cavo) nell'osso dell'anca del paziente. Campioni di sangue, di osso e di midollo vengono prelevati e studiati al microscopio.

Bortezomib

Farmaco utilizzato per trattare il mieloma multiplo. Viene impiegato anche per trattare il linfoma a cellule mantellari nei pazienti che sono già stati sottoposti ad almeno un altro tipo di terapia ed è in fase di studio per il trattamento di altre forme tumorali maligne. Bortezomib blocca diverse vie di segnalazione molecolare all'interno delle cellule e può causare la morte delle cellule cancerose. È un tipo di inibitore del proteasoma, ossia blocca l'azione di enzimi chiamati proteasomi. Ciò può aiutare ad arrestare la crescita delle cellule tumorali e annientarle.

Carfilzomib

Farmaco utilizzato da solo o in combinazione con altri medicinali per trattare il mieloma multiplo peggiorato o ricomparso dopo il trattamento con un'altra terapia antitumorale. Inoltre, è in fase di studio per il trattamento di altri tipi di cancro. Carfilzomib è un tipo di inibitore del proteasoma, ossia blocca l'azione di enzimi chiamati proteasomi. Ciò può aiutare ad arrestare la crescita delle cellule tumorali e annientarle.

Carico della malattia

L'effetto complessivo di una malattia sull'individuo o sulla società. Nel contesto della presente guida, il carico della malattia si riferisce al grado di diffusione del mieloma.

Chemioterapia

Tipo di trattamento antitumorale basato sull'uso di farmaci che annientano le cellule cancerose e/o ne limitano la proliferazione. In genere, questi farmaci vengono somministrati al paziente mediante infusione lenta in una vena, ma possono essere somministrati anche per via orale, con un'infusione diretta in un arto o con un'infusione nel fegato, a seconda della localizzazione del tumore.

Ciclofosfamide

Farmaco utilizzato per trattare molti tipi di cancro e in fase di studio per il trattamento di altre forme di neoplasie maligne. Ciclofosfamide si lega al DNA presente nelle cellule e può causare la morte delle cellule tumorali. È un tipo di agente alchilante*.

Citogenetica

Studio dei cromosomi, lunghi filamenti di DNA e proteine che contengono la maggior parte delle informazioni genetiche di una cellula. La citogenetica consiste nell'analisi di laboratorio di campioni di tessuto, sangue o midollo osseo per la ricerca di alterazioni cromosomiche, ivi comprese rotture e delezioni o cromosomi extra. La presenza di alterazioni in alcuni cromosomi può essere un segno di una malattia o condizione genetica o di alcune forme tumorali maligne. La citogenetica può essere utilizzata per aiutare a diagnosticare una malattia o condizione, per pianificare il trattamento o per valutare la sua efficacia.

Clearance della creatinina

La valutazione della clearance della creatinina aiuta a fornire informazioni sul funzionamento più o meno adeguato dei reni. L'esame confronta i livelli di creatinina* nelle urine con i livelli di creatinina* nel sangue.

Comorbilità

La condizione di essere affetti contemporaneamente da due o più malattie.

Consolidamento (trattamento)

Trattamento che si somministra una volta che il cancro è scomparso dopo la terapia iniziale. Il trattamento di consolidamento viene utilizzato per annientare eventuali cellule cancerose che potrebbero essere rimaste nel corpo. Può includere la radioterapia, il trapianto di cellule staminali o il trattamento con farmaci che annientano le cellule cancerose.

Conta completa delle cellule ematiche

La conta completa delle cellule ematiche, nota anche come esame emocromocitometrico, viene richiesta dal medico o da un altro operatore sanitario per ottenere informazioni sulle cellule del sangue del paziente, come la conta di cellule per ogni tipo cellulare e le concentrazioni di varie proteine e minerali. Le cellule circolanti nel sangue vengono suddivise generalmente in tre tipi: globuli bianchi (leucociti), globuli rossi (eritrociti) e piastrine* (trombociti). Conte eccessivamente alte o basse possono indicare la presenza di molte forme di malattia. La conta delle cellule ematiche è pertanto uno degli esami del sangue eseguiti più comunemente in medicina poiché può fornire un quadro dello stato generale di salute del paziente.

Corticosteroidi

Qualsiasi ormone steroideo prodotto dalla parte esterna delle ghiandole surrenali. Vengono sintetizzati anche in laboratorio. I corticosteroidi hanno molti effetti diversi nel corpo e vengono utilizzati per trattare numerose condizioni differenti. Possono essere usati come terapia ormonale sostitutiva, per sopprimere il sistema immunitario* e per trattare alcuni effetti indesiderati del cancro e del suo trattamento. I corticosteroidi vengono impiegati anche per trattare certi linfomi e le leucemie linfoidi.

Creatinina

Composto escretato dal corpo con le urine. I livelli di creatinina vengono misurati per monitorare la funzionalità renale.

Daratumumab

Farmaco utilizzato per trattare il mieloma multiplo. Daratumumab si lega a una proteina chiamata CD38 presente su alcuni tipi di cellule immunitarie e cancerose, ivi comprese quelle di mieloma. Daratumumab può bloccare CD38 e aiutare le cellule immunitarie ad annientare le cellule cancerose. È un tipo di anticorpo monoclonale.

Desametasone

Uno steroide sintetico (simile agli ormoni steroidei prodotti naturalmente dalle ghiandole surrenali). Desametasone viene utilizzato anche per trattare la leucemia e il linfoma e può essere usato per trattare alcuni dei problemi causati da altre forme tumorali maligne e dai loro trattamenti.

Dialisi

Procedura utilizzata per filtrare il sangue quando i reni non funzionano adeguatamente e non riescono più ad assolvere a questo compito.

Doxorubicina

Farmaco utilizzato per trattare molti tipi di cancro e in fase di studio per il trattamento di altre forme di neoplasie maligne. Doxorubicina viene prodotta dal batterio *Streptomyces peucetius*. Danneggia il DNA e può annientare le cellule cancerose. È un tipo di antibiotico antitumorale appartenente alla classe delle antracicline.

Ecocardiografia

Procedura che utilizza onde sonore ad alta energia (ultrasuoni) per esaminare i tessuti e gli organi che si trovano all'interno del torace. L'eco prodotto dalle onde sonore genera un'immagine delle dimensioni, della forma e della posizione del cuore sul monitor di un computer (ecocardiogramma). Le immagini possono mostrare anche le parti interne al cuore, come le valvole, e il movimento del cuore battente. L'ecocardiografia può essere utilizzata per aiutare a diagnosticare problemi cardiaci e danni al muscolo cardiaco. Può essere utilizzata anche per verificare la presenza di infezioni alle valvole cardiache o attorno a esse, coaguli di sangue o tumori all'interno del cuore e accumuli di liquido nella sacca che avvolge il cuore.

Ecografia

Procedura che utilizza onde sonore ad alta energia per esplorare i tessuti e gli organi all'interno del corpo. Le onde sonore generano un eco che viene convertito in immagini dei tessuti e degli organi sul monitor di un computer (sonogramma). L'ecografia può essere utilizzata per aiutare a diagnosticare malattie come il cancro. Può essere usata anche nel corso di procedure mediche come le biopsie. È chiamata anche ultrasonografia.

Elettrocardiogramma

Tracciato che mostra le variazioni dell'attività elettrica del cuore nel tempo. Questo tracciato viene generato da un apposito strumento chiamato elettrocardiografo e può rilevare la presenza di condizioni anomale quali blocchi arteriosi, squilibri degli elettroliti (particelle dotate di carica elettrica) e alterazioni nella conduzione degli impulsi elettrici attraverso il tessuto cardiaco. È detto anche ECG.

Elettroforesi

Tecnica di laboratorio che utilizza la corrente elettrica per separare sostanze come proteine o acidi nucleici. Le dimensioni e la carica elettrica (positiva o negativa) di una sostanza determinano la velocità del suo movimento con la corrente. L'elettroforesi può essere usata per aiutare a diagnosticare determinate malattie. Esistono molti tipi differenti di elettroforesi.

Elotuzumab

Farmaco utilizzato per trattare il mieloma multiplo. Viene somministrato ai pazienti la cui malattia è stata trattata con 1-3 precedenti terapie antitumorali. Elotuzumab si lega a una proteina chiamata CS1, che si trova sulle cellule di mieloma e su alcuni tipi di cellule immunitarie. Elotuzumab può bloccare CS1 e aiutare il sistema immunitario ad annientare le cellule cancerose. È un tipo di anticorpo monoclonale.

Ematoma/i

Un'area circoscritta in cui il sangue è coagulato o parzialmente coagulato all'interno di un organo, tessuto o spazio corporeo, causata solitamente dalla rottura di un vaso sanguigno.

Emoglobina

Proteina contenuta nei globuli rossi deputata al trasporto di ossigeno dai polmoni ai tessuti e agli organi del corpo, e dell'anidride carbonica ceduta dai tessuti ai polmoni. La misurazione della quantità di emoglobina presente nel sangue viene solitamente effettuata nell'ambito della conta completa delle cellule ematiche. I livelli di emoglobina vengono misurati per accertare o escludere la diagnosi di condizioni come l'anemia, la disidratazione e la malnutrizione.

Eritropoietina

Sostanza prodotta naturalmente dai reni che stimola il midollo osseo a formare i globuli rossi. Quando viene sintetizzata in laboratorio, viene chiamata epoetina alfa o epoetina beta.

Esame/i radiologico/i

Esame che utilizza tecniche di diagnostica per immagini (come le radiografie, l'ecografia*, la tomografia computerizzata* e le indagini di medicina nucleare) per visualizzare organi, strutture e tessuti corporei allo scopo di diagnosticare e trattare le malattie.

Esame/valutazione del midollo osseo

L'esame del midollo osseo si riferisce all'analisi patologica (valutazione delle cellule e dei tessuti effettuata da un anatomopatologo al microscopio) di campioni di midollo osseo ottenuti mediante aspirato e biopsia midollare.

Farmaco (agente) immunomodulatore

Agente terapeutico che regola il sistema immunitario.

Fattore di crescita

Sostanza prodotta dal corpo che regola la divisione e la sopravvivenza cellulari. Alcuni fattori di crescita vengono prodotti anche in laboratorio e utilizzati nella terapia biologica.

Fattore di rischio

Condizione o caratteristica che aumenta la probabilità di sviluppare una malattia. Alcuni esempi di fattori di rischio per insorgenza del cancro sono l'età, la storia familiare di alcuni tipi di tumore, il fumo di tabacco, l'esposizione alle radiazioni o a determinate sostanze chimiche, l'infezione con certi virus o batteri e alcune variazioni genetiche.

Funzionalità renale

Espressione utilizzata per descrivere il funzionamento più o meno adeguato dei reni. I reni eliminano dal sangue l'acqua di scarto e in eccesso (sotto forma di urina) e contribuiscono a mantenere in equilibrio le sostanze chimiche (come sodio, potassio e calcio) all'interno del corpo. Essi producono inoltre ormoni che aiutano a controllare la pressione arteriosa e stimolano il midollo osseo a produrre i globuli rossi. È detta anche funzione renale.

Gammopatia monoclonale di significato non determinato (*Monoclonal Gammopathy of Uncertain Significance, MGUS*)

La maggior parte dei mielomi multipli si sviluppa da una condizione benigna* nota come gammopatia monoclonale di significato non determinato (*Monoclonal Gammopathy of Uncertain Significance, MGUS*). Le persone affette da questa condizione presentano una scarsa produzione anomala di proteina monoclonale* senza alcun sintomo*. La maggioranza delle persone con questa condizione non svilupperà mai un mieloma multiplo sintomatico*. Nella maggior parte dei casi la MGUS viene scoperta accidentalmente durante lo svolgimento degli esami del sangue di routine.

Ibridazione in situ con fluorescenza (*Fluorescence In situ Hybridization, FISH*)

Tecnica citogenetica* che utilizza sonde fluorescenti per identificare e localizzare la presenza o assenza di specifiche sequenze di DNA sui cromosomi. La microscopia a fluorescenza può essere usata per scoprire in quali punti la sonda fluorescente si lega ai cromosomi. Può aiutare a stabilire i pattern di espressione genica all'interno delle cellule e dei tessuti.

Idratazione

Procedura consistente nel somministrare liquidi necessari al corpo.

Immunofissazione

Tecnica che permette di identificare e tipizzare gli anticorpi monoclonali o immunoglobuline presenti nel siero o nelle urine. Un anticorpo tipico è costituito da due catene pesanti e da due catene leggere. L'immunofissazione è importante per la diagnosi e il monitoraggio di alcune malattie correlate al sangue come il mieloma multiplo.

Immunoglobulina

Proteina prodotta dai linfociti B e dalle plasmacellule (tipi di globuli bianchi) che aiuta il corpo a combattere le infezioni. Alcune immunoglobuline possono essere presenti in quantità superiori al normale nei pazienti con certe condizioni o certe forme tumorali maligne, ivi compresi il mieloma multiplo e la macroglobulinemia di Waldenstrom. La misurazione della quantità di immunoglobuline specifiche nel sangue e nelle urine può aiutare a diagnosticare il cancro o a stabilire come sta agendo il trattamento o se il cancro sia ricomparso. Alcune immunoglobuline possono essere utilizzate come marcatori tumorali. Le immunoglobuline sono chiamate anche Ig.

Incidenza

Numero di nuovi casi di una malattia diagnosticati ogni anno.

Ipercalcemia

Aumento dei livelli di calcio nel sangue al di sopra dei valori normali. Alcune forme tumorali maligne aumentano il rischio di ipercalcemia.

Ixazomib

Farmaco utilizzato per trattare il mieloma multiplo. Viene usato nei pazienti che sono stati sottoposti ad almeno un altro trattamento antitumorale. È in fase di studio anche per il trattamento di altri tipi di cancro. Ixazomib blocca particolari enzimi chiamati proteasomi. Ciò può aiutare ad arrestare la crescita delle cellule tumorali e annientarle. È un tipo di inibitore del proteasoma.

Lenalidomide

Farmaco simile a talidomide* utilizzato per trattare il mieloma multiplo e determinati tipi di anemia. Viene usato anche per trattare il linfoma a cellule mantellari ricomparso o non migliorato dopo un altro trattamento. È in fase di studio per il trattamento di altre condizioni e di altri tipi di cancro. Lenalidomide può aiutare il sistema immunitario ad annientare le cellule ematiche anomale o le cellule tumorali. Può inoltre prevenire la formazione di nuovi vasi sanguigni, che sono necessari ai tumori per poter crescere. È un tipo di agente antiangiogenico e un tipo di agente immunomodulatore*.

Lesione/i ossea/e

Una lesione ossea è un'anomalia nella crescita o nella struttura di un osso. Le lesioni ossee possono essere cancerose o non cancerose. Nei pazienti con mieloma multiplo, le lesioni ossee portano alla distruzione dell'osso e interessano principalmente la colonna vertebrale, la pelvi o la gabbia toracica. Nei pazienti con mieloma multiplo, le lesioni ossee indeboliscono l'apparato scheletrico causando dolore e aumentando il rischio di fratture.

Linfoma/i non-Hodgkin (NHL)

Uno qualsiasi di un ampio gruppo di tumori maligni che si sviluppano nei linfociti (globuli bianchi). I linfomi non-Hodgkin possono insorgere a qualunque età e sono spesso caratterizzati da ingrossamento dei linfonodi, febbre e perdita di peso. Esistono molti tipi diversi di linfoma non-Hodgkin. Questi possono essere suddivisi in forme aggressive (a crescita rapida) e forme indolenti (a crescita lenta) a cellule B o a cellule T. I linfomi non-Hodgkin a cellule B includono il linfoma di Burkitt, la leucemia linfatica cronica/il linfoma linfocitico a piccole cellule (LLC/SLL), il linfoma diffuso a grandi cellule B, il linfoma follicolare, il linfoma immunoblastico a grandi cellule, il linfoma linfoblastico a precursori B e il linfoma a cellule mantellari. I linfomi non-Hodgkin a cellule T includono la micosi fungoide, il linfoma anaplastico a grandi cellule e il linfoma linfoblastico a precursori T. In genere, i linfomi che si sviluppano dopo un trapianto di midollo osseo o di cellule staminali sono linfomi non-Hodgkin a cellule B. La prognosi* e il trattamento dipendono dallo stadio e dal tipo di malattia.

Livello di catene leggere libere nel siero

Le catene leggere delle immunoglobuline* che circolano nel siero in forma libera (non legata) sono chiamate catene leggere libere. L'esame del sangue che misura il livello di catene leggere libere nel siero può aiutare a diagnosticare e a monitorare il mieloma multiplo e le patologie correlate. L'uomo produce due tipi di catene leggere delle immunoglobuline*, che vengono indicate con le lettere greche kappa (κ) e lambda (λ).

Malattia ad alto rischio

In medicina, i gruppi di rischio vengono utilizzati per descrivere le persone che presentano importanti somiglianze. Per esempio, pazienti con lo stesso tipo di cancro possono essere suddivisi in differenti gruppi di rischio a seconda di determinate caratteristiche della loro malattia. Questi gruppi di rischio possono basarsi sulla probabilità dei pazienti di essere curati (favorevole rispetto sfavorevole) o sulla probabilità di ricomparsa della loro malattia (alta rispetto a bassa). Il trattamento può essere selezionato in base al gruppo di rischio in cui rientra il paziente.

Malattia refrattaria

Cancro che non risponde al trattamento. Il cancro può essere refrattario sin dall'inizio del trattamento o diventarlo nel corso dello stesso. È detta anche malattia resistente o cancro resistente.

Melfalan

Farmaco utilizzato per trattare il mieloma multiplo. È in fase di studio anche per il trattamento di altri tipi di cancro. Melfalan può annientare le cellule tumorali danneggiando il loro DNA e arrestandone il processo di divisione. È un tipo di agente alchilante*.

Neuropatia (periferica)

Tipo di lesione dei nervi che causa dolore, intorpidimento, formicolio, gonfiore o debolezza muscolare in diverse parti del corpo. Solitamente esordisce nelle mani o nei piedi e peggiora con il tempo. La neuropatia periferica può essere causata dal cancro o da terapie antitumorali come la chemioterapia. Può essere dovuta anche a traumi fisici, infezioni, sostanze tossiche o malattie come il diabete, l'insufficienza renale o la malnutrizione. È detta anche neuropatia.

Neutropenia

Riduzione del numero di neutrofili (un tipo di globuli bianchi) al di sotto dei valori normali.

Pamidronato

Farmaco utilizzato per trattare l'ipercalcemia (presenza di alti livelli di calcio nel sangue) causata da certi tipi di cancro. Viene utilizzato anche insieme ad altri farmaci antitumorali per trattare il mieloma multiplo e il carcinoma mammario che si è diffuso alle ossa, e per trattare la malattia ossea di Paget. Pamidronato può contribuire a prevenire le fratture ossee e la perdita di calcio dalle ossa. È un tipo di bifosfonato.

Panobinostat

Farmaco utilizzato in combinazione con bortezomib e desametasone per trattare il mieloma multiplo. Viene somministrato ai pazienti che sono stati già trattati con bortezomib e un agente immunomodulatore *. È in fase di studio anche per il trattamento di altri tipi di cancro. Panobinostat blocca determinati enzimi necessari alle cellule per crescere e dividersi e può annientare le cellule tumorali. Può inoltre prevenire la formazione di nuovi vasi sanguigni, che sono necessari ai tumori per poter crescere. È un tipo di inibitore delle istone deacetilasi e un tipo di agente antiangiogenico.

Piastrine

Piccoli frammenti di cellule che svolgono un ruolo fondamentale nella formazione dei coaguli di sangue. I pazienti con una bassa conta di piastrine sono a rischio di emorragia grave. Per contro, i pazienti con una conta elevata di piastrine sono a rischio di trombosi (formazione di coaguli di sangue che possono ostruire i vasi sanguigni causando ictus o altre condizioni gravi), e possono essere anche a rischio di emorragia grave a causa del malfunzionamento delle piastrine.

Plasmacellule

Le plasmacellule, chiamate anche plasmacellule B e plasmociti, sono globuli bianchi secernenti ampi volumi di anticorpi. Vengono trasportate dal plasma sanguigno e dal sistema linfatico. Una volta rilasciati nel sangue e nella linfa, queste molecole anticorpali si legano all'antigene bersaglio (sostanza estranea) e danno inizio alla sua neutralizzazione o distruzione. Le plasmacellule si sviluppano nel midollo osseo a partire dalle cellule B.

Pomalidomide

Farmaco strutturalmente correlato a talidomide*, utilizzato per trattare il mieloma multiplo non migliorato dopo il trattamento con altri agenti antitumorali. È in fase di studio anche per il trattamento di altri tipi di cancro. Pomalidomide può aiutare il sistema immunitario ad annientare le cellule tumorali. Può inoltre prevenire la formazione di nuovi vasi sanguigni, che sono necessari ai tumori per crescere. È un tipo di agente immunomodulatore* e un tipo di agente antiangiogenico.

Prednisone

Farmaco che riduce l'infiammazione e sopprime le risposte immunitarie. Viene utilizzato insieme ad altri medicinali per trattare la leucemia, il linfoma e altre forme tumorali maligne. Prednisone viene utilizzato anche per trattare molte patologie, ivi comprese l'artrite, alcune malattie cutanee, le allergie, la produzione insufficiente di alcuni ormoni da parte delle ghiandole surrenali, la perdita di appetito e l'anemia*. È un glucocorticoide terapeutico.

Profilassi

Insieme di mezzi e di interventi tesi a prevenire l'insorgenza di una malattia.

Prognosi

Il probabile esito o decorso di una malattia; la probabilità di guarire o di andare incontro a recidiva*.

Prognostico

Detto di una situazione o condizione, o di una caratteristica di un paziente che può essere utilizzata per stimare la probabilità di guarire da una malattia o la probabilità che la malattia si ripresenti (ricompaa).

Proteina monoclonale

Anticorpo presente in quantità insolitamente elevate nel sangue o nelle urine delle persone con mieloma multiplo e altri tipi di tumori delle plasmacellule*. È detta anche proteina M.

Radioterapia

Terapia per il trattamento dei tumori maligni che sfrutta le radiazioni. I fasci di radiazioni vengono sempre diretti verso l'area specifica in cui si trova il tumore.

Raggi X

Tipo di radiazioni utilizzate per diagnosticare e trattare il cancro e altre malattie. A basse dosi, i raggi X vengono usati per diagnosticare le malattie generando immagini delle strutture interne del corpo. Ad alte dosi, i raggi X vengono impiegati per trattare il cancro.

Rapporto delle catene leggere libere nel siero

Il confronto del rapporto tra le catene leggere libere kappa (κ) e le catene leggere libere lambda (λ) nel sangue con gli intervalli di riferimento indica se una persona può essere affetta da un tumore delle plasmacellule come il mieloma multiplo o da amiloidosi* AL (da catene leggere).

Recidiva

Ricomparsa del cancro, solitamente dopo un periodo di tempo durante il quale il tumore non era rilevabile. La recidiva può verificarsi nella stessa sede del tumore originario (primario) o in un'altra parte del corpo. È detta anche cancro ricorrente.

Recidiva (malattia recidivata)

Ricomparsa delle manifestazioni di una malattia dopo un periodo di miglioramento. Nel cancro, indica la ricomparsa del tumore dopo un periodo di remissione*.

Remissione

Riduzione o scomparsa dei segni e sintomi del cancro. Nella remissione parziale, alcuni ma non tutti i segni e sintomi del cancro sono scomparsi. Nella remissione completa, tutti i segni e sintomi del cancro sono scomparsi, anche se la malattia potrebbe essere ancora presente nel corpo.

Risonanza magnetica (RM)

Tecnica di diagnostica per immagini utilizzata in ambito medico che sfrutta il fenomeno della risonanza magnetica (magnetismo e onde radio) per ricreare un'immagine degli organi e dei tessuti presenti all'interno del corpo. A volte, per eseguire l'esame viene iniettato un liquido che aumenta il contrasto tra tessuti normali e tessuti malati migliorando la visibilità delle strutture analizzate.

Sangue periferico

Il sangue che circola attraverso il corpo.

Sintomatico

Che riguarda i sintomi, che sono segni di una condizione o malattia.

Sintomo

Problema fisico o mentale avvertito da una persona che può indicare la presenza di una malattia o condizione. I sintomi non sono visibili e non possono essere rilevati dalle indagini mediche. Alcuni esempi di sintomi sono la cefalea, l'affaticamento, la nausea e il dolore.

Sistema immunitario

Complessa rete di cellule, tessuti, organi e sostanze che aiuta il corpo a combattere infezioni e altre malattie. Il sistema immunitario comprende i globuli bianchi e gli organi e tessuti del sistema linfatico, ivi compresi il timo, la milza, le tonsille, i linfonodi, i vasi linfatici e il midollo osseo.

Stadiazione

Esecuzione di una serie di esami e procedure volti a determinare l'estensione del cancro all'interno del corpo, soprattutto se la malattia si è diffusa dalla sede originaria ad altre parti dell'organismo. Conoscere lo stadio della malattia è importante per poter pianificare il trattamento migliore.

Talidomide

Farmaco utilizzato per trattare il mieloma multiplo. È in fase di studio per il trattamento di altri tipi di cancro. Talidomide può aiutare il sistema immunitario ad annientare le cellule tumorali. Può inoltre prevenire la formazione di nuovi vasi sanguigni, che sono necessari ai tumori per poter crescere. È un tipo di agente antiangiogenico e un tipo di agente immunomodulatore*.

Teratogeno

Sostanza o processo che causa difetti congeniti. I teratogeni includono alcuni farmaci (come talidomide), le infezioni e le radiazioni ionizzanti.

Tomografia a emissione di positroni (PET)

Procedura di diagnostica per immagini in cui viene iniettata in una vena una piccola quantità di glucosio (zucchero) radioattivo e viene utilizzato un apposito scanner per ottenere immagini computerizzate dettagliate delle aree all'interno del corpo in cui si è concentrato il glucosio. Poiché le cellule cancerose usano spesso più glucosio rispetto alle cellule sane, le immagini ottenute possono essere impiegate per identificare le cellule cancerose all'interno del corpo.

Tomografia a emissione di positroni-tomografia computerizzata (PET-TC)

Procedura che combina le immagini generate dalla tomografia a emissione di positroni (PET) e dalla tomografia computerizzata (TC). Le scansioni PET e TC vengono acquisite contemporaneamente dalla stessa macchina. Le scansioni combinate forniscono immagini più dettagliate delle aree corporee interne di interesse rispetto a quelle prodotte da entrambe le scansioni eseguite separatamente. La PET-TC può essere utilizzata per aiutare a diagnosticare malattie (come il cancro), per pianificare il trattamento o per valutare la sua efficacia.

Tomografia computerizzata (TC)

Forma di esame radiologico in cui gli organi del corpo vengono scansionati con i raggi X* e i risultati vengono assemblati da un computer per generare immagini dettagliate delle sezioni corporee di interesse. Al fine di visualizzare più chiaramente i tessuti e gli organi, potrebbe essere somministrato al paziente un mezzo di contrasto per via endovenosa o per via orale. La tomografia computerizzata può essere utilizzata per aiutare a diagnosticare le malattie, per pianificare il trattamento o per valutare la sua efficacia.

Trapianto allogenico

Procedura in cui una persona riceve cellule staminali (le cellule da cui si sviluppano tutte le cellule del sangue) da un donatore geneticamente simile ma non identico.

Trapianto autologo

Il trapianto autologo di cellule staminali è una procedura consistente nella raccolta di cellule staminali (le cellule da cui si sviluppano tutte le cellule del sangue) da una persona, nella loro conservazione e nella successiva restituzione alla stessa persona. Il trapianto autologo di midollo osseo è una procedura consistente nel prelievo di midollo osseo da una persona, nella sua conservazione e nella successiva restituzione alla stessa persona dopo trattamento intensivo.

Trattamento di induzione

Primo trattamento somministrato per una malattia. Rientra spesso in una sequenza standard di trattamenti, come la chirurgia seguita dalla chemioterapia e dalla radioterapia. Quando viene utilizzata da sola, la terapia di induzione rappresenta il miglior trattamento riconosciuto. Se la terapia di induzione non cura la malattia o causa gravi effetti indesiderati, al suo posto o in aggiunta a essa possono essere usati altri trattamenti.

Trattamento (terapia) sistemico(a)

Trattamento a base di sostanze che, viaggiando nel circolo sanguigno, raggiungono e attaccano le cellule tumorali in tutto il corpo.

Trombosi

Formazione o presenza di un trombo (coagulo di sangue) all'interno di un vaso sanguigno.

Zoledronato

Farmaco utilizzato per trattare i pazienti con ipercalcemia* (presenza di alti livelli di calcio nel sangue) causata dal cancro. Viene usato anche insieme ad altri medicinali per trattare il mieloma multiplo e per prevenire le fratture ossee e ridurre il dolore osseo nelle persone in cui il cancro si è diffuso allo scheletro. Appartiene a una classe di farmaci noti come bifosfonati*.

Le Guide ESMO/Anticancer Fund per il Paziente sono state ideate per aiutare i malati, i loro familiari e le persone che li assistono a comprendere la natura di diversi tipi di cancro e a riconoscere le migliori opzioni terapeutiche disponibili. Le informazioni mediche riportate nelle Guide per il Paziente si basano sulle Linee Guida per la Pratica Clinica ESMO, che sono state sviluppate allo scopo di guidare gli oncologi clinici nella diagnosi, nel follow-up e nel trattamento di diversi tipi di cancro. Queste guide sono state realizzate dall'Anticancer Fund in stretta collaborazione con l'ESMO Guidelines Working Group e l'ESMO Cancer Patient Working Group.

Ulteriori informazioni sono reperibili sui siti web www.esmo.org e www.anticancerfund.org

