

Chronická myeloidná leukémia

Čo je
chronická myeloidná
leukémia?

Vysvetlíme Vám to.

www.anticancerfund.org | www.esmo.org



www.anticancerfund.org



www.esmo.org

ESMO/ACF Pacientske príručky
na základe ESMO odporúčaní z klinickej praxe

CHRONICKÁ MYELOIDNÁ LEUKÉMIA: PRÍRUČKA PRE PACIENTOV

INFORMÁCIE PRE PACIENTOV ZALOŽENÉ NA ESMO ODPORÚČANIACH Z KLINICKEJ PRAXE

Túto príručku pre pacientov pripravil Anticancer Fund ako pomôcku pre pacientov. Cieľom je pomôcť pacientom a ich blízkym lepšie pochopiť problematiku chronickej myeloidnej leukémie (CML) a zhodnotiť najlepšie liečebné možnosti podľa podtypu CML. Odporúčame, aby sa pacienti pýtali svojich lekárov na vyšetrenia a možnosti liečby, ktoré sú potrebné pre ich typ a štádium ochorenia. Lekárske informácie opísané v tomto dokumente sú založené na klinických odporúčaní ESMO (European Society for Medical Oncology) pre starostlivosť o dospelých pacientov s chronickou myeloidnou leukémiou. Príručka pre pacientov, ktorú napísal lekár a recenzovali dvaja onkológovia z ESMO vrátane hlavného autora klinických odporúčení pre medicínskych odborníkov, bola vytvorená v spolupráci s ESMO a je distribuovaná s povolením ESMO. Príručku revidovali aj zástupcovia pacientov z pracovnej skupiny ESMO Cancer Patient Working Group.

Slovenský preklad a revíziu textu zabezpečil Národný onkologický inštitút v Bratislave v spolupráci s občianskym združením Liga proti rakovine a patientskou organizáciou Hematologický pacient.

Viac informácií o Anticancer Fund: www.anticancerfund.org

Viac informácií o European Society for Medical Oncology: www.esmo.org

Viac informácií o Národnom onkologickom inštitúte: www.noisk.sk

Viac informácií o občianskom združení Liga proti rakovine: www.lpr.sk

Viac informácií o patientskej organizácii Hematologický pacient: www.hematologickypacient.sk

Slová označené hviezdikou sú vysvetlené na konci dokumentu.

Obsah

Definícia chronickej myeloidnej leukémie (CML)	3
Je chronická myeloidná leukémia častá?	4
Čo spôsobuje chronickú myeloidnú leukémiu?	5
Ako sa diagnostikuje chronická myeloidná leukémia?	6
Čo je potrebné vedieť, aby ste dostali optimálnu liečbu?	8
Aké sú liečebné možnosti?	10
Čo sa stane po liečbe?	14
Vysvetlenie náročných pojmov	16

Tento text napísal Dr. Holbrook E.K. Kohrt (z Anticancer Fund) a recenzovali ho Dr. Svetlana Jezdic (z ESMO), Prof. Martin Fey (ESMO), pán Ján Geissler (ESMO's Cancer Patient Working Group) a Prof. Lorenz Jost (ESMO's Cancer Patient Working Group).

DEFINÍCIA CHRONICKEJ MYELOIDNEJ LEUKÉMIE (CML)

Leukémia je druh rakoviny krvi. Podľa druhu postihnutej krvnej bunky rozoznávame rôzne druhy leukémie. „Chronická“ znamená postupný, pomalý priebeh, a „myeloidná“ hovorí o tom, že pochádza z myeloidných buniek, ktoré sú nezrelými bunkami, z ktorých sa za normálnych okolností vyvíjajú zrelé červené krvinky*, biele krvinky*, alebo krvné doštičky*. Pri chronickej myeloidnej leukémii produkuje kostná dreň príliš veľa myeloidných krvných buniek, ktoré sú v rôznych štádiách vývoja, vrátane buniek ako sú nezrelé granulocyty*, metamyelocyty*, a myeloblasty*. Krvné doštičky a bazofily (odlišné myeloidné bunky čiastočne zodpovedné za alergickú odpoveď) sú často na začiatku ochorenia produkované vo veľkom množstve. Nadmerná produkcia myeloidných krvných buniek v kostnej dreni nakoniec bráni normálnej produkcii červených krviniek, ktoré sú dôležité v prenose kyslíka do všetkých buniek v tele a tiež znižuje tvorbu krvných doštičiek, čo vedie k trombocytopénii*. Krvné doštičky majú významnú úlohu pri zastavovaní krvácania.

Pacienti s chronickou myeloidnou leukémiou (CML) môžu byť diagnostikovaní pri preventívnej prehliadke alebo keď vyhľadajú lekára z dôvodu úbytku energie a slabosti z anémie*, alebo kvôli krvácaniu, bolesti brucha* alebo diskomfortu a zriedkavo kvôli modrinám pri nedostatku krvných doštičiek. Zväčšenie sleziny, známe ako splenomegália, vedie k brušnej bolesti a tlaku pod ľavým rebrovým oblúkom, rýchlemu pocitu nasýtenia alebo k črevným ťažkostiam. Môžeme sa ešte stretnúť s ďalšími symptómami ako horúčka, dýchavica a bolesť kostí. V čase diagnózy, má väčšina pacientov počet bielych krviniek (počet bielych krviniek cirkulujúci v krvi) zvýšený nad normálnu hodnotu.

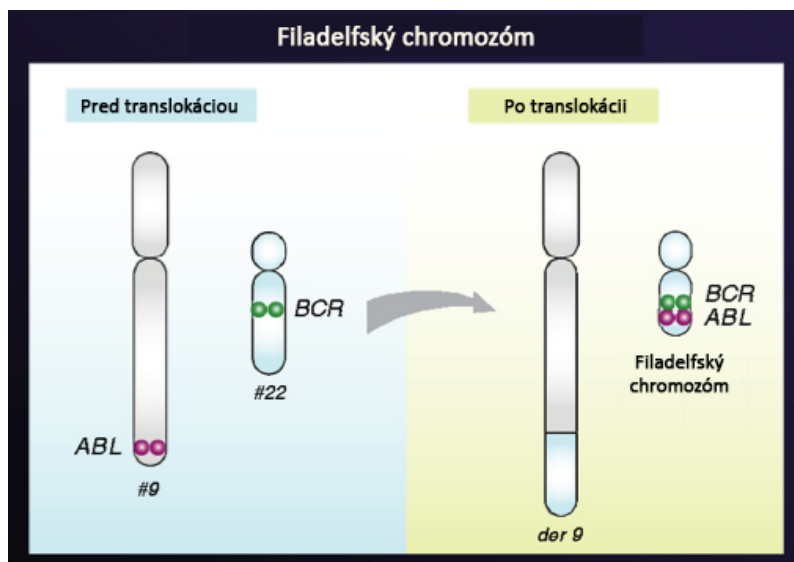
JE CHRONICKÁ MYELOIDNÁ LEUKÉMIA ČASTÁ?

V porovnaní s rakovinou prsníka u žien alebo rakovinou prostaty u mužov, nie je chronická myeloidná leukémia častá. V Európskej únii sa diagnostikujú 1 až 2 prípady na 100 000 obyvateľov ročne. CML je veľmi zriedkavá u detí. Výskyt rastie s vekom. Medián* veku pacientov, ktorým je diagnostikovaná CML je okolo 60 rokov. Nie sú žiadne geografické rozdiely v počte novodiagnostikovaných prípadov.

ČO SPÔSOBUJE CHRONICKÚ MYELOIDNÚ LEUKÉMIU?

Dnes je príčina chronickej myeloidnej leukémie (CML) známa ako výsledok špecifickej genetickej abnormality*, ktorá nastane v krvnej kmeňovej bunke*, avšak nie je známa príčina, ktorá vedie k abnormalite.

Táto špecifická genetická abnormalita je chybným preskupením genetického materiálu. V dvoch chromozómoch* sa vymenia



časti ich génov navzájom. Tento dej je známy ako translokácia. Pri CML sa špecificky vymenia gény z chromozómu 9 s génmi z chromozómu 22. Translokácia génu Abelsonovej myšej leukémie (ABL*) medzi chromozómom 9 oblasťou zoskupenia zlomových bodov (BCR*) na chromozóme 22 je výsledkom Philadelphia chromozómu* (translokácia chromozómov 9 a 22, t(9;22)) a môže byť zistená u 95 % s CML buď z buniek periférnej krvi alebo z kostnej drene.

Philadelphia chromozóm kóduje dysregulovanú tyrozínkinázu* (enzým v bunkách) čo vedie k poruche správania postihnutých buniek. To zahŕňa aj tvorbu nesmrteľných buniek, zvýšený bunkový obrat a proliferáciu* a poruchu bunkového vyzrievania.

Je len veľmi málo známych rizikových faktorov* CML, ktoré zvyšujú náchylnosť na vznik leukémie, ale nemusia viesť nevyhnutne k rozvoju leukémie.

- Vystavenie sa vysokým dávkam žiarenia (radiácie*) môže zvýšiť riziko CML. Populácia prežívajúca po výbuchu atómovej bomby a nehodách jadrových reaktorov ako aj rádiológovia pred rokom 1950 (keď bolo prvýkrát zavedené ochranné tienenie) majú zvýšené riziko rozvoja CML.
- Riziko vzniku CML rastie s vekom, ale aj pri starnutí je riziko stále veľmi nízke. CML sa tiež vyskytuje o niečo častejšie u mužov ako u žien.

Ľudia vystavení pri práci pesticídom* alebo benzénom majú mierne zvýšené riziko rozvoja CML.

AKO SA DIAGNOSTIKUJE CHRONICKÁ MYELOIDNÁ LEUKÉMIA?

Podозrenie na chronickú myeloidnú leukémiu vzniká u pacientov so symptómami alebo na základe laboratórných výsledkov u pacientov s/bez symptómov (asymptomatických*). **Symptómy a klinické prejavy** môžu zahŕňať:

1. **Splenomegáliu.** Zväčšenie sleziny môže vďaka tomu, že sa nachádza pod ľavým rebrovým oblúkom, spôsobovať brušný diskomfort, bolesť vyžarujúcu do ľavého ramena, rýchly pocit sýtosti (neschopnosť zjesť celú porciu jedla), zmenu vyprázdňovania (z dôvodu prekážky v črevách), príležitostne aj prírastok na hmotnosti, a pocit tlaku (zdurenia) šíriaceho sa spod ľavého rebrového oblúka do brucha.
2. **Slabosť.** Slabosť je bežný symptóm anémie* (zníženého počtu červených krviniek, ktorý sa často meria hematokritom* alebo zníženou hodnotou hemoglobínu*). Pacienti, ktorí sú fyzicky aktívni nemusia cítiť príznaky anémie, až kým nie je závažná.
3. **Krvácanie.** Niekedy môžu mať pacienti na začiatku zvýšený počet krvných doštičiek*. Naopak, môžeme pozorovať nízky počet krvných doštičiek, ktorý je výsledkom postihnutia zdravej kostnej drene bunkami leukémie, čo vedie k tvorbe modrín, krvácaniu z nosa a ďasien, petechiám* (červené bodky viditeľné na koži bežne na predkoleniach a členkoch), a purpury (skupiny petechií*, ktoré sa spájajú do väčších červených kožných škvrín).

Pacienti, ktorí majú vyššie uvedené symptómy, by mali mať vyšetrené kompletne parametre krvného obrazu, na zhodnotenie všetkých troch typov buniek vyrábaných v kostnej dreni: 1) bielych krviniek*, 2) červených krviniek*, a 3) krvných doštičiek*. Niekedy môže byť prvé podozrenie na pravdepodobnú leukémiu založené len na bežných **laboratórných** nálezoch. Okrem nálezu bielych krviniek, v **kompletnom krvnom obraze** sa môžu pri hodnotení bielych krviniek nájsť leukemické bunky cirkulujúce v krvi: v krvi sa pozoruje zvýšený počet bielych krviniek v rôznych štádiách vývoja, ktoré proliferujú* v abnormálnom počte s výrazným nárastom bazofilov*.

Pri podozrení na CML na základe symptómov a bielych krviniek*, sa robí **biopsia* kostnej drene**. Vo väčšine prípadov sú leukemické bunky nájdené v periférnej krvi dostatočným tkanivovým materiálom na zistenie prítomnosti Philadelphia chromozómu* (translokácia chromozómov* 9 a 22 ako je popísané vyššie). **Philadelphia chromozóm**, t(9;22) sa môže dokázať konvenčnými metódami cytogenetiky (prúžkovacia analýza metafázických chromozómov buniek kostnej drene) ale tiež



molekulovými metódami, vrátane polymerázovej reťazovej reakcie (PCR*), technike molekulovej biológie, ktorá znásobuje jednu alebo málo kópií časti DNA (deoxyribonukleovej kyseliny) a fluorescenciou in-situ hybridizáciou (FISH*), cytogenetickou* metódou, ktorá sa používa na odhalenie a lokalizovanie prítomnosti alebo chýbania špecifických DNA sekvencií na chromozómoch. V týchto prípadoch môže liečba začať ešte pred punkciou kostnej drene.

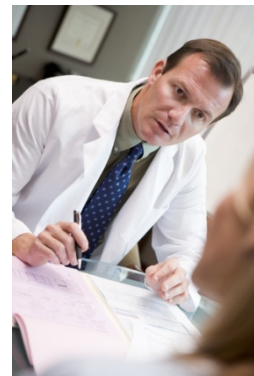
Biopsia* kostnej drene je minimálne nepríjemné vyšetrenie trvajúce približne 15 minút. Pri vyšetrení sa používa lokálna anestéza*, preto ostrú bolesť zvyčajne necítiť. Vyšetrenie umožňuje patológovi* (lekár, ktorý určuje diagnózu na základe vzhľadu buniek a tkanív pod mikroskopom) diagnostikovať CML. Patológ tiež môže určiť, ktorý typ CML má pacient a tiež môže ďalej zistiť genetické abnormality leukémie bližším pozorovaním chromozómov*. PCR* a FISH* testy sa robia s cieľom nájsť Philadelphia chromozóm*.

ČO JE POTREBNÉ VEDIEŤ, ABY STE DOSTALI OPTIMÁLNU LIEČBU?

Lekári potrebujú zvážiť rôzne údaje o pacientovi a o leukémii s cieľom rozhodnúť o najlepšej liečbe.

Dôležité informácie o pacientovi

- Osobná anamnéza
- Výsledky klinického lekárskeho vyšetrenia*
- Celkový stav
- Zistenie vhodnosti na transplantáciu kostnej drene*. Pred vyvinutím cielených terapií* pri CML bola liečbou prvej línie transplantácia kostnej drene. Dnes je u niektorých pacientov s CML potrebná transplantácia kostnej drene, ale je to zvyčajne vtedy, keď zlyhá odpoveď na cielenú liečbu a ochorenie sa ďalej zhoršuje. Transplantácia kostnej drene znamená použitie zdravých buniek kostnej drene iného človeka ako náhradu pacientovej chorej kostnej drene. Aby sa zabránilo ničivému účinku darcovho imunitného systému* v tele pacienta (ide o *reakciu štepu* proti hostiteľovi*), musí sa vyšetriť tkanivový materiál, aby sa zistilo, či sú darca a pacient „zhodní“. Určuje sa stupeň zhody špecifických bielkovín*, nazývaných Ľudský leukocytový* antigén (HLA) medzi pacientom a darcom. Keďže proces hľadania vhodného darcu kostnej drene môže trvať niekoľko mesiacov, je nápomocné, keď je pacientov typ HLA známy s časovým predstihom. Mal by sa určiť typ HLA aj u súrodencov, ak existujú a s transplantáciou súhlasia. Ak súrodenci nie sú zhodní, vyhľadávajú sa nepríbuzenský darcovia.



Dôležité informácie o leukémii

- **Určenie štádia, prognóza* a klasifikácia rizika**

Na rozdiel od iných druhov rakoviny, ktoré vzniknú na jednom mieste (ako napríklad rakovina prsníka je v prsníku, alebo rakovina prostaty v prostate) a potom sa šíria (metastázujú*), rakovinové bunky u pacientov s leukémiou sú prítomné v celom tele už na začiatku diagnózy z dôvodu normálnej cirkulácie v krvnom obeh. Z týchto dôvodov sa prognóza neurčuje podľa rozsahu ochorenia. Štádium ochorenia sa určuje jeho „fázou“, a to chronickou*, akcelerovanou, a blastickou*, teda fázou blastической krízy. Väčšina pacientov je diagnostikovaná v chronickej fáze. Pacienti sú diagnostikovaní v akcelerovanej fáze, ak je percento blastov medzi 15-29 % v krvi alebo v kostnej dreni, v periférnej krvi (teda krvi cirkulujúcej v cievach) je viac ako 20 % bazofilov, krvné doštičky sú veľmi zvýšené alebo nízke (ale nie dôsledkom liečby), alebo sa vyvinie ďalšia genetická porucha (prídavná klonálna abnormalita) popri Philadelphia chromozóme*. Najpokročilejšia fáza ochorenia je blastická kríza, ktorá sa vyznačuje tým, že počet blastov v kostnej dreni je viac ako 30 %.

	Akcelerovaná fáza	Blastická fáza
blasty*	15-29 %	≥30 %
bazofily*	>20 %	/
počet krvných doštičiek**	<100x10 ⁹ /l nesúvisiaci s liečbou	/
CCA/Ph+	Prítomné	/
mimodreňové postihnutie +	/	prítomné

V periférnej krvi alebo v kostnej dreni; CCA/Ph+ = klonálne chromozómové abnormality v Ph+ bunkách; + s vylúčením pečene a sleziny, vrátane lymfatických uzlín*, centrálného nervového systému (CNS*), kostry a pľúc

U neliečených pacientov v chronickej* fáze CML sa postupne vyvinie akcelerovaná fáza do 3-5 rokov. Pacienti diagnostikovaní v akcelerovanej fáze majú medián* prežívania 4 až 6 mesiacov bez liečby. Prežívanie je ešte viac limitované, ak sa objaví blastická* kríza s mediánom prežívania neliečených pacientov 2 až 4 mesiace.

Prognóza* pacienta je najlepšie predpovedateľná z charakteristík pacienta (vrátane percenta bazofilov* a veľkosti sleziny). Viacbodový skórovací systém, v ktorom sú používané charakteristiky pacienta a ochorenia umožňuje zhodnotiť pravdepodobnosť odpovede na liečbu a dĺžku života. Podľa skórovacieho systému EUTOS je možné rozlíšiť nízkorizikovú a vysokorizikovú skupinu. Viac pacientov v nízkorizikovej skupine žije 5 rokov (90 %) oproti vysokorizikovej skupine (82 %) a pacienti v nízkorizikovej skupine žijú len o niečo kratšie v porovnaní so zdravou populáciou ľudí.

AKÉ SÚ LIEČEBNÉ MOŽNOSTI?

Liečba by sa mala podávať iba v centrách, kde liečia CML a poskytujú primeranú multidisciplinárnu* podporu. Vždy, keď je to možné, mala by byť ponúknutá liečba vo forme účasti v klinických štúdiách*.

Liečba CML je cieleňá individuálne podľa fázy ochorenia na začiatku diagnózy. Na rozdiel od solídnych nádorov*, chirurgické zákroky a rádioterapia* nemajú hlavnú úlohu v liečbe CML.

Liečba chronickej fázy* CML

Vyššie spomenutá mutácia t(9;22) vedie k mutácii tyrozínkinázy, označovanej ako BCR-ABL* tyrozínkináza. Dnes by mali byť všetci pacienti najskôr liečení inhibítorom tejto mutovanej* tyrozínkinázy. Ostatné lieky, vrátane interferónu* a hydroxyurey* majú obmedzenú úlohu v prvolíniovej liečbe. Hydroxyurea sa používa na rýchle zníženie počtu bielych krviniek*. Imatinib* je tyrozínkinázový inhibítor prvej generácie, ktorý dosahuje 8-ročné celkové prežítie takmer u 90 % pacientov. U pacientov s CML sa môžu používať aj inhibítory druhej generácie, ako je dasatinib* alebo nilotinib*. Pacient *by nemal* prerušiť (prestať užívať) liečbu imatinibom, dasatinibom alebo nilotinibom, pokiaľ tak nie je odporúčané v rámci liečby v klinickej štúdii alebo v prípade závažných nežiaducich účinkoch. Tieto lieky sa užívajú dlhodobo, pretože ukončenie užívania viedlo k návratu* alebo progresii* CML.



Po začatí liečby CML by mala byť u pacientov sledovaná odpoveď na liečbu. Proces hodnotenia odpovede na liečbu je dôležitý na posúdenie, či bola dosiahnutá adekvátna odpoveď, alebo či má pacient prejsť na užívanie vyšších dávok liekov, alebo či sa má zmeniť liečba. Keďže liečba pokračuje dlhodobo a relaps sa u väčšiny pacientov objaví pri pozastavení liečby, je dôležité, aby sa ochorenie dôkladne sledovalo. Sledovanie pokračuje aj v prípade dosiahnutia optimálnej odpovede s úmyslom odhaliť a liečiť možný návrat* ochorenia. Boli stanovené špecifické kritériá odpovede na určenie dostatočnej a nedostatočnej odpovede na liečbu a zlyhania liečby s odporúčaním zvýšenia dávky lieku, alebo zmeny liečby na iný liek.

Hodnotenie odpovede je založené na odpovediach v troch sledovaných znakoch: hematologická odpoveď*, cytogenetická odpoveď* a molekulová odpoveď*.

- Hematologická odpoveď*
 - Zhodnotenie hematologickej odpovede by sa malo robiť po začatí liečby každé 2 týždne kvôli sledovaniu bielych krviniek* (WBC) a krvných doštičiek*.
 - Kompletná hematologická odpoveď* (CHR) je dosiahnutá, ak:
 - celkový počet WBC $10 \times 10^9 / l$,
 - v bielych krvinkách sa nenachádzajú nezrelé granulocyty* a je <math>< 5\%</math> bazofilov*,
 - krvné doštičky* <math>< 450 \times 10^9 / l</math>,
 - nie je hmatná slezina.

- Cytogenetická odpoveď (CgR)*
 - Cytogenetika by sa mala vyšetriť po 3, 6, 12 a 18 mesiacoch liečby inhibítorom tyrozínkinázy*. Kým sa dosiahne kompletná cytogenetická odpoveď* (CCgR), cytogenetika sa má opakovať najmenej každých 6 mesiacov.
 - Kompletná cytogenetická odpoveď (CCgR) je definovaná nemožnosťou zaznamenať prítomnosť Philadelphia chromozómu* pri analýze metafázických* chromozómov*.
 - Čiastočná cytogenetická odpoveď (PCgR) je definovaná ako prítomnosť 1 %-35 % Philadelphia chromozómov.
- Molekulová odpoveď*
 - Sledovanie molekulovej odpovede sa robí pomocou metodiky polymerázovej reťazovej reakcie (PCR), ktorá kvantifikuje BCR-ABL/ABL anomálie.
 - Musí sa opakovať každé 3 mesiace až do dosiahnutia veľkej molekulovej odpovede*.
 - Veľká molekulová odpoveď je definovaná výsledkom PCR s prítomnosťou anomálie BCR-ABL/ABL < 0,10 % v Medzinárodnej škále (IS).
- Ak sa raz dosiahne kompletná cytogenetická a veľká molekulová odpoveď, cytogenetické vyšetrenie by sa malo robiť každých 12 mesiacov a molekulové vyšetrenie PCR každých 6 mesiacov.

Pacienti, ktorí dosiahnu optimálnu odpoveď by mali pokračovať v liečbe imatinibom*, alebo druhogeneračným inhibítorom tyrozínkinázy*, ktorý práve užívajú. Táto skupina pacientov by mohla prerušiť liečbu iba v prípade, že je prerušenie odporúčané v rámci účasti v klinickej štúdiu.

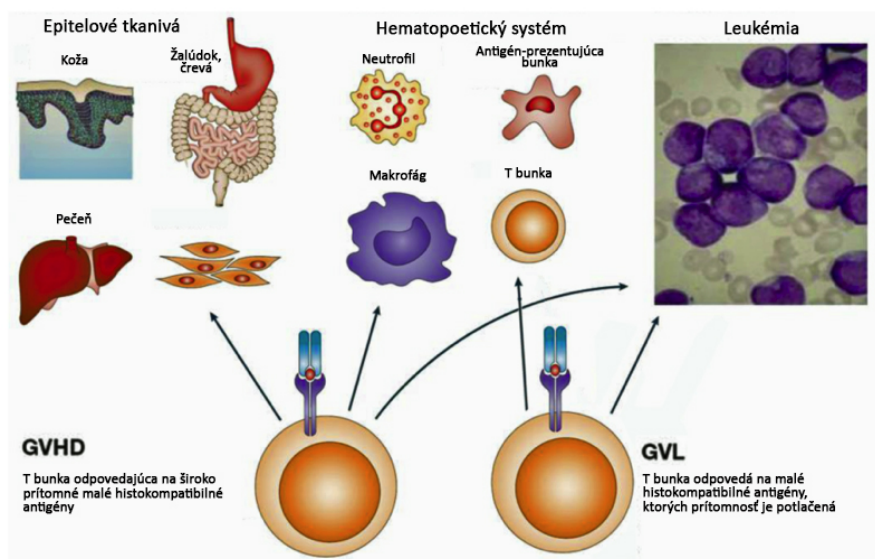
U pacientov s nedostatočnou odpoveďou na liečbu možno zvážiť zvýšenie dávky užívaného inhibítora tyrozínkinázy alebo zmenu liečby, v prípade, že užívajú imatinib, zmeniť ho na druhogeneračný inhibítor tyrozínkinázy.

U pacientov so zlyhaním odpovede na imatinib by sa mala liečba zmeniť na inhibítor tyrozínkinázy druhej generácie, ako je dasatinib*, nilotinib, alebo bosutinib. Inhibítor tyrozínkinázy ponatinib bol schválený na použitie pri CML so špecifickou mutáciou T315I*. V prípadoch CML rezistentných na inhibítory tyrozínkinázy, bol v USA nedávno schválený na liečbu odlišný typ lieku, omacetaxín, ktorý nepatrí do skupiny inhibítorov tyrozínkinázy. Zvýšenie dávky imatinibu zvyčajne nevedie k efektu zlepšenia pri zhoršujúcom sa ochorení. Schopnosť dosiahnuť odpoveď a trvanie odpovede by mali byť dôležitými údajmi v prípade zvažovania možnosti alogénnej transplantácie kostnej drene*.

Liečba akcelerovanej fázy alebo blastickéj krízy* CML

V týchto prípadoch sú dôkazy o najlepšej možnej liečbe limitované. Liečba inhibítorom tyrozínkinázy sa môže začať u pacientov, ktorí ešte neboli liečení inhibítorom tyrozínkinázy. Zmenu na iný inhibítor tyrozínkinázy alebo chemoterapiu možno zvážiť u pacientov, ktorí už boli liečení inhibítorom tyrozínkinázy. Avšak tieto liečebné možnosti sú efektívne len na určitý čas.

U týchto pacientov zostáva alogénna transplantácia kostnej drene* najsprávnejšou liečbou a preto by sa mala zväžiť. Ide o postup prenosu buniek kostnej drene iného človeka pacientovi. Pacientove biele krvinky*, červené krvinky* a krvné doštičky* sú nahradené darcovými bunkami. Darcove bunky sa stanú súčasťou pacientovej krvi. Keďže sú darcove bunky novými v tele pacienta, môžu rozpoznávať pacientove vlastné bunky ako cudzie, čo vedie k poškodeniu pacientových vlastných buniek (ide o reakciu štepu proti hostiteľovi). GVHD zapríčiňujú darcove T bunky*, nachádzajúce sa v štepe*, ktoré napádajú pacientovu kožu, gastrointestinálny trakt (ústa, žalúdok a črevo), a pečeň. Tieto tkanivá obsahujú malé histokompatibilné antigény* pre ktoré nie je potrebná zhoda pred transplantáciou medzi darcom a pacientom, na rozdiel od veľkých histokompatibilných antigénov. Prítomnosť týchto malých antigénov vedie k ich rozpoznaní ako cudzích. Týmto istým spôsobom darcove bunky tiež rozpoznávajú pacientovu leukémiu ako cudziu a zneškodnia ju, čo je hlavný prospešný účinok transplantácie kostnej drene* (známy ako reakcia štepu proti leukémii). Transplantácie kmeňovými bunkami kostnej drene poskytujú možnosť kompletného odstránenia tumoru a vyliečenia pacienta.



Alogénna transplantácia kostnej drene* je jediným uznávaným spôsobom kuratívnej liečby* pre ktorúkoľvek z uvedených fáz ochorenia. S cieľom kontrolovať priebeh ochorenia a dosiahnuť odpoveď pred transplantáciou, by sa mala zväžiť u pacientov klinická štúdia, druhogeneračný inhibítor tyrozínkinázy*, alebo konvenčná cytotoxická* chemoterapia*.

Liečba rezistentného ochorenia

Ochorenie sa môže stať rezistentným* na liečbu inhibítorom tyrozínkinázy*. Rezistencia ochorenia sa môže vyvinúť v čase progresie ochorenia u pacienta z dôvodu vzniku mutácií* v BCR-ABL tyrozínkináze. V čase progresie ochorenia a zvýšenia dávky lieku alebo zmeny na iný inhibítor tyrozínkinázy je dôležité vyšetriť mutácie, ktoré vedú k vzniku rezistencie na liečbu. V ojedinelých prípadoch, kde je problém spolupráca pacienta alebo liekový metabolizmus*, je možné stanoviť liekové hladiny imatinibu* v periférnej krvi. Ak majú leukemické bunky špecifickú mutáciu T315I, pacient môže byť liečený inhibítorom tyrozínkinázy, ponatinibom.

CML: príručka pre pacientov

Informácie pre pacientov založené na ESMO odporúčaní z klinickej praxe - v.2013.1

Strana 12

Liečba pacientov, ktorí netolerujú inhibítory tyrozínkinázy*

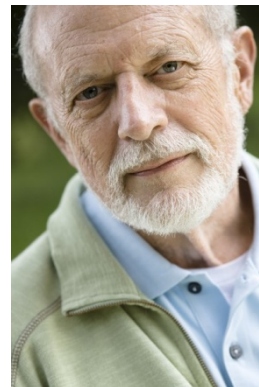
Pacienti, ktorí majú závažné nežiaduce účinky pri liečbe inhibítormi tyrozínkinázy prvej generácie, ako závažné vyrážky, výrazné edémy (opuchy dolných končatín), nahromadenie tekutiny v pľúcach, by sa mali najskôr liečiť inhibítormi* tyrozínkinázy druhej generácie*. Väčšina pacientov, ktorí netolerujú inhibítory prvej generácie, môžu byť úspešne a bez vedľajších účinkov liečení inhibítormi druhej generácie. S cieľom znížiť riziko nežiaducich účinkov, môže byť dávka inhibítorov druhej generácie redukovaná bez zníženia účinnosti* liečby. Pacientom, ktorí netolerujú liečbu tromi inhibítormi tyrozínkinázy, sa ukazuje ako efektívna a tolerovateľná liečba novým liekom omacetaxínom.* V raritných prípadoch, keď pacient netoleruje žiadny inhibítory tyrozínkinázy, zvažuje sa transplantácia kostnej drene* od príbuzenského darcu.

Manažment symptómov ochorenia a vedľajších účinkov liečby

Leukémia a jej liečba môžu spôsobovať silné vedľajšie účinky, vrátane hnačky, pocitu na vracanie, vracanie, straty vlasov; nedostatok energie, chuti do jedla a sexuálneho záujmu a ťažké infekcie. Mnohé z týchto nežiaducich účinkov sa dajú účinne liečiť.

ČO SA STANE PO LIEČBE?

V súčasnosti pacienti s CML vyžadujú dlhodobú liečbu inhibítormi tyrozínkinázy*. Pokračuje výskum, ktorý má odpovedať na otázku, či môže byť liečba prerušená a ktorí pacienti môžu liečbu prerušiť. S výnimkou klinických štúdií*, v ktorých môže byť presne stanovené prerušenie liečby, sa prerušenie liečby neodporúča.



Prečo a ako mám byť sledovaný lekárom?

Po ukončení liečby lekár navrhuje program sledovania* s cieľom:

- odhaliť čo najskôr možnú progresiu, relaps* alebo návrat leukémie
- zhodnotiť nežiaduce účinky liečby a liečiť ich
- poskytovať psychologickú podporu a informácie na urýchlenie návratu do normálneho života.

V období sledovania* by mali návštevy u lekára obsahovať:

- odber anamnézy (prieskum zdravotných ťažkostí pacienta), zisťovanie symptómov a fyzikálne vyšetrenie
- bežné vyšetrenie kompletného krvného obrazu
- opakované vyšetrenie kostnej drene, iba v prípade zlyhania liečby, alebo v prípade nevysvetliteľnej trombocytopenie*, alebo ak sa nedá spoľahlivo urobiť molekulové vyšetrenie*.

Vo všeobecnosti, od tretieho mesiaca od začiatku liečby sa cytogenetické vyšetrenie opakuje každých 6 mesiacov až do dosiahnutia a potvrdenia kompletnej cytogenetickej odpovede* a PCR* každé 3 mesiace do dosiahnutia veľkej molekulovej odpovede*. Keď sa dosiahne a potvrdí kompletná cytogenetická odpoveď, cytogenetické vyšetrenie sa odporúča každých 12 mesiacov, ale nie je potrebné, ak je dostupné a spoľahlivé molekulové vyšetrenie. Keď sa dosiahne a potvrdí molekulová odpoveď, molekulové vyšetrenie sa odporúča každých 6 mesiacov. Ak je pacient vysokorizikový podľa rizikového skóre, alebo neodpovedá dostatočne na liečbu, odporúča sa častejšie sledovanie. Pátranie po mutáciách* BCR-ABL sa navrhuje iba v prípade zlyhania liečby alebo nedostatočnej odpovede na liečbu.

Návrat do normálneho života

Je veľmi ťažké žiť s predstavou, že sa leukémia môže vrátiť. Na základe súčasných poznatkov neexistuje žiaden špecifický spôsob zníženia rizika návratu* choroby po ukončení liečby. Dôsledkom samotného ochorenia a liečby nie je návrat do normálneho života pre niektorých pacientov ľahký. Otázky spojené s telesným vzhľadom, sexualitou, slabosťou, prácou, emóciami alebo životným štýlom môžu vzbudzovať obavy. Rozprávanie o týchto otázkach s príbuznými, priateľmi, ostatnými pacientmi alebo lekármi môže pomôcť. Podpora patientskych organizácií formou poskytovania poradenstva pri riešení problémov pri liečbe ako aj dobrá onkopsychologická podpora alebo telefonické informačné služby a linky pomoci sú dostupné vo viacerých krajinách.

Ako veľmi je dôležité, že užívam svoj liek?

Iba lieky, ktoré sa užívajú, môžu skutočne účinkovať. Je veľmi dôležité, aby ste užívali svoje lieky tak, ako je predpísané.

Štúdie preukázali, že dodržiavanie užívania liekov u pacientov s CML sa významne líši. Najmä, ak sa lieči tabletkami, ako pri CML, ide vždy o zodpovednosť pacienta, aby užíval lieky tak, ako sú predpísané. Nedodržiavanie liečby, či už úmyselné alebo neúmyselné, môže mať významný dosah na úspešnosť liečby a udržanie odpovede. CML štúdie preukázali silný vzťah medzi dodržiavaním liečby, počtom relapsov a počtom odpovedí ako aj počtom hospitalizácií. Aj vynechanie len 1 z 10 tabliet malo významný vplyv na počet remisíí*.

Čo keď sa leukémia vráti?

Ak sa leukémia vráti, keď sa zmení z chronickej* na akcelerovanú alebo blastickú* fázu, hovoríme o progresii ochorenia alebo relapse. Liečba závisí od veku pacienta, prvotnej liečby a možnosti transplantácie kostnej drene.* Špecifické odporúčania liečby boli vytvorené pre každú fázu ochorenia.

Po dosiahnutí odpovede po inhibítore tyrozínkinázy druhej generácie* sa odporúča, ako jediná šanca na vyliečenie, transplantácia kostnej drene* u pacientov v akcelerovanej a blastickej fáze a tých, ktorí majú T315Imutáciu*, pokiaľ je prítomný príbuzenský alebo nepríbuzenský darca kostnej drene. U pacientov, ktorí relabujú* po transplantácii kostnej drene, sa neodporúča druhá transplantácia. Namiesto toho sa pre pacientov, ktorí relabujú po transplantácii kostnej drene, preferujú možnosti ako infúzia darcových lymfocytov* s inhibítorom tyrozínkinázy alebo klinická štúdia*.

Mal by som zvážiť klinickú štúdiu?

S použitím súčasnej štandardnej liečby, obsahujúcej inhibítore tyrozínkinázy*, je prognóza* pacientov s CML nepriaznivá. V raritných prípadoch ochorenie progreduje napriek najlepšej dostupnej liečbe. V týchto prípadoch je prognóza nepriaznivá a zvažujú sa alternatívne liečby vrátane klinických štúdií*. Z tohto dôvodu lekári a vedci skúmajú nové liečby. Sľubné liečby sa najskôr musia testovať v klinických štúdiách* na malých skupinách pacientov predtým, ako sú schválené a podávané všetkým pacientom. Klinické štúdie* dávajú možnosť vyskúšať novú liečbu predtým, ako je všeobecne dostupná. Nové lieky, pokiaľ sa nevyskúšajú, predstavujú na druhej strane riziko, keďže mnohé z nežiaducich účinkov nie sú známe. Vzhľadom k týmto pozitívnym aj negatívnym stránkam klinických štúdií*, je veľmi dôležité rozprávať sa so svojim lekárom o klinických štúdiách, vrátane toho, či a kedy môže byť klinická štúdia* pre Vás vhodnou možnosťou.

Kde môžem nájsť patientsku podpornú organizáciu pre CML pacientov?

Pacientske organizácie* Vám môžu pomôcť dostať sa do kontaktu s inými pacientmi s CML, dozvedieť sa viac o chorobe, nájsť pomocné informácie, nájsť skúseného lekára na druhý názor alebo identifikovať klinické centrá, ktoré vedú klinické štúdie*. Na vyhľadanie organizácie vo svojej krajine navštívte CML Advocates Network group na <http://www.cmladvocates.net/members>

VYSVETLENIE NÁROČNÝCH POJMOV

Abdomen

Časť tela medzi hrudníkom a bokmi. Svaly prináležiace tejto lokalite uzatvárajú dutinu obsahujúcu žalúdok, črevá, pečeň, slezinu a pankreas. Hovorí sa jej aj brucho.

Anémia

Stav charakterizovaný malým množstvom červených krviniek alebo hemoglobínu. Železo v hemoglobíne viaže kyslík v pľúcach a prenáša ho do celého tela. Tento proces je znemožnený pri stave anémie.

Anestéza

Obnoviteľný stav straty vedomia, v ktorom pacient necíti žiadnu bolesť, nemá žiadne normálne reflexy a menej odpovedá na stres. Je navodený umelo použitím určitých substancií známych ako anestetiká. Môže byť kompletná alebo parciálna a umožňuje pacientom podstúpiť chirurgické výkony, ako zber buniek kostnej drene.

Asymptomatický

Chýbanie symptómov, ako bolesti alebo subjektívnych prejavov ochorenia.

BCR-ABL

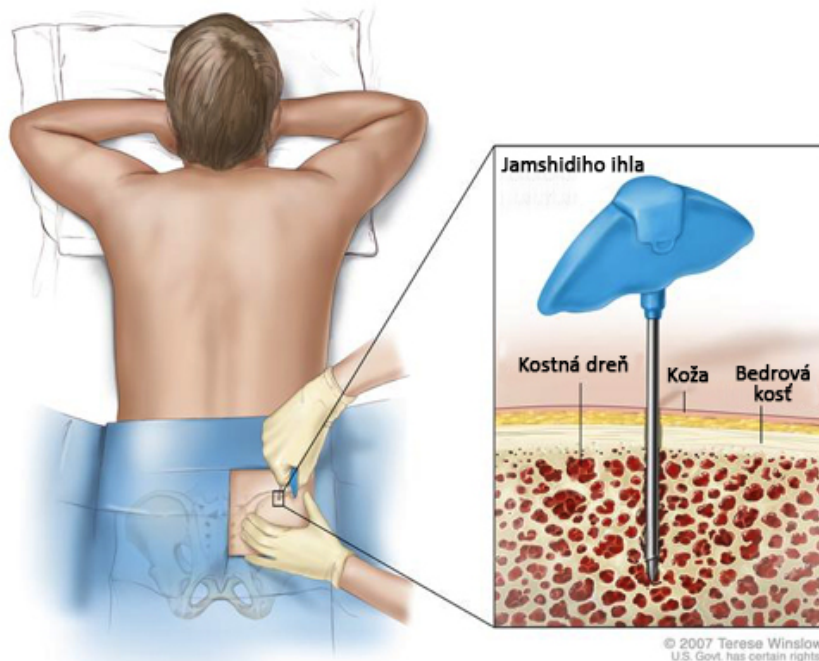
Translokácia génu Abelsonovej myšej leukémie (ABL) medzi chromozómom 9 a oblasťou zoskupenia zlomových bodov (BCR) na chromozóme 22 je výsledkom Philadelphia chromozómu (translokácia chromozómov 9 a 22, t(9;22)) a môže byť detekovaná u 95 % pacientov s CML v periférnej krvi alebo v kostnej dreni. Philadelphia chromozóm kóduje dysregulovanú tyrozínkinázu (enzým v bunkách), čo vedie k tomu, že bunky nezomierajú normálnym spôsobom, vedie to aj k zvýšenému bunkovému obratu a proliferácii* a abnormálnemu bunkovému vyzrievaniu.

Benzén

Chemikália, ktorá sa široko používa v chemickom priemysle, a tiež sa nachádza v tabakovom priemysle, v emisiách z vozidiel a v benzínových výparoch. Vystavenie sa benzénu môže zvýšiť riziko vzniku leukémie.

Biopsia kostnej drene

Výkon, pri ktorom sa odoberá malá vzorka kosti s kostnou dreňou, zvyčajne z bedrovej kosti. Malá časť kože a povrchu kosti sa znecitlivie anestetikom. Potom sa hrubá ihla zavedie do kosti a rotačným pohybom sa vyberie vzorka kosti s kostnou dreňou. Tento výkon môže byť urobený spolu s aspiráciou kostnej drene. Odoberaté bunky a tkanivá vyšetrí patológ. Patológ môže vyšetriť tkanivo pod mikroskopom alebo urobiť ďalšie testy na bunkách alebo tkanive. Tiež určí, či je kostná dreň postihnutá leukémiou alebo tam leukémie nie je.



Aspirácia kostnej drene a biopsia. Potom, čo sa malá oblasť kože znecitlivie, vpichne sa Jamshidiho ihla (dlhá, dutá ihla) do pacientovej bedrovej kosti. Odoberú sa vzorky krvi, kosti a kostnej drene na vyšetrenie pod mikroskopom.

Blast

Leukemické bunky sa často nazývajú blasty, keďže môžu byť väčšie ako normálne biele krvinky cirkulujúce v krvi. Vzhľad blastov môže patológovi napovedať pri určovaní diagnózy, aký typ leukémie má pacient.

Bosutinib

Liek používaný v liečbe chronickej myeloidnej leukémie (CML). Používa sa u pacientov, ktorí nemôžu byť liečení inými liekmi, alebo nedosiahli lepšie výsledky. Tiež sa skúma v liečbe iných typov rakoviny. Bosutinib blokuje činnosť BCR-ABL a iných proteínov, čo môže pomôcť rakovinovým bunkám pri raste a môže zahubiť rakovinové bunky. Je to druh inhibítora tyrozínkinázy.

Bunková proliferácia

Nárast počtu buniek z dôvodu bunkového rastu a delenia.

Centrálny nervový systém (CNS)

Časť nervového systému, ktorý sa skladá z mozgu a predĺženej miechy.

Cielená (targetová) terapia

Druh liečby, ktorý používa lieky alebo iné látky, ako monoklonálne protilátky na identifikovanie a napadnutie špecifických rakovinových buniek. Cielená liečba môže mať menej vedľajších účinkov ako iné typy nádorovej liečby.

CML: príručka pre pacientov

Informácie pre pacientov založené na ESMO odporúčaníach z klinickej praxe - v.2013.1

Strana 17

CT-sken

Druh röntgenového snímku, pri ktorom sú orgány tela skenované X-lúčmi a výsledky sú syntetizované počítačom do obrázkov častí tela.

Cytogenetická odpoveď (CCgR)

Spôsob popísania odpovede na podávanú liečbu. Pri CML je hodnotená podľa poklesu častí buniek, ktoré majú abnormálny Philadelphia chromozóm v kostnej dreni a krvi.

Cytogenetika

Skúma gény a chromozómy. Skúmanie zmien génov a chromozómov môže určiť, či je bunka normálna alebo leukemická. Niektoré typy leukémie majú bežné cytogenetické abnormality (zmeny génov alebo chromozómov), ktoré sú ako odtlačok prstu a môžu napovedať patológovi, ktorý špecifický druh leukémie pacient má.

Cytotoxický

Toxický pre bunky.

Červená krvinka

Najbežnejší druh krvnej bunky. Je to zložka, ktorá robí krv červenou. Ich hlavnou úlohou je prenos kyslíka.

Dasatinib

Dasatinib patrí do skupiny liekov nazývaných „proteín kinázové inhibítory“. Táto skupina liekov spôsobuje blokádu druhu enzýmov, známych ako proteínové kinázy. Dasatinib pôsobí najmä ako blokátor Bcr-Abl proteín kinázy. Tento enzým je vyrábaný leukemickými bunkami a spôsobuje ich nekontrolovateľné množenie. Blokovaním Bcr-Abl kinázy, ako aj ostatných kináz, dasatinib pomáha kontrolovať množenie leukemických buniek.

DNA

Skratka pre deoxyribonukleovú kyselinu. DNA slúži na prenos genetickej informácie.

Efektivita

V medicíne znamená schopnosť postupu, napríklad lieku alebo chirurgie dosiahnuť žiadaný prospešný výsledok.

FISH/Fluorescencia in situ hybridizácia

Technický proces používaný patológom na identifikáciu zmien génov a chromozómov. FISH môže detekovať unikátne zmeny génov a chromozómov a pomôcť patológovi rozpoznať druh leukémie, ktorú má pacient.

Granulocyt

Typ bunky imunitného systému, ktorá má granuly (malé častice) s enzýmami, ktoré sa uvoľňujú počas infekcie, alergickej reakcie a astmy. Neutrofil, eozinofil a bazofil sú granulocyty. Granulocyt je typ bielej krvinky. Tiež sa nazýva granulovaný leukocyt, PMN a polymorfonukleárny leukocyt.

CML: príručka pre pacientov

Informácie pre pacientov založené na ESMO odporúčaníach z klinickej praxe - v.2013.1

Strana 18

Hematologická odpoveď

Spôsob opísania odpovede na podávanú liečbu. Pri CML je hematologická odpoveď kompletná (kompletná hematologická odpoveď alebo KHR), keď je prítomná normalizácia parametrov periférnej krvi, najmä bielych krviniek a krvných doštičiek, spolu s vymiznutím blastických buniek alebo leukemických buniek z pacientovej krvi, normalizácie veľkosti sleziny a chýbanie príznakov a symptómov CML.

Histokompatibilné antigény

Proteíny existujúce na povrchu takmer každej bunky tela. Pomáhajú nášmu imunitnému systému rozoznať naše vlastné bunky od cudzích látok. V početnom množstve existujú na povrchu bielych krviniek. Tiež sa nazývajú ako ľudské leukocytové antigény (HLA).

Hladina hemoglobínu

Kvantitatívna hodnota proteínu, nazývaného hemoglobín obsiahnutý v červených krvinkách, ktorá je vyjadrená hmotnosťou (gramoch), objemom krvi (decilitrami). Hemoglobín rozvádza kyslík do tela.

Hodnota hematokritu

Časť krvi, ktorá je zložená z červených krviniek. Je vyjadrená v percentách.

Hydroxyurea

Protinádorový liek, ktorý patrí do skupiny liekov nazývaných antimetabolity.

Chemoterapia

Druh nádorovej liečby používajúci lieky, ktoré ničia rakovinové bunky a/alebo obmedzujú ich rast. Tieto lieky sa zvyčajne pacientovi podávajú v pomalej infúzii do žily, ale môžu sa podávať aj ústne, priamou infúziou do končatiny alebo infúziou do pečene, podľa miesta, kde sa nachádza nádor.

Chromozóm

Usporiadáný útvar, ktorý kóduje gény. Gény kódujú vlastnosti človeka, ako napríklad farbu vlasov alebo pohlavie. Ľudské bunky majú 23 párov chromozómov (celkovo 46 chromozómov). Rakovinové alebo leukemické bunky často majú **chromozómové abnormality**, ktoré menia ich chromozómy, ako **duplikácia chromozómov**, čo znamená chromozóm navyše (47 chromozómov) alebo delícia chromozómov, čo znamená **stratu chromozómu** (45 chromozómov). **Chromozomálna** alebo **genetická inverzia** neznamená stratu alebo navyše chromozóm, ale namiesto toho je časť chromozómu obrátená.

Chronický

Dlhotrvajúci. Ak sa používa v popise choroby alebo stavu, znamená, že pretrváva alebo sa vyvíja dlhý čas.

Imatinib

Imatinib je inhibítor proteínovej tyrozínkinázy. To znamená, že blokuje niektoré špecifické enzýmy, známe ako tyrozínkinázy. Tieto enzýmy sa môžu nachádzať v niektorých receptoroch na povrchu rakovinových buniek, vrátane receptorov, ktoré sú zapojené do stimulácie nekontrolovateľného delenia buniek. Blokováním týchto receptorov imatinib pomáha kontrolovať bunkové delenie.

CML: príručka pre pacientov

Informácie pre pacientov založené na ESMO odporúčaníach z klinickej praxe - v.2013.1

Strana 19

Imunitný systém

Imunitný systém je biologický systém štruktúr a procesov, ktoré chránia telo od ochorenia rozpoznávaním a zničením nádorových buniek a cudzorodých častí ako vírusov a baktérií.

Infúzia lymfocytov

Typ liečby, pri ktorej sú lymfocyty z krvi darcu podané pacientovi, ktorý dostal kmeňové bunky od toho istého darcu. Darcove lymfocyty môžu zahubiť zostávajúce rakovinové bunky. Infúzia lymfocytov sa používa na liečbu chronickej myeloidnej leukémie (CML), ktorá sa vráti a na liečbu myelómu. Skúma sa pri iných typoch rakoviny.

Inhibitor tyrozínkinázy

Liek, ktorý zasahuje do bunkovej komunikácie a rastu a môže brániť rastu nádoru tým, že potláča (inhibuje) funkciu dôležitého enzýmu označovaného ako tyrozínkináza. Niektoré inhibitory tyrozínkinázy sa používajú v liečbe rakoviny.

Interferón

Proteín vyrábaný lymfocytmi a zapojený do komunikácie medzi imunitnými bunkami. Modifikátor biologickej odpovede (látka, ktorá môže zlepšiť prirodzenú odpoveď tela na infekcie a nádorové bunky). Je niekoľko typov interferónov, vrátane interferónu-alfa, -beta, a – gama. Telo normálne tieto látky vyrába. Tiež sa vyrábajú v laboratóriu na liečbu rakoviny a iných ochorení.

Klinická odpoveď

Spôsob opísania odpovede na podávanú liečbu. Hodnotí sa zmenami v znakoch a symptómoch spôsobených ochorením.

Klinická štúdia

Výskumná štúdia vedená u pacientov, ktorá skúma, či je nová liečba bezpečná (bezpečnosť) a či je účinná (účinnosť). Klinické štúdie skúmajú účinnosť liekov, ale tiež neliekových foriem liečby ako rádioterapie alebo chirurgie alebo kombinácie rôznych liečob.

Klinické vyšetrenie

Vyšetrenie tela s cieľom hľadať príznaky ochorenia.

Krvné doštičky - trombocyty

Malé bunkové časti, ktoré zohrávajú základnú úlohu pri formovaní krvnej zrazeniny. Pacienti s nízkym počtom trombocytov majú riziko závažného krvácania. Pacienti s vysokým počtom majú riziko trombózy, vytvárania krvných zrazenín, ktoré môžu upchať cievy a viesť k infarktu alebo iným závažným stavom a tiež majú zvýšené riziko krvácania, pretože trombocyty sú nefunkčné.

Krvotvorné (kmeňové bunky)

Krvotvorné bunky majú značný potenciál vyvinúť sa vo včasnom štádiu a raste do mnohých rôznych buniek v tele. Navyše, v mnohých tkanivách slúžia ako druh vnútorného opravného systému, delia sa v podstate bez obmedzenia s cieľom dopĺňať ostatné bunky tak dlho, kým človek alebo zvierka žije. Keď sa kmeňová bunka rozdelí, každá nová bunka má potenciál zostať kmeňovou bunkou alebo bunkou so špecializovanejšou funkciou, ako napríklad svalová bunka, červená krvinka alebo mozgová bunka. Kmeňové bunky sa odlišujú od iných buniek dvoma vlastnosťami. Prvou je, že sú to nešpecializované bunky schopné sebaobnovy prostredníctvom bunkového delenia, niekedy aj po čase dlhého pokoja. Druhou vlastnosťou je, že za istých fyziologických alebo experimentálnych podmienok môžu byť indukované, aby sa stali tkanivovo alebo orgánovo-špecifickými bunkami so špeciálnymi funkciami. V niektorých orgánoch, ako v čreve a kostnej dreni sa kmeňové bunky pravidelne delia, aby opravili a nahradili poškodené alebo zničené tkanivá.

Kuratívna liečba

Liečba podávaná pacientovi s cieľom potlačiť alebo vyliečiť ochorenie alebo zranenie, čo je protikladom paliatívnej liečby, ktorej cieľom je uľaviť symptómom ochorenia.

Leukocyt/biela krvinka

Iný termín pre bielu krvinku. Biele krvinky sú bunky, ktoré sa zapájajú pri obrane tela proti infekciám.

Liekový metabolizmus

Proces, pri ktorom je liek rozložený enzýmami v tele tak, že môže byť telom využitý a potom vylúčený.

Lymfatická uzlina

Guľatá masa lymfatického tkaniva, ktoré je obklopené kapsulou zo spojivového tkaniva. Lymfatické uzliny filtrujú lymfu a obsahujú lymfocyty.

Lymfocyt

Lymfocyt je druh bielej krvinky, ktorá je významná v imunitnom systéme. Tri základné druhy lymfocytov sú T-bunky, B- bunky a bunky-prirodzené zabíjači (NK), pričom všetky majú vlastné úlohy v imunitnom systéme.

Medián

Medián je hodnota, ktorá oddeľuje vyššiu a nižšiu polovicu dát a možno ju považovať za strednú hodnotu. Napríklad, ak máme v súbore hodnoty (1, 3, 3, 6, 7, 8, 100), tak medián je 6, teda štvrtá najvyššia a taktiež štvrtá najnižšia hodnota v súbore. Výhodou mediánu na rozdiel od priemeru je, že nie je ovplyvnený veľmi vysokými a veľmi nízkymi hodnotami, a tak nám umožňuje mať lepšiu predstavu o "typickej" hodnote v súbore.

Metafáza

Fáza bunkového delenia, pri ktorej sa duplikované chromozómy usporiadajú pozdĺž jadra bunky. Následne sa bunka rozdelí do dvoch buniek s rovnakým počtom chromozómov.

Metamyelocyt

Typ nezrelej bielej krvinky, ktorá sa vyvinie z myeloblastu a ktorá sa ďalej vyvíja smerom k bielej krvinke.

Metastázy

Rozšírenie rakoviny z jedného miesta tela na iné. Nádor, ktorý je sformovaný z buniek, ktoré sa rozšírili, sa nazýva metastatický nádor alebo metastáza. Metastatický nádor obsahuje bunky, ktoré sú také isté ako v pôvodnom nádore.

Molekulová odpoveď

Spôsob popísania odpovede na podávanú liečbu. Pri CML, sa určuje negatívnou testu PCR (polymerázová reťazová reakcia). Tento test sa robí na potvrdenie neprítomnosti leukemických buniek alebo blastov v krvi, keď ich už je tak málo, že sa nedajú detekovať inými testami. PCR detekuje látky produkované leukemickými bunkami.

Multidisciplinárny

Pokrývajúci niekoľko oblastí praxe a odbornosti. V medicíne je definovaný ako kombinácia znalostí a odborností rôznych medicínskych aj nemedicínskych profesionálov v zdravotníctve z rôznych disciplín.

Mutácia

Zmena poradia v pároch báz v DNA, ktoré tvoria gén. Mutácie v géne nemusia nevyhnutne natrvalo zmeniť gén.

Myeloblast

Typ nezrelej bunky, ktorá sa vyvíja v kostnej dreni a vyvinie sa do špecifickej kategórie bielej krvinky.

Nilotinib

Nilotinib patrí do skupiny liekov nazývaných inhibítory tyrozínkinázy. Táto skupina liekov spôsobuje blokádu druhu enzýmov, známych ako proteínové kinázy. Nilotinib pôsobí ako blokátor proteínovej kinázy nazývanej „Bcr-Abl“ kináza. Tento enzým je vyrábaný leukemickými bunkami a spôsobuje ich nekontrolovateľné množenie. Blokovaním Bcr-Abl kinázy, ako aj ostatných kináz, nilotinib pomáha kontrolovať množenie leukemických buniek.

Omacetaxín

Testovaný protinádorový liek, ktorý potláča tvorbu proteínov, čo znamená, že môže spomaliť alebo zastaviť rast bunky.

Pacientska poradňa/pacientska organizácia

Organizácia, ktorá pomáha pacientovi spolupracovať s ostatnými, ktorí majú vplyv na zdravie pacienta, vrátane lekárov, poisťných spoločností, zamestnávateľov a právnikov. Pacientska poradňa pomáha vyriešiť problémy so zdravotnou starostlivosťou, zdravotnými poplatkami, a diskrimináciou v práci, ktoré vznikli kvôli pacientovmu zdravotnému stavu. Pacientske organizácie sa snažia zvyšovať informovanosť o významných problémoch pri rakovine, ako je potreba podporných onkologických služieb, edukácia a výskum. Takéto organizácie pracujú s cieľom priniesť zmeny, ktoré pomôžu onkologickým pacientom a ich rodinám.

CML: príručka pre pacientov

Informácie pre pacientov založené na ESMO odporúčaníach z klinickej praxe - v.2013.1

Strana 22

Patológ

Lekár – odborník v diagnostikovaní ochorení podľa vzhľadu buniek a tkanív v mikroskope.

PCR/polymerázová reťazová reakcia

Technika na určenie postupnosti kódu v géne. Patológovia používajú PCR na určenie jedinečných mutácií (zmeny postupnosti kódu), ktoré sú akoby odtlačkom pre určité typy leukémie.

Pesticíd

Látka používaná na ničenie hmyzu a iných škodcov.

Petechie

Malé červené alebo fialové bodky spôsobené poruchou kapilárnych ciev.

Philadelphia chromozóm

Abnormalita chromozómu 22, na ktorom je premiestnená časť chromozómu 9. Bunky kostnej drene, ktoré obsahujú Philadelphia chromozóm sú často nájdené pri chronickej myeloidnej leukémii.

Ponatinib

Liek používaný na liečbu pacientov s CML a akútnej lymfoblastickej leukémie (ALL) s pozitívnym Philadelphia chromozómom (Ph+). Niektoré druhy CML, tie, ktoré majú T315I mutáciu, sú rezistentné na liečbu inými inhibítormi tyrozínkinázy, napríklad na imatinib. Ponatinib sa používa na liečbu CML s touto špecifickou mutáciou.

Prognóza

Pravdepodobný výsledok priebehu ochorenia; šanca na zotavenie alebo návrat ochorenia.

Proteíny

Základné výživové prvky, zložené z aminokyselín. Sú nevyhnutné na funkciu mnohých organizmov, vrátane ľudského tela. Sú zodpovedné za transport a komunikáciu medzi bunkami, za chemické zmeny a udržiavanie štruktúry napr. buniek.

Radiácia - žiarenie

Môže sa definovať ako energia prechádzajúca priestorom. Príklady žiarenia sú UV, X-lúče, ktoré sa bežne v medicíne používajú.

Rádioterapia

Terapia, ktorá používa radiáciu v liečbe rakoviny, vždy je cieleňá na špecifickú oblasť rakoviny.

Rekurencia - návrat ochorenia

Rakovina alebo ochorenie (zvyčajne autoimunitné), ktoré sa vráti späť, zvyčajne po období, v ktorom rakovina alebo choroba nebola prítomná alebo nebola detekovateľná. Návrat môže byť v tom istom mieste ako pôvodný (primárny) nádor alebo v inej oblasti tela. Tiež sa nazýva rekurentné ochorenie alebo rakovina.

Relaps

Návrat prejavov ochorenia po prechodnom zlepšení. Pri rakovine, návrat rakoviny po remisii.

CML: príručka pre pacientov

Informácie pre pacientov založené na ESMO odporúčaníach z klinickej praxe - v.2013.1

Strana 23

Remisia

Zmenšenie alebo vymiznutie znakov a symptómov rakoviny. V čiastočnej remisii, niektoré, ale nie všetky znaky a symptómy rakoviny zmizli alebo sa zmenšili. V kompletnej remisii všetky znaky a symptómy rakoviny zmizli, aj keď môže byť rakovina stále v tele.

Rezistentný (na liečbu)

V medicíne popisuje chorobu alebo stav nereagujúci na liečbu.

Rizikový faktor

Niečo, čo zvyšuje šancu rozvoja ochorenia. Niektoré príklady rizikových faktorov rakoviny sú vek, rodinný výskyt niektorých typov rakoviny, užívanie tabakových výrobkov, vystavenie sa žiareniu alebo určitým chemikáliám, infekcia určitými vírusmi alebo baktériami a určité genetické zmeny.

Sledovanie

Sledovanie zdravotného stavu pacienta určitý čas po liečbe. Toto zahŕňa sledovanie pacientov, ktorí sa zúčastnili klinickej štúdie alebo klinického výskumu istý čas počas štúdie a po jej ukončení.

Solídne nádory

Ako solídne nádory sú označované všetky nádory, ktoré sú tvorené tuhou masou. Vo všeobecnosti sa tak označujú všetky nádory okrem leukémií, ktoré sú tiež označované ako „tekuté nádory“.

Štep

Zdravá koža, kosť alebo iné tkanivo odobraté z jednej časti tela a použité ako náhrada za choré alebo poškodené tkanivo odobraté z inej časti tela.

T-bunka

Druh bielej krvinky (lymfocyt), ktorá vie určiť, či niečo patrí alebo nepatrí telu. Likvidujú infikované bunky. Hrajú dôležitú úlohu v imunitnom systéme.

Transplantácia kostnej drene

Ide o výkon, pri ktorom sa nahrádza kostná dreň, ktorá bola zničená vysokými dávkami protinádorovej liečby alebo žiarenia. Transplantácia môže byť autológna (vlastná dreň pacienta odobratá pred liečbou), alogénna (dreň darovaná iným človekom), alebo syngénna (dreň darovaná jednovaječným dvojčaťom).

Trombocytopénia

Prítomnosť abnormálne znížených krvných doštičiek v krvi.

Pacientske príručky spoločnosti ESMO/Anticancer Fund sú vytvorené s cieľom pomôcť pacientom, ich príbuzným a opatrovateľom pochopiť povahu rôznych typov nádorov a zhodnotiť najlepšie existujúce liečebné možnosti. Odborné informácie použité v patientskych príručkách sú založené na odborných odporúčaníach z klinickej praxe spoločnosti ESMO, ktoré slúžia onkológom ako pomôcka pre diagnostické a liečebné postupy a sledovanie po liečbe u rôznych typov nádorových ochorení. Predkladané pacientske príručky vytvorila spoločnosť Anticancer Fund v spolupráci so spoločnosťou ESMO Guidelines Working Group a ESMO Cancer Patient Working Group.

Viac informácií nájdete na webovej stránke www.esmo.org a www.anticancerfund.org

