

A MOHA jóváhagyásával



Honlap: www.onkohemat.hu
E-mail: moha@onkohemat.hu
Telefon: +36 20 439 8645



12650 Riverside Drive, Suite 206
North Hollywood, CA 91607 USA

Telefon:

+1 800-452-2873

(az USA-ból és Kanadából)

+1 818-487-7455

(a világ minden országából)

Fax: **+1 818-487-7454**

TheIMF@myeloma.org

myeloma.org

Betegek kézikönyve

2017. évi kiadás | Szerző: Dr. Brian G.M. Durie



© 2018, International Myeloma Foundation. Minden jog fenntartva.

Az **International Myeloma Foundation** kiadványa

Az International Myeloma Foundation (IMF, Nemzetközi Mielóma Alapítvány) bemutatása

Az 1990-ben létrehozott International Myeloma Foundation a mielómás betegekért alapított legrégebbi és legnagyobb jótékonyági szervezet. A világ 140 országában több, mint 350 000 tagot számláló szervezet a mielómás betegeket, családtagjaikat és az egészségügyi szakembereket segíti. Az Alapítvány számos programot kínál a kutatás, az oktatás, a támogatás és az érdekképviselés terén:

KUTATÁS Az alapítvány vezető szerepet tölt be a globális mielómakutatásban. Az alapítvány a laboratóriumi kutatás támogatása keretében 1995 óta több, mint száz, élvonalban lévő fiatal és vezető kutató munkáját segítette ösztöndíjakkal. Emellett az alapítvány egyedülállóan és kiemelkedő sikerrel segíti a világ legjobb szakembereinek együttműködését az International Myeloma Working Group (IMWG, Nemzetközi Mielóma Munkacsoport) keretében, amely neves orvosi szaklapokban jelentet meg cikkeket, kutatja a gyógyítási lehetőségeket, szakmailag támogatja az innovatív kutatók új nemzedékét és az ellátás színvonalának emelésével igyekszik jobbítani a betegek életét.

OKTATÁS Az alapítvány oktatási tevékenységei, a betegeknek és családtagjaiknak szóló szemináriumok, az orvosi centrumokban szervezett szakmai műhelyek és a regionális közösségi találkozók világszerte népszerűek. Ezek a találkozók a mielómás betegek és családjaik első kézből kapnak naprakész információt a mielóma kezelésére szakosodott legjobb szakorvosoktól és kutatóktól. A betegeknek, gondozóiknak és az egészségügyi szakembereknek szánt könyvállományunk száznál is több kiadványt számlál. Az évente frissülő tartalom ingyenesen hozzáférhető. A kiadványok több, mint húsz nyelven olvashatók.

TÁMOGATÁS Az amerikai +1 800-452-2873 telefonszámon hívható ingyenes infovonalon működő szolgálatunkon választ kaphatnak a felmerülő kérdésekre, munkatársaink évente több ezer családnak nyújtanak segítséget telefonon vagy e-mailen. Az IMF több mint 150 csoporttal működő betegtámogató hálózatot működtet Amerikában, és képzést biztosít azon elhivatott betegek, gondozók és ápolók számára, akik önkéntesen vállalják a közösségükben működő betegtámogató csoportok vezetését.

ÉRDEKKÉPVISELET Az IMF érdekképviselési programja képzést és támogatást nyújt az érintett személyeknek, hogy megfelelően tudjanak közbenjárni a mielómás betegeket érintő problémák megoldásában. Az IMF az Egyesült Államokban állami és szövetségi szinten is dolgozik az egyenlő bánásmódot a betegbiztosítás területén. Az IMF tréningjein képzett jogi képviselők minden évben komoly sikereket érnek el a mielómás betegeket érintő fontos ügyekben.

A gyógymód megtalálása **A jobb életért**

JOGI NYILATKOZAT A MOHA hiteles információk közlésére törekszik, de azok időzerűségével, érvényességével, teljességével kapcsolatban, illetve a tájékoztatásból fakadó esetleges károkért felelősséget nem vállal. Felhívjuk a figyelmét, hogy anyagaink kizárólag tájékoztató és ismeretterjesztő jellegűek, így nem adhatnak választ minden olyan kérdésre, amely egy adott betegséggel, kezeléssel vagy más témával kapcsolatban felmerülhet és nem pótolhatják az orvosokkal, gyógyszerészekkel vagy más egészségügyi szakemberekkel való személyes találkozást, beszélgetést és gondos kivizsgálást. Jelen betegtájékoztató füzet az International Myeloma Foundation kiadványának magyar nyelvű fordítása, ezért kérjük, hogy a magyar sajátosságokról kérdezze kezelőorvosát.

Tartalomjegyzék

Az IMF mindig Ön mellett áll és segít	4
A mielóma egy jól kezelhető betegség	4
Miért tanácsos felkeresnie egy szakembert?	4
Az egészségügyi szakemberekből álló kezelő team	5
Mi a mielóma és hol alakul ki?	5
A mielómára vonatkozó néhány statisztikai adat	6
Mi okozza, illetve mi váltja ki a mielómát?	7
Örökölhető a mielóma?	7
MGUS, SMM és aktív mielóma	7
Plazmasejtek és mielómasejtek	9
Melyek a mielóma diagnózisának kritériumai?	9
Esetleges sürgősen megoldandó problémák a diagnózis felállításának időpontjában	11
A mielóma hatásai a csontvelőre	11
A mielóma hatásai a csontvelőn kívül	12
A mielóma típusai	12
A mielóma különböző típusainak viselkedése	15
A mielóma stádiumbeosztása	15
A betegség kockázatának genetikai vizsgálata	17
Az újonnan diagnosztizált mielóma kezelési lehetőségei	19
Össejtátültetés	21
Klinikai vizsgálatok	24
Szupportív kezelés	25
Záró gondolatok	30
Kifejezések és meghatározások	31

Az IMF mindig Ön mellett áll és segít

Az International Myeloma Foundation (IMF, Nemzetközi Mielóma Alapítvány) elkötelezett a mielómás betegeknek és családjuknak nyújtott tájékoztatás és támogatás biztosításában. Ebben segítséget nyújt a weboldalunk, a myeloma.org, az Infovonal, a betegeknek és családoknak szervezett szemináriumok, a regionális közösségi műhelyek, telekonferenciák, valamint egyéb programok és szolgáltatások. Az IMF tájékoztató kiadványait kérésre ingyenesen rendelkezésre bocsátjuk, és azok elérhetők a publications.myeloma.org címen is.

Az IMF *Betegek kézikönyve* című kiadvány azért készült, hogy Ön jobban megérthesse a mielóma multiplex nevű betegséget (amit egyszerűen csak „mielómának” hívunk). A mielómát azért hívják „multiplexnek”, mert gyakran érinti a szervezet több területét. A *Betegek kézikönyve* bemutatja Önnek, hogy mi a teendő, amikor a mielómát először diagnosztizálják, és megtanítja olyan orvosi kifejezések és fogalmak jelentését, amelyekkel valószínűleg azelőtt nem találkozott, és segítségünkkel hatékonyabban tud majd kommunikálni az egészségügyi dolgozókkal.

A kiadványban **félkövérrel** szedett szavak magyarázata megtalálható a „Kifejezések és meghatározások” című részben. A mielómát kapcsolatos szöveget teljesebb változata megtalálható az IMF weboldalán a glossary.myeloma.org címen a *Glossary of Myeloma Terms and Definitions* (A mielómával kapcsolatos kifejezések és meghatározások) című dokumentumban.

A mielóma egy jól kezelhető betegség

Az elmúlt 15 évben kilenc kiemelkedően hatásos „új szert” engedélyeztek a mielóma kezelésére. A folyamatban lévő **klinikai vizsgálatok** segítségével további ígéretes kezelések kerülhetnek rá a mielómaellenes szerek egyre növekvő listájára. Sok beteg a diagnózis után akár évtizedekig teljes és produktív életet él. A mielómás betegek túlélése és életminősége folyamatosan nő. A mielómára vonatkozó ismeretek bővítése, és a betegség kezelésének megértése segíthet a szorongás csökkentésében, a betegség uralhatóságának érzésében és megkönnyíti a diagnózis elfogadását.

Miért tanácsos felkeresnie egy szakembert?

A mielóma nagyon egyéni betegség. Általában lassan halad előre, de néha nagyon agresszív is lehet. Egy képzett mielóma-specialista (egy mielómára és egyéb plazmasejt betegségekre szakosodott hematológussal) meg tudja határozni a betegek egyedi helyzetének megfelelő legjobb megközelítést. Ha nincs elérhető közelségben mielóma-specialista, akkor mindenképpen érdemes elutaznia egy megbeszélte konzultációra egy specialistával. Ha ez

nem lehetséges, akkor a helyi orvos megbeszélhet egy telefonos konzultációt egy mielóma-specialistával, hogy megbeszéljék az Ön esetét, és a kezelése során együttműködjenek. Lehetséges, hogy a helyi onkológus évente csak néhány mielómás beteget lát vagy nem lát egyáltalán. A sok beteget ellátó mielóma-központokban és nagy tudományos intézményekben dolgozó mielóma-specialisták évente betegek százait kezelik, új gyógyszerekkel végzett klinikai vizsgálatokat vezetnek és ennek köszönhetően kellő tapasztalattal és szakértelemmel rendelkeznek a megfelelő terápiás döntések meghozatalához, számítanak a kezeléssel kapcsolatos problémákra és képesek azokat megelőzni. Egy 2016-ban publikált nagy vizsgálatban kimutatták, hogy a **teljes túlélés** (overall survival, OS) aránya nagyobb a nagy volumenű kezelési központokban, mint a kisebb egészségügyi intézményekben kezelt betegek körében.

Az egészségügyi szakemberekből álló kezelő team

Míg az onkohematológus megtervezi és elvégzi a kezeléseket, a beteg körüli „kezelő teambe” többek között az alábbi szakemberek is beletartoznak:

- háziorvos vagy családorvos
- ápoló
- ortopéd sebész (csontspecialista)
- gyógyszerész
- nefrológus (vesebetegségekkel foglalkozó szakorvos)
- fogorvos és/vagy szájszész.

Az optimális kezelés alapfeltétele a hatékony kommunikáció az egészségügyi ellátó csoport minden egyes tagja és a beteg vagy kijelölt gondozója között.

Mi a mielóma és hol alakul ki?

A mielóma az antitestek (**immunglobulinok**) termeléséért felelős csontvelői **plazmasejtek** (bizonyos típusú **fehérvérsejtek**) rákos megbetegedése. Az orvosi kifejezések legtöbbször a görög nyelvből származik, görögül a „myelo” csontvelő vértképző sejtjeit jelenti, az „oma” utótag pedig rákos sejtek alkotta daganatot jelöl. A **malignus** (rosszindulatú, rákos) plazmasejtet mielómasejtnak nevezik.

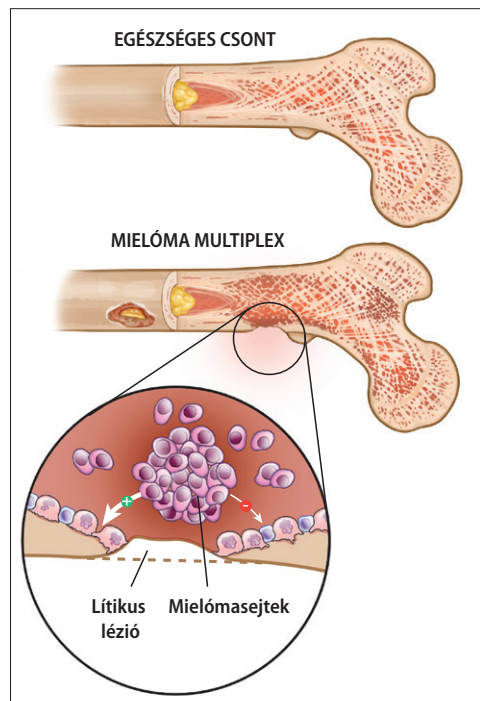
A mielóma leggyakrabban a gerinc, a koponya, a medence, a bordák, a váll és a csípőcsontok csontvelőjében alakul ki. A kéz és a láb, valamint a kar és a láb alsó részének csontjai általában nem érintettek, így e kritikus területek funkciója megmarad.

A mielóma **daganatként** és/vagy csonthiányként is megjelenhet. Az elváltozásokat mindkét esetben **lézió**nak hívják. A mielóma által okozott csonthiányokat **lítikus lézió**knak hívják. Az egyetlen eset, amikor a mielóma nem „multiplex”, azaz többszörös, az a **szoliter csont plazmocitóma (SPB)** ritka esete, amikor egyetlen (szoliter) mielómás tumor alakul ki a csontvelőn belül vagy azon kívül.

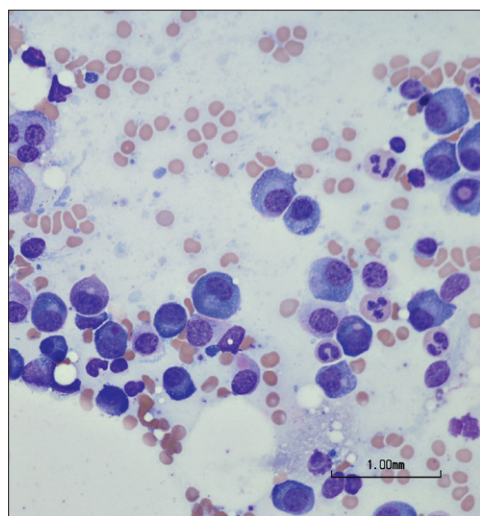
A mielómára vonatkozó néhány statisztikai adat

Jelenleg világszerte körülbelül 750.000 mielómás beteg él, közülük több mint 100.000-en az USA-ban. A Nemzeti Rákkutató Intézet (National Cancer Institute, NCI) epidemiológiai és végeredményfelügyeleti (Surveillance, Epidemiology, and End Results, SEER) programjának becslései alapján a mielóma az Amerikában diagnosztizált összes rákos megbetegedés körülbelül 2%-át teszi ki, ami 2016-ban 30.330 újonnan diagnosztizált beteget jelent. A diagnózis időpontjában az átlagéletkor 69 év, a betegek 76%-a 55–84 év közötti életkorú. Csak a betegek 5–10%-a fiatalabb 40 évnél. Gyerekeknél is beszámoltak mielómáról, azonban ez extrém ritka. A mielóma férfiak körében, gyakoribb mint nőknél (férfi:nő

1. ábra Az egészséges csont és a mielómás csont összehasonlítása



2. ábra Csontvelőaspirátumból származó mielómasejt



arány 1,44:1), valamint afro-amerikai származásúak körében is gyakrabban fordul elő. Úgy tűnik, hogy a mielóma előfordulási gyakorisága a világ több táján – például Ázsiában is – emelkedik.

Mi okozza, illetve mi váltja ki a mielómát?

Toxikus vegyi anyagokkal, atomsugárzással való érintkezés, az **immunrendszert** gyengítő bármilyen hatás vagy egy rákot okozó **vírusfertőzés** mind okozhatja vagy kiválthatja a mielóma megjelenését. Az azonosított toxikus vegyi anyagok többek között az alábbiak:

- Benzén
- Dioxinok (pl. az Agent Orange-ban található vegyületek)
- Mezőgazdasági vegyi anyagok (pl. defoliánsok és peszticidek)
- Oldószerek
- Üzemanyagok
- Motor kipufogógázok
- Tisztítószer

Több vírust, köztük a HIV-et (az AIDS vírusát), a hepatitiszt és több herpes vírust is azonosítottak. Az 1955 és 1963 között használt Sabin polio **vakcina** készítményekben lévő Simian virus 40 (SV40) szintén a mielóma egy lehetséges kiváltó oka lehet.

Örökölheto a mielóma?

A mielómák 5–7%-a esetében a beteg családtagjánál vagy közeli rokonánál előfordult mielóma vagy **bizonytalan jelentőségű monoklonális gammopátia** (monoclonal gammopathy of undetermined significance, MGUS). Amennyiben családjában már előfordult a mielóma vagy a MGUS, akkor erről mindenképpen tájékoztassa háziorvosát, hogy ez rákerüljön a kártyájára. Szükség esetén lehetséges, hogy orvosa korai szűrővizsgálatokat kíván végezni Önnél. Amennyiben Ön a beteg, akkor a családtagjainak tájékoztatnia kell orvosukat az Ön diagnózisáról, hogy az bekerüljön a családi anamnézisükbe.

MGUS, SMM és aktív mielóma

A mielóma legkorábbi stádiuma nem rák, hanem a jóindulatú MGUS-nak nevezett állapot, amelyben a **monoklonális fehérjék (M-protein)** alacsony szintje mutatható ki, az aktív mielóma bármilyen jele nélkül. Az MGUS diagnózisa esetén a betegeket szorosan monitorozzák, hogy meggyőződjenek a diagnózis helyességéről, valamint arról, hogy állapotukban nincs változás. Az idő előrehaladtával, ha a monoklonális fehérje szintje stabil marad, és nincs semmilyen egyéb egészségügyi elváltozás, akkor a hematológiai ellenőrzéseket

1. táblázat Az MGUS és a mielóma meghatározása

NÉV	MEGHATÁROZÁS
Bizonytalan jelentőségű monoklonális gammopátia (Monoclonal Gammopathy of Undetermined Significance, MGUS)	- A monoklonális protein jelen van, azonban szintje általában < 3,0 g/dl - Nincsenek CRAB jellemzők vagy az aktív mielómára utaló egyéb jelek - A csontvelőben lévő monoklonális plazmasejtek aránya < 10%
Smoldering mielóma multiplex (SMM)	- Az MGUS-nál magasabb szintű betegség: szérum M-komponens > 3,0 g/dl lehet és/vagy a csontvelői plazmasejtek aránya 10–60% között van, azonban - Nincsenek CRAB jellemzők vagy az aktív mielómára utaló egyéb jelek
Mielóma a mielóma-meghatározó események alapján	> 60%-os csontvelői plazmasejt arány - Szabad könnyűláncok aránya > 100 > 1 fokális MR lézió
Mielóma a CRAB jellemzők alapján	- Monoklonális fehérje van jelen és - Egy vagy több CRAB jellemző fennáll és/vagy szervkárosodás jelei láthatók*

*A CRAB jellemzők körébe tartozó szervkárosodás vagy a mielóma progressziójához köthető bármilyen egyéb jelentős klinikai probléma például rekurrens fertőzések vagy a kezeléstől független neuropátia

C – kalciumszint emelkedése (> 10 mg/dl)

R – renális problémák (veseműködési zavar) (kreatinin > 2 mg/dl vagy kreatinin clearance < 40 ml/perc)

A – anémia (hemoglobin < 10 g/dl vagy > 2 g/dl csökkenés a beteg normál értékéhez képest)

B – bone disease (csontbetegség) (egy vagy több oszteolitikus lézió a csont röntgenfelvételen, WBLC CT vagy PET/CT)

Egy vagy több CRAB jellemző vagy a tünetekkel járó mielóma diagnózisához szükséges bármilyen jelentős probléma.

ritkítani lehet. Minden mielómás betegnél először MGUS alakul ki és az progrediál aktív mielómába, azonban fordítva ez nem igaz; A MGUS-szal diagnosztizált betegeknek csak 20%-ánál alakul ki végül a mielóma. A MGUS mielómába történő átalakulásának kockázata évente 1%.

A MGUS és az aktív mielóma közötti állapotot **smoldering** (tünetmentes vagy lassan progrediáló) **mielóma multiplexnek (SMM-nek)** hívják, amelyben magasabb a monoklonális fehérjék szintje, mint az MGUS esetén, de továbbra sincs aktív mielómára utaló jel. A standard kockázatú, SMM-ben szenvedő betegek aktív mielómába történő progressziójának kockázata az első öt év során évente 10%, a következő öt év során évente 3% és a következő 10 év során évente 1–2%. Az MGUS-ra és az SMM-re vonatkozó további információkért kérjük, olvassa el az IMF Az MGUS és a smoldering mielóma multiplex ismertetése című kiadványt.

Plazmasejtek és mielómasejtek

Az egészséges plazmasejtek az immunrendszer fontos részei. **Antitestek**nek nevezett komplex fehérjéket, azaz immunglobulinokat termelnek. A mielómasejtek nem normális, működő antitesteket, hanem káros immunglobulinokat termelnek, amelyeket monoklonális fehérjéknek neveznek. A normál immunglobulintermelés helyett monoklonális fehérjék termelése miatt a szervezet kevésbé lesz képes harcolni a fertőzések ellen. A mielómasejtek jelenléte a csontvelőben számos más egészségügyi problémához vezet a csontvelő mikrokörnyezetén belül és kívül.

Melyek a mielóma diagnózisának kritériumai?

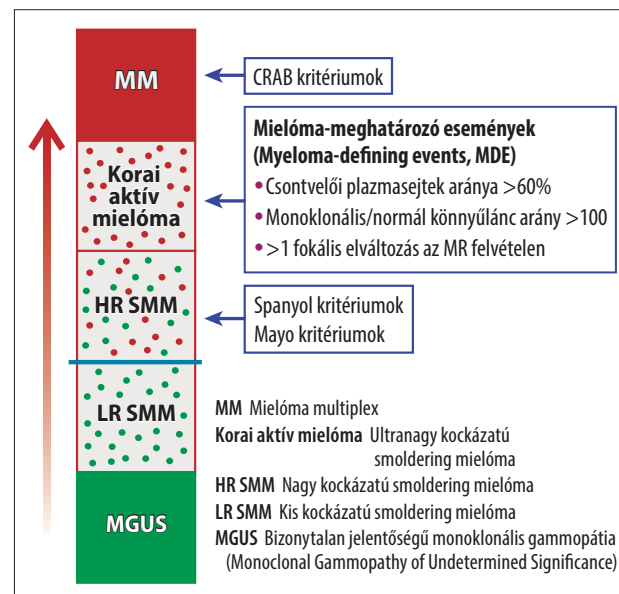
A mielóma által okozott leggyakoribb egészségügyi problémákat CRAB jellemzőknek hívják:

- A vér emelkedett **Calcium**szintje.
- Vesekárosodás (angolul **Renal damage**).
- Alacsony vörösvérsejtszámok (különösen alacsony vörösvértestszám vagy **Anémia**).
- Csontkárosodás (angolul **Bone damage**).

Sok évig a CRAB jellemzők jelenléte volt az aktív mielóma diagnózisának egyetlen alapja. Ezek nélkül a jelek nélkül, amelyek arra utalnak, hogy a mielóma már szervi károsodást okozott, a betegeket csak rendszeres időközönként monitorozták, de nem kezelték. Az utóbbi néhány évben azonban a hatékonyabb kezeléseknek és a korai betegség kimutatására szolgáló jobb módszereknek köszönhetően paradigmaváltás történt a kezelésben.

Az IMF kutatócsoportjának, a Nemzetközi Mielóma

3. ábra A mielóma és a korai mielóma új meghatározásai



Munkacsoportnak (International Myeloma Working Group, IMWG) a tagjai **tünetmentes** SMM-ben szenvedő betegeket vizsgáltak, hogy megtalálják azokat a biológiai markereket, amelyek alapján előre jelezhető a 18 hónapon – két éven belül esetlegesen bekövetkező szervi károsodások valószínűsége. E kutatás végső eredményeinek publikálását követően az IMWG a mielóma diagnózisára vonatkozó új irányelveket fogalmazott meg, amelyek három új,

2. táblázat A mielómával kapcsolatos egészségügyi problémák

A CSONTVELŐBEN ELSZAPORODOTT MIELÓMASEJTEK HATÁSA CRAB kritériumok	OK	A BETEGRE GYAKOROLT HATÁS
C – A vér kalcium szintjének emelkedése	A kalcium felszabadulása a károsodott csontból a vérkeringésbe.	• Mentális zavartság • Kiszáradás • Székrekedés • Fáradékonyosság • Gyengeség • Veseelégtelenség
R – Renális problémák – veseelégtelenség	A mielómasejtek által termelt káros monoklonális fehérjék károsítják a vérkeringést, bejutnak a vizeletbe és veseelégtelenséget okoznak. A vér magas kalciumszintje, a fertőzések és egyéb tényezők szintén előidézhethetnek veseelégtelenséget vagy fokozhatják annak súlyosságát.	• Vízhiányos állapot • Fáradékonyosság • Mentális zavartság
A – Anémia	A csontvelőben lévő vörösvérsejt-termelő sejtek aktivitásának és számának csökkenése.	• Fáradékonyosság • Gyengeség
B – Bone Damage , csontkárosodás • Csontritkulás (osteoporosis) vagy • Súlyosabban károsodott területek (ún. lítikus léziók) létrejötte, csigolyatörés vagy ún. kompressziós törés.	A mielómasejtek aktiválják a csontlebonthatósejteket, és gátolják a csont újráépítéséért felelős oszteoblasztsejteket.	• Csontfájdalom • Csontduzzanat • Csonttörés vagy összeroppanás • Ideg- vagy gerincvelőkárosodás
További szervkárosodások	A mielóma helyi vagy szisztémás következménye, a CRAB kritériumokon kívül	• Neuropátia • Visszatérő fertőzések • Vércsőzavar • Más egyéni problémák
Káros immunfunkció	A mielómasejtek csökkentik a normál, fertőzés leküzdésében szerepet játszó antitesteket termelő plazmasejtek számát és aktivitását.	• Fertőzésekre való fogékonyság • Lassú felépülés a fertőzésekből

a CRAB jellemzők kialakulását megelőző, ún. „mielóma-meghatározó eseményt” foglalnak magukba. Ezek bármelyike önmagában jelzi, hogy kezelésre van szükség, a CRAB jellemzők közül álló megjelenése előtt. A mielóma-meghatározó események az újonnan diagnosztizált betegeknél elvégzett mielóma vizsgálatok eredményei alapján azonosíthatók:

- Csontvelőbiopszia.
- Freelite® teszt (szérum szabad könnyűlánc kimutatás).
- Mágneses rezonancia képalkotás (MR) vizsgálat.

Esetleges sürgősen megoldandó problémák a diagnózis felállításának időpontjában

Mivel a mielóma gyakran érinti a gerinc csontjait (a csigolyákat), és mivel a gerincvelő a csigolyák alkotta csatornában fut, ezért a fájdalmas csigolyatörések következtében az idegek nyomási tünetei alakulhatnak ki. Ez azonban nem gyakori. A motoros idegek kiesése bénulást okozhat. A csigolyákban növekvő mielómatumorkok (plazmocitómák) nyomhatják a gerincvelői idegeket. A kalcium csontból történő kiáramlása következtében **hiperkalcémia**, a vér magas kalciumszintje alakulhat ki. Mind a hiperkalcémia, mind a vérben lévő monoklonális fehérje súlyosan károsíthatja a vesét, ami akár veseelégtelenséget is okozhat.

A csigolyák kompressziós törései, a gerincvelői idegek károsodása és a veseelégtelenség mind sürgős egészségügyi beavatkozást igénylő problémák, amelyeket a mielóma szisztémás kezelése előtt meg kell oldani. Ezek előtt azonban javasolt egy mielóma-specialistával való konzultáció, mert fontos, hogy a sürgős problémák ellátására alkalmazott eljárások ne tegyenek lehetetlenné semmilyen jövőbeli mielómakezelési eljárást. Például, egy ideget nyomó plazmocitóma sugárkezelését alaposan mérlegelni kell a műtéti kezeléssel szemben, mivel a sugárkezelés véglegesen elpusztíthatja a csontvelőt, és ez a későbbiekben szűkítheti a terápiás lehetőségeket attól függően, hogy hol és milyen kiterjedésben alkalmazták a sugárkezelést.

A mielóma hatásai a csontvelőre

A mielómasejtek többféle fehérjét és egyéb anyagokat bocsátanak ki a csontvelő helyi mikrokörnyezetébe, illetve közvetlenül a véráramba. Minden vérsejt – fehérvérsejt, **vörösvérsejt (VVT, eritrocita)** és **vérbemészke** – a csontvelőben termelődik. Ha a mielóma a csontvelőben növekszik, akkor csökkenni fog a vérsejtek termelődése. Az **anémia** vagy vérszegénység, a vörösvértestek számának csökkenése a mielóma korai és gyakori tünete.

Az egészséges csontvelő sejtjei dinamikus egyensúlyban tartják a csontok állapotát a kiegyensúlyozott lebontási és felépítési folyamatok segítségével. A csontvelőben lévő mielómasejtek fokozzák a csontlebontó sejtek (**oszteoklasztok**) működését, és gátolják a csontépítő sejtek (**oszteoblasztok**) működését. Ennek következtében az egyensúly felborul, és csontfájdalom, törések és a kalcium vérbe történő felszabadulása következik be.

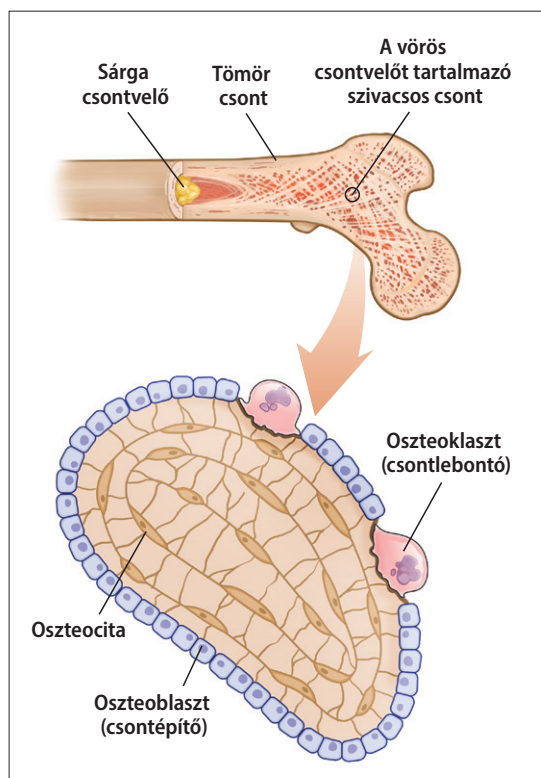
A mielóma hatásai a csontvelőn kívül

A mielóma csontvelőn kívüli hatásai nagyrészt a mielómasejtek által termelt monoklonális proteinek miatt alakulnak ki. Ahogy a mielómasejtek osztódnak, és elszaporodnak a csontvelőben, a mielóma típusának megfelelő monoklonális fehérje kijut a vérkeringésbe. A jellegzetes immunglobulin fehérje távoli szerv- és szövetkárosodást okozhat. Ezek közül például a vesekárosodás elég gyakran előfordul. A monoklonális fehérje a véralvadást és/vagy a keringést is befolyásolhatja és esetleges szerv- vagy szövetkárosodást, például idegkárosodást (**perifériás neuropátiát, PN**) okozhat. A mielóma kezelésével kontrollálhatók a csontlebontási folyamatok és a tumornövekedés, valamint a mielómafehérjék és az általuk stimulált **citokinek** által okozott különböző hatások.

A mielóma típusai

A mielómának különböző típusai és altípusai léteznek, amelyek a mielómasejtek által termelt immunglobulin fehérje típusa alapján különíthetők el egymástól. Öt típusú normál immunglobulin – G, A, D, E és M – létezik, amelyek mindegyike

4. ábra A csontképződés anatómiája



különböző funkciót lát el a szervezetben. Minden immunglobulin két nehéz és két könnyűláncból áll. A könnyűláncok rövidebbek és molekulasúlyuk alacsonyabb mint a nehézláncoké, ezért képesek bejutni a vért a vesékhez szállító apró kapillárisokba. A könnyűláncok két típusát kappa (κ) és lambda (λ) láncoknak nevezik.

A mielóma típusának meghatározását **immunfixációs elektroforézissel (IFE)** végzik, amellyel azonosíthatók a nehéz- és a könnyűláncok is. A mielómasejtek egy közös ősejtől származó, azonos sejtekből álló fehérje **monoklont** hoznak létre. Ezért a mielómasejtek csak egyetlen típusú immunglobulin fehérjét termelnek. A mielomás betegek körülbelül 65%-a immunglobulin G (**IgG**) mielómában szenved, amelyben kappa vagy lambda könnyűláncok termelődnek. A következő leggyakoribb típus az immunglobulin A (**IgA**) mielóma, szintén kappa vagy lambda könnyűláncokkal. Az **IgD**, **IgE** és **IgM** mielómák elég ritkák.

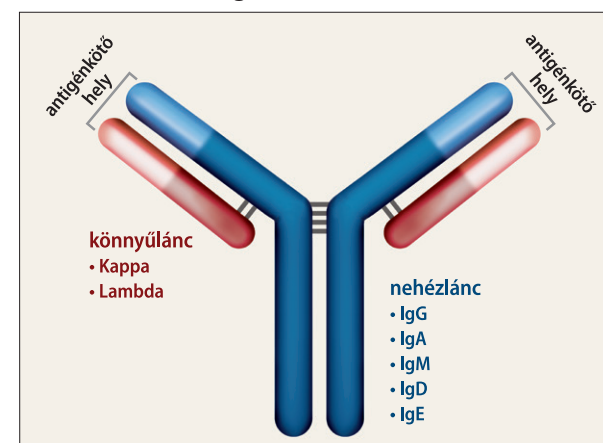
A mielomás betegek körülbelül egyharmadánál a teljes, nehézláncokból és könnyűláncokból álló molekulák mellett **szabad könnyűláncok** (a nehézláncoktól külön) is termelődnek. A betegek körülbelül 15–20%-ában a mielómasejtek csak könnyűláncokat termelnek, nehézláncokat nem. Ezt a típust könnyűlánc vagy **Bence Jones mielómának** hívják, és egy angol orvosról nevezték el, aki elsőként mutatta ki és azonosította a könnyűláncokat és 1848-ban publikálta az adatait. Ritka

esetekben, körülbelül a betegek 1–2%-ánál a mielómasejtek csak nagyon kevés monoklonális fehérjét termelnek vagy egyáltalán nem termelnek ilyen fehérjét. Ezt a típust **nonszekretoros mielómának** hívják. A Freelite® teszttel azonban nagyon kis

3. táblázat
Az
immunglobulinok
altípusai

IgG kappa
IgA kappa
IgD kappa
IgE kappa
IgM kappa
IgG lambda
IgA lambda
IgD lambda
IgE lambda
IgM lambda

5. ábra Az immunglobulinok (antitestek) szerkezete



4. táblázat A mielóma típusai és a vele kapcsolatos betegségek

BETEGSÉG TÍPUSA	LEÍRÁS
Mielóma: IgG κ vagy λ IgA κ vagy λ Ritkább altípusok: IgD, E vagy M	• A jellegzetes mielóma: a betegek legtöbbjénél ez fordul elő. • A szérum monoklonális proteinek SPEP vizsgálatával (IgG) és/vagy kvantitatív immunglobulin (QIG) méréssel (IgA/D/E) monitorozható. IgA mielóma esetén a kvantitatív immunglobulin mérés gyakran megbízhatóbb.
Könnyűlánc vagy Bence Jones (BJ) mielóma: κ vagy λ típus	• Bence Jones mielóma: a betegek körülbelül 15–20%-ánál fordul elő. • A vizelet monoklonális könnyűláncok UPEP vizsgálatával és/vagy szérum szabad könnyűlánc méréssel (Freelite®) monitorozható.
Nonszekretoros mielóma: κ vagy λ típus	• Kevésbé gyakori mielóma: a betegek 1–2%-ánál fordul elő. • Mivel mind a SPEP mind az UPEP negatív (nincs monoklonális csúcs a szérum vagy a vizeletmintában), ezért a betegséget Freelite® teszttel kell monitorozni.
IgM mielóma: κ vagy λ altípus	• Az IgM mielóma egy nagyon ritka altípus. • Az IgM termelés egy másik, Waldenström makroglobulinémia nevű betegségre jellemző, amely inkább limfómára (nyirokrákra) hasonlít, mint a mielómára, és nem a csontvelő daganatos megbetegedése.
Amiloidózis: AL vagy immunglobulin könnyűlánc típus κ vagy λ altípus	• Amiloidózisban a könnyűláncok egy jellegzetes egyenes (ún. béta-redő) formában összekapcsolódnak egymással és lerakódnak a szövetekbe, ahelyett, hogy lebomlanának és/vagy a vesén keresztül kiválasztódnának. • Az amiloidózisnak számos különböző formája létezik, amelyekben különböző típusú fehérjedepozitumok képződnek. Például az Alzheimer-betegségben az agyban található fehérjelerakódások. • A mielómával kapcsolatos amiloid könnyűláncok számos szövetben lerakódhatnak, például a bőrben, a nyelvben, a szívben, a vesében, az idegekben, a tüdőben és a belekben. • A szövetfestés „kongóvörössel” pozitív, ami diagnosztikus értékű. Szükség lehet részletesebb tömegspektrometriás és/vagy elektronmikroszkópos vizsgálatra.
Könnyűlánc lerakódás betegség (Light Chain Deposition Disease, LCDD): κ vagy λ altípus	• LCDD-ben a könnyűláncok kevésbé rendezett lerakódása látható (random keresztkötések). • A szövetek direkt κ vagy λ immunfestéssel pozitívan festődnek. A kongóvörös festés általában negatív. • A szöveti lerakódások mintázata eltérő lehet, gyakran érintettek a vesék, a mellhártya (pleura) vagy a peritoneum (hashártya) vagy a szem.
POEMS-szindróma: Általában IgG vagy IgA λ (ritkán κ altípus)	• A POEMS-szindróma egy polineuropátiával, szervmegnagyobbzással, hormonzavarral, monoklonális gammopátiával és bőrelváltozásokkal járó komplex betegség. A diagnózis és a kezelés eltér a mielómától. A tárgyalást lásd a szövegben.

mennyiségű könnyűlánc is kimutatható a vérből, az ilyen alacsonyan szekretáló betegek körülbelül 70%-a esetében. A Mayo klinika által 124 nonszekretoros mielómás beteg bevonásával végzett vizsgálatban, amelynek eredményeit 2015-ben pulbikálták, azt találták, hogy a nonszekretoros mielómás betegek túlélése jobb mint a szekretoros mielómás betegeké.

A mielóma különböző típusainak viselkedése

Mivel az IgG mielóma a leggyakoribb típusú mielóma, ennek viselkedése a szokványos CRAB jellemzők kialakulásának felel meg.

Az IgA mielómában néha előfordul a csonton kívüli tumorok megjelenése.

Az IgD mielómát plazmasejtes leukémia kísérheti, ami a vérben keringő nagymennyiségű mielómasejt megjelenésével jár. Az IgD mielóma szintén okozhat vesekárosodást.

A könnyűlánc mielóma esetén a legvalószínűbb a vesekárosodás és/vagy a vesében és/vagy az idegeken vagy egyéb szervekben kialakuló könnyűláncclerakódások előfordulása. A könnyűláncclerakódások jellegzetességeitől függően ez lehet **amiloid könnyűlánc amiloidózis (AL amiloidózis)** vagy könnyűlánc lerakódási betegség (light chain deposition disease, LCDD)

Létezik még két plazmasejtes betegség, a **Waldenström makroglobulinémia (WM)**, amelyben IgM monoklonális fehérje termelődik, valamint a POEMS-szindróma, amely egy neuropátiával, szervmegnagyobbzással, hormonzavarokkal, monoklonális fehérjetermeléssel és bőrelváltozással járó ritka tünetegyüttes.

A mielóma stádiumbeosztása

A mielóma diagnózisakor a betegség stádiuma betegről-betegre eltérő. A Durie-Salmon stádiumbeosztási rendszer, a leggyakrabban használt klinikai stádiummeghatározó rendszer segítségével összefüggést mutattak ki a mielómás sejtmennyiség és a betegség által okozott károsodás, pl. csontbetegség vagy anémia között.

A Durie-Salmon stádiumbeosztási rendszerben a „mért mielóma sejttömeg” értékét olyan vizsgálatok alapján határozzák meg, amelyekben megmérték a mielómafehérjék egy mielómasejtre jutó mennyiségét. A monoklonális fehérjék szervezetben történő anyagcseréjére vonatkozó vizsgálatokat is végeztek, amelyek során meghatározták a szervezetben jelenlévő mielómasejtek pontos számát. Ennek alapján felismerték, hogy néhány esetben előfordulhat, hogy a nagy mennyiségű fehérjét termelő betegekben a mielómasejtek száma relatív

5. táblázat A Durie-Salmon stádiummeghatározó rendszer

STÁDIUM	KRITÉRIUM	MÉRT MIELÓMASEJT TÖMEG (mielómasejt a szervezetben)
I. STÁDIUM (kis sejt tömeg)	Az alábbiak mindegyike: • Hemoglobin > 10 g/dl • Normál vagy < 10,5 mg/dl szérumszámú kalcium érték • A csont röntgenfelvételen normál csontsztruktúra (0-ás fokozat), vagy egyetlen szoliter csont plazmocitoma látható • Kis M-komponens termelési sebesség IgG érték < 5 g/dl; IgA érték < 3 g/dl • A vizelet könnyűlánc M-komponens elektroforézissel < 4 g/24 h	600 milliárd/m ²
II. STÁDIUM (közepes sejt tömeg)	Sem az I-es és a III-as stádiumba sem sorolható	600–1200 milliárd/m ²
III. STÁDIUM (nagy sejt tömeg)	Az alábbi kritériumok közül legalább egy: • Hemoglobin < 8,5 g/dl • > 12 mg/dl szérumszámú kalcium érték • Több lítikus csontelváltozás (3-as fokozat) • Nagy M-komponens termelési sebesség IgG érték > 7 g/dl; IgA érték > 5 g/dl • Vizelet könnyűlánc M-komponens > 12 g/24 h	> 1200 milliárd/m ²
ALOSZTÁLYOZÁS (A vagy B)	• A: relatív normál vesefunkció (szérumszámú kreatininérték) < 2,0 mg/dl • B: káros vesefunkció (szérumszámú kreatininérték) > 2,0 mg/dl Példák: • IA stádium (kis sejt tömeg, normál vesefunkcióval); • IIIB stádium (nagy sejt tömeg, káros vesefunkcióval)	

alacsony lehet. Illetve fordítva, kis mennyiségű fehérjét termelő betegben a mielómasejtek száma magas is lehet.

A mielóma stádiumbeosztása végezhető a prognózis vagy a várható túlélés alapján is. A leggyakrabban használt stádiummeghatározó rendszer a mielóma esetében a prognosztikai faktorokon alapuló Nemzetközi stádiumbeosztó rendszer (International Staging System, ISS).

Az ISS világszerte több mint 20 kutatóintézmény együttműködésének eredményeképpen jöhetett létre. Az összesített adatok elemzésével meghatározták, hogy a betegség természetét értékelő sokféle teszt közül melyek jelezték legjobban előre az agresszív mielómát. Az ISS az agresszív mielóma négy nagymértékben prediktív markerén alapul, ezek mindegyike a vérből kimutatható fehérje: szérumszámú **béta 2 mikroglobulin (S β2M)**, szérumszámú **albumin (S ALB)**, **C-reaktív protein (CRP)** és szérumszámú **laktát-dehidrogenáz (LDH)**.

6. táblázat Prognosztikai faktorok

VIZSGÁLAT	JELENTŐSÉG
Szérumszámú β2 mikroglobulin (S β2M)	Minél magasabb a szint, annál előrehaladottabb a stádium.
Szérumszámú albumin (S ALB)	Minél alacsonyabb a szint, annál előrehaladottabb a stádium.
C-reaktív protein (CRP)	Aktív betegség esetén emelkedett.
Szérumszámú laktát-dehidrogenáz (LDH)	Aktív betegség esetén emelkedett.
Csontvelő citogenetikai vizsgálattal és fluoreszcens in situ hibridizációval (FISH) kimutatott káros kromoszómák	Bizonyos kromoszómadeléciók, illetve transzlokációk nagy kockázatúnak tekintendők, amelyek esetén rövidebb lehet a remisszió időtartama.

Az agresszív mielóma e markerei olcsó laboratóriumi vizsgálatokkal kimutathatók. A káros vizsgálati eredmény általában aktívabb mielómára utal, illetve esetleg arra, hogy kevésbé valószínű, hogy a kezelésre adott válasz időtartama hosszú lesz. Részletesebb információért kérjük, olvassa el *A vizsgálati eredmények megértése* című IMF kiadványt.

A betegség kockázatának genetikai vizsgálata

Az ISS-ben használt négy prediktív marker mellett a csontvelő standard citogenetikai vizsgálata (kariotipizálás) és a **fluoreszcens in situ hibridizációs (FISH)** vizsgálat is alkalmas a betegség kockázatának megállapítására. Ezt a két kromoszómavizsgálatot a csontvelő aspirátum mintákon végzik el. Erősen javasolt ezeknek a kromoszómavizsgálatoknak az elvégzése a csontvelőből a diagnózis megállapításának időpontjában.

Citogenetika

A citogenetikai vizsgálat során rövid laboratóriumi tenyésztést követően megvizsgálják az osztódó mielómasejtek kromoszómáit. Mivel a mielómasejtek aktív növekedési sebessége általában nagyon alacsony (kevesebb mint a sejtek 3%-a és gyakran kevesebb mint 1%-a osztódik), emiatt a fennálló kromoszómális elváltozások nem ítélték meg teljes mértékben. Mindemellett az esetlegesen észlelt káros eltérések fontosak, mivel azok megjelennek az aktuálisan szaporodó néhány sejten.

7. táblázat A mielóma nemzetközi stádiumbesorolása (ISS)

STÁDIUM	ÉRTÉKEK*
1. STÁDIUM	β2M < 3,5 ALB ≥ 3,5
2. STÁDIUM	β2M < 3,5 ALB < 3,5 vagy β2M 3,5–5,5
3. STÁDIUM	β2M > 5,5

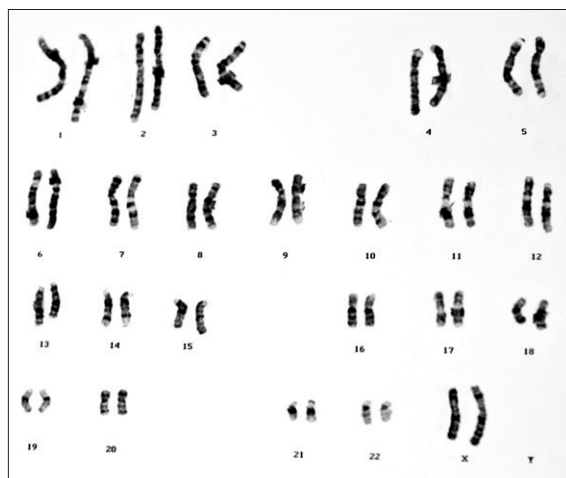
*β2M = Szérumszámú β2 mikroglobulin mg/l-ben
ALB = Szérumszámú albumin g/dl-ben

FISH

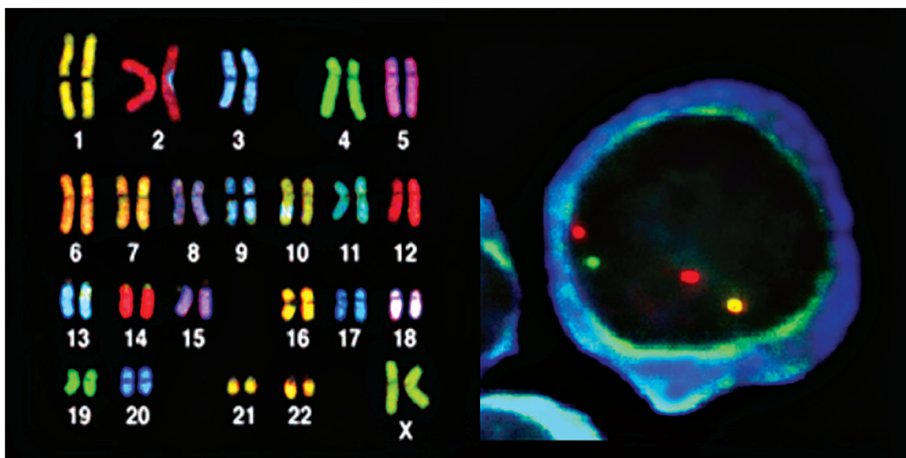
A FISH vizsgálattal megvizsgálható egy csontvelőminta összes mielómasejtjének kromoszómája. A FISH segítségével megkülönböztethetők a szaporodó, illetve a nem szaporodó mielómasejtek. A csontvelőmintához speciális, fluoreszkáló (világító) próba génszekvenciákat adnak. A próbasekvenciákkal követhető a genetikai anyag a sejtosztódás után, és azok jelzik a mielómában ismerten előforduló kromoszóma hibák jelenlétét vagy hiányát. Az egyes kromoszómákhoz különböző színű próbasekvenciák tartoznak. Ha például a 4. kromoszóma

genetikai anyaga hibásan a 14. kromoszómához csatlakozik, akkor ezeknek a kromoszómának a különböző színű jelölt pontjai egymás közelében lesznek láthatók, és ez egy nagy kockázatú kromoszómaeltérést, a t(4; 14) elváltozást, a 4. és a 14. kromoszóma közötti transzlokációt jelöl. Egyéb nagy kockázatúnak tekintett eltérések a t(14;16), a t(14;20), a 17p- (a 17. kromoszóma rövid

6. ábra Humán kromoszómák kariotípus-meghatározása



7. ábra Egy mielómasejt fluoreszcens in situ hibridizációja (FISH)



karjának (felső részének) hiánya) és az 1q+ az 1. kromoszóma hosszú karjának (alsó részének) megkétszereződése. A transzlokációk, letört darabok, extra darabok és a kromoszóma hiány mind kimutatható a FISH vizsgálattal.

A kóros kromoszómák jelenléte általában rossz prognózisra utal, azonban ez csak egy trend, nem egy garantált kimenetel. Például az ilyen úgynevezett nagy kockázatú eltérésekkel rendelkező betegek körülbelül egy harmada jól van, és normál kimenetel biztosítható náluk a standard, jelenleg elfogadott kezelési stratégiákkal, például az **indukciós kezelést** követő autológ **összejátültetéssel**. A mielómás betegek számára alapvető fontosságú az azonnali és hatásos kezelés, különösen a nagy kockázatú betegségekre utaló elváltozások fennállása esetén.

Az újonnan diagnosztizált mielóma kezelési lehetőségei

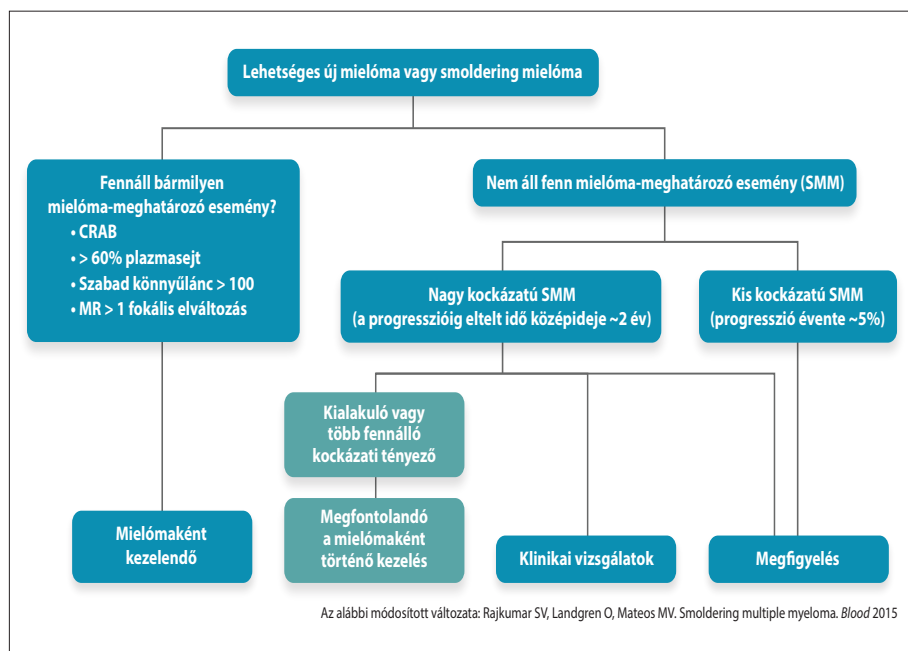
Az legfontosabb annak eldöntése, hogy szükség van-e kezelésre vagy sem. Alapvető a kezdeti kivizsgálás, stádiummeghatározás és a prognosztikai besorolás. A kezelés az aktív, tünetekkel járó mielóma esetén szükséges. A smoldering, tünetmentes **mielóma-meghatározó eseményekkel (MDE)** kísért mielóma esetén is szükséges a kezelés. A sürgősségi kezelés attól függ, hogy az adott betegnél milyen konkrét problémák állnak fenn. Ezért nagyon hasznos a mielóma-specialista tapasztalata és szakértelme.

Több vizsgálatban is kimutatták a három gyógyszer tartalmazó kombinációs kezeléseket előnyét a két gyógyszer tartalmazó kezelésekkel szemben a jó általános állapotú, újonnan diagnosztizált mielómás betegek esetében. Az Egyesült Államokban a jó általános állapotú, transzplantációra alkalmas betegek esetén leggyakrabban alkalmazott indukciós kezelés a bortezomib + lenalidomid + kis dóziszú dexametazon (VRd) kombinált kezelés. Egyéb indukciós terápiás lehetőségek még többek között:

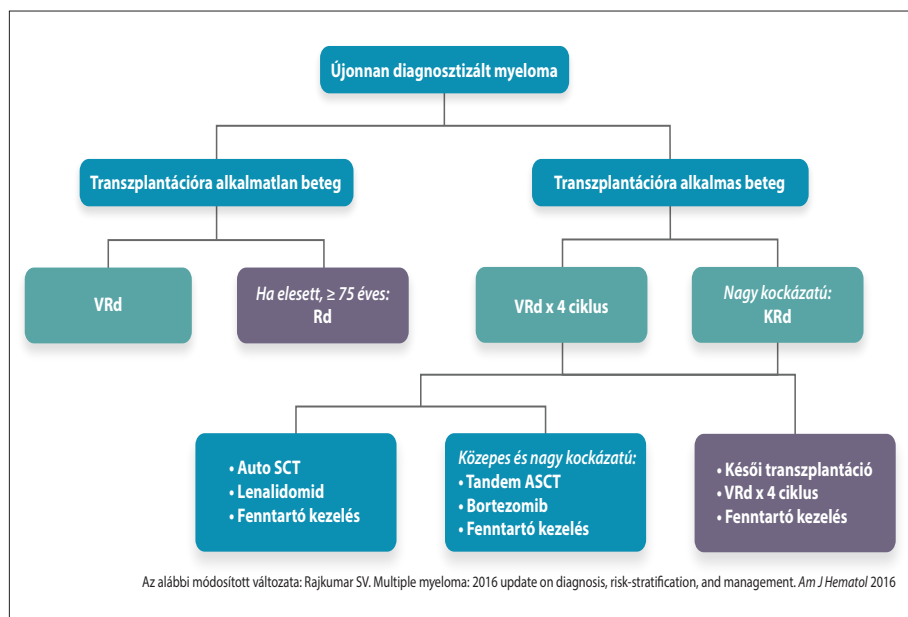
- bortezomib + ciklofoszfamid + dexametazon (VCD vagy CyBorD)
- bortezomib + talidomid + dexametazon (VTD)
- lenalidomid + dexametazon (Rd)
- bortezomib + dexametazon (Vd)
- VRd Lite (csökkentett dóziszú és rövidített protokollban adott VRd)

Ha az indukciós kezelésre adott maximális választ elérték, akkor lehetséges, hogy az orvos javasol egy fenntartó kezelési sémát. A betegség progressziójáig adott folyamatos kezelés túlélést meghosszabbító hatását széles körben bizonyították, azonban erre nem minden betegnél van szükség, illetve nem minden betegnél megfelelő. Az adott beteg mielómás jellegzetességei mellett a folyamatos kezelés anyagi, fizikális és emocionális vonatkozásait is figyelembe kell venni.

8. ábra Mikor kell a kezelést megkezdeni?



9. ábra A mielóma kezdeti kezelése



A „Megértés”-t célzó IMF kiadványsorozatban található információk a mielóma kezelésére vonatkozó egyes gyógyszerekről. (<https://www.myeloma.org/imf-publications/understanding-series>)

A diagnóziskor végzett vizsgálatok eredményei mellett a kezelési séma meghatározásakor számos fontos egyéb tényezőt figyelembe kell venni:

- **Napi rutin:** A kezelés befolyásolja majd a napi rutintevékenységek végzését?
- **Munka:** Szükség lesz bármilyen változóra vagy megszakításra?
- **Életkor:** Befolyásolja a kezelés kiválasztását és a várható kimenetelt?
- **A kezelés mellékhatásai:** Mennyire lesznek súlyosak?
- **Egyéb egészségügyi problémák:** Befolyásolják a kezelés kiválasztását és a tolerálhatóságot?
- **Transzplantáció:** Javasolt a nagy dózisú kemoterápia vérképző őssejtek átültetésével?
- **A válasz sebessége:** Mennyire gyorsan hat majd a kezelés és hogyan lehet azt kimutatni?
- **Kezdeti és későbbi döntések:** Mennyi szükségletről kell azonnal dönteni?
- **Anyagi megfontolások:** A kezelés mely részét fedezi a biztosító, és mekkora részét kell nekem fedeznem? Vannak olyan források, ahonnan segítséget várhatok a kezelés fedezésére?

Kulcsfontosságú pont: Ha egy kezelés hatástalan, az nem jelenti azt, hogy egy másik kezelés ne lehetne kiemelkedően hatásos, és ne biztosíthatna kiváló remissziót.

Különösen, ha egy indukciós kezelés hatástalan, számos kezelési lehetőség elérhető, amelyek leírása azonban túlmutat ezen ismeretterjesztő kiadvány keretein. **Nem tanácsos azonban gyorsan váltani az kezelési sémák között mindaddig, amíg a rendelkezésre álló lehetőségeket ki nem merítették.**

Össejtátültetés

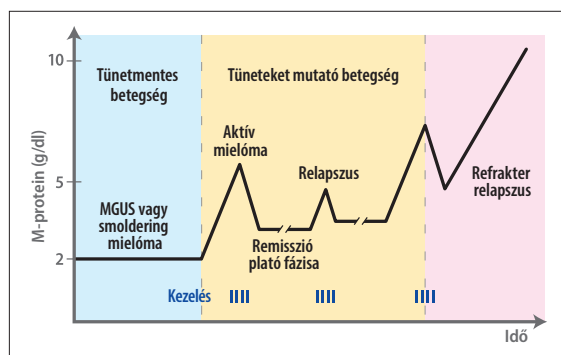
A legjobb ha fenntartják az össejtátültetés lehetőségét, ha Ön és orvosa úgy érzi, hogy az egy opció lehet az Ön számára. Az IMWG jelenlegi konszenzusa szerint minden transzplantációra alkalmas betegből le kell venni és tárolni kell őssejteket az esetleges jövőbeli felhasználáshoz. Általában a 65 évnél fiatalabb betegeket (akiknél nem áll fenn más, kockázatot jelentő egészségügyi probléma) tekintik alkalmasnak az össejt-transzplantációra. Bár végleges klinikai vizsgálati adatok a teljes túlélésre vonatkozóan még nem elérhetők, a vizsgálatok azt jelzik, hogy azoknál a betegeknél, akiknél a mielóma tervezett kezdeti kezelésének része volt az autológ össejt-transzplantáció,

mélyebb válasz és hosszabb remisszió – azaz **progressziómentes túlélés** (progression-free survival, PFS) – volt tapasztalható.

Az Amerikai Egyesült Államokban a Medicare biztosító egy autológ transzplantációt fedez az alkalmas betegek számára, bármilyen életkorban, Durie-Salmon II-es vagy III-as stádiumú mielóma esetén. A mielómának újonnan diagnosztizáltak vagy még kezelésre reagálóknak kell lennie, és a betegeknek megfelelő szív-működéssel, máj-, tüdő- és vesefunkcióval kell rendelkeznie. A Medicare nem fedez tandem vagy két egymást követő autológ transzplantációt.

Ha a betegnél transzplantációt végeznek, és a Medicare azt fedezi, akkor ha a betegnél legalább két éves remisszió után relapszus következik be, akkor lehetséges, hogy akkor a Medicare ismét fedezi a transzplantációt. (A magyar szabályozásról kérdezze kezelőorvosát!) Az összejt-transzplantációra való alkalmasságot minden beteg esetén egyénileg kell megállapítani, az egészségi állapot, a kísérőbetegségek és a korábbi kezelések figyelembevételével. Sok idősebb beteg van kiváló fizikális állapotban, és alkalmasnak tekinthető a transzplantációra.

10. ábra A betegség fázisai



8. táblázat Kezdeti kivizsgálás

VIZSGÁLAT	CÉL
Csontvelőbiopszia Speciális vizsgálatok a prognózis meghatározására (pl. kromoszómavizsgálat, immuntipizálás, amiloidfestés)	Ez az egyetlen és a legfontosabb vizsgálat, amellyel meg lehet határozni a csontvelőben lévő mielómasejtek jelenlétét és százalékos arányát is. I-es stádiumú betegség vagy szoliter plazmocitóma esetén közvetlenül a tumorból levett biopsziás mintára lehet szükség. A kromoszómák vizsgálatával (citogenetikai vizsgálattal) jó vagy rossz prognózisra utaló kromoszómatulajdonságok mutathatók ki direkt (Giemsa festéssel G-sávzáshoz) és/vagy FISH módszerrel. Ezekhez a vizsgálatokhoz frissen levett minta szükséges.
Vérvizsgálatok Teljes vérkép (CBC)	- Az anémia (alacsony hemoglobinszint) jelenlétének/súlyosságának kimutatása - Az alacsony fehérvérsejtszám kimutatása - Az alacsony vörösvérsejtszám kimutatása
Vérkémia panel	A veseműködés (kreatinin és urea) és a májműködés meghatározása, az albuminszint, a kalciumszint és az LDH szint mérése.
Speciális fehérvérvizsgálatok	A monoklonális mielóma fehérvérsejtszám jelenlétének kimutatása
Szérum protein elektroforézis (SPEP)	A kóros mielóma nehézlánc fehérje mennyiségének meghatározása.
Immunfixációs elektroforézis (IFE)	A mielómafehérje nehézlánc (G, A, D, E és M) és könnyűlánc (kappa [κ], lambda [λ]) típusainak kimutatása.
Freelite® assay	Ha az SPEP vagy az UPEP vizsgálattal nem mutatható ki kóros eltérés, akkor ezzel a próbával mérhető a szabad kappa vagy lambda könnyűláncok mennyisége.
HevyLite® assay	Az ép immunglobulinok normál és kóros szintjeinek mérése.
Vizeletvizsgálat A fent szereplő szérumfehérje- vizsgálatokhoz hasonló speciális fehérjekimutatók: • Vizelet protein elektroforézis (UPEP) • Immunfixáció	Kimutatható a kóros mielómafehérje jelenléte, mennyisége és típusa a vizeletben.
Csontvizsgálatok	A csontkárosodás jelenlétének, súlyosságának és helyének kimutatása:
Csont röntgenvizsgálat	A röntgenvizsgálat még mindig használatos a mielómás csontkárosodás kereséséhez. A betegek többségénél a röntgenfelvételen jellegzetes mielómás csontelváltozások láthatók (litikus léziók vagy „lyukak” a csontban): A röntgenvizsgálat azonban az aktív mielómában szenvedő betegek körülbelül 25%-ánál negatív lehet, és az esetleges csontértéktelenség kizárásához további vizsgálatokat, teljes test MR és teljes test kis dózísú CT vagy PET/CT vizsgálatot kell végezni. A csontpusztulás, illetve a csonttömeg (csontpusztulás okozta osteoporózis vagy osteopénia miatti) csökkenésének, litikus elváltozások és/vagy bármilyen csonttörés vagy kompressziós törés kimutatásához a teljes csontrendszer vizsgálata szükséges sorozatos röntgenfelvételekkel.
MR (Mágneses rezonancia képalkotás)	Akkor használják, ha a röntgenvizsgálat negatív és/vagy bizonyos területek, például a gerincvelő és/vagy az agy részletesebb vizsgálatára van szükség. A röntgenvizsgálat negativitása esetén kimutatható a csontvelőbetegség jelenléte és eloszlása. A csonton kívüli elváltozások is kimutathatók vele, amelyek az idegeken és/vagy a gerincvelőn nyomási tüneteket okozhatnak.
CT vizsgálat (Computeres tomográfia)	Akkor használják, ha a röntgenvizsgálat negatív és/vagy bizonyos területek részletesebb vizsgálatára van szükség. Különösen hasznos olyan kis kiterjedésű területek vizsgálatához, ahol előfordulhat csontbetegség vagy idegi nyomásos tünet.
Nukleáris medicina vizsgálatok	Ezeket a csontvizsgálatokat rutinszerűen inkább más típusú daganatos betegségek esetén használják. Mielóma esetén nem hasznos és nem szabad végezni, <i>csak más diagnózisok kizárása érdekében.</i>
FDG/PET vagy PET/CT vizsgálat	Egy kiemelkedően szenzitív teljes test vizsgálati technika. A betegség monitorozására szolgál, különösen nonszekretoros mielóma esetén. A CT a PET pozitív területek vizsgálatára szolgál.
Csontdenzitás vizsgálatok	Segít a diffúz mielómás csontpusztulás súlyosságának meghatározásában, valamint a biszfoszfonátkezelés alatt a fokozatos javulás kimutatásában.

Klinikai vizsgálatok

Bár az indukciós kezelésekkel végzett klinikai vizsgálatokban való részvétel lehetséges a betegek számára, azonban a betegnek teljes mértékben el kell azt fogadnia, hogy random módon sorolhatják be őt egy kezelési csoportba egy másikkal szemben a vizsgálat elrendezésétől függően. Ez azt eredményezheti, hogy a beteget fixen beállítják egy jövőbeli randomizációra és kezelésre. Nagyon fontos teljes mértékben megérteni a vizsgálati kezelési protokollt. A klinikai vizsgálatok részletesebb tárgyalásához olvassa el az IMF *A Klinikai vizsgálatok megértése* című kiadványát.

Szupportív kezelés

Rendelkezésre állnak a betegséggel járó fizikális és emocionális terheket csökkentő kezelések. A szupportív, támogató kezelések korai alkalmazása pontosan olyan fontos, mint az indukciós kezelés megkezdése. A konkrét tünetek kezelésén túl, kiemelten fontos a támogató eszközök teljes skálája is:

- **Fizikai aktivitás:** A betegeknek meg kell beszélniük orvosukkal, hogy alkalmasak-e a teljes fizikális terhelésre vagy módosítaniuk kell a terhelésen a csontbetegség vagy a bizonyos területeket érintő csontkárosodások miatt. Általában bizonyos mértékű fizikai aktivitás tervezhető, például séta vagy úszás, nyújtó és erősítő gyakorlatok és/vagy egy személyre szabott jóga program.

9. táblázat A mielóma kezelésében jelenleg használt gyógyszerek 2017. április

GENERIKUS NÉV	BETEGSÉGHELYZET	ALKALMAZÁS: DÓZIS	MELLÉKHATÁSOK	MEGJEGYZÉSEK
Alkilálószer				
melfalan	- Indukciós kezelés transzplantációra alkalmatlan betegek esetén - Egy–három korábbi relapszus esetén - Relabáló/refrakter betegség esetén	iv. (intravénás injekció): 200 mg/m² - szájon át: napi 6 mg (három tabletta)	A vesejtermelés gátlása, túlérzékenységi reakciók, emésztőrendszeri toxicitás, tüdőtoxicitás, infertilitás, másodlagos malignitás (leukémia).	- Autológ transzplantációval alkalmazzák nagy dózisban. - Prednizonnal ± egy harmadik gyógyszerrel (MPV, MPR) alkalmazzák transzplantációra alkalmatlan betegeknek.
ciklofoszfamid	- Indukciós kezelés - Egy–három korábbi relapszus esetén - Relabáló/refrakter betegség esetén	- iv.: 40–50 mg/kg 2–5 napra elosztva - szájon át: 300 mg/m² hetente egyszer	A vesejtermelés gátlása, fertőzések, a vizeletelvezető rendszer és a vese károsodása, kardiotoxicitás, tüdőtoxicitás, másodlagos malignitás, láz, kopaszodás (iv.), hányinger, hányás, hasmenés.	- Néha ASCT előtt a csontvelői őssejtek mobilizálására, a keringésbe történő kijuttatására használják, hogy könnyebb legyen levenni az őssejteket a perifériás vérből. - Használják orális kombinációs kezelésre, például CyBorD kombinációban. - Használják iv. kombinációs kezelésre, például DCEP és DVPACE kombinációban.
Antraciklin				
pegilált, liposzomális doxorubicin (plusz bortezomib + dexametazon)	- Egy–három korábbi relapszus esetén - Relabáló/refrakter betegség esetén	iv. 30 mg/m ² a 4. napon bortezomibkezelést követően	Kardiotoxicitás, infúziós reakciók, csökkent vörsejtszámok, kéz-láb szindróma, szájfekélyek, hányinger és hányás, fáradékonyság, gyengeség.	A hozzáférhetőség megkönnyítése érdekében tavaly új amerikai gyártó számára engedélyezték a készítmény gyártását. Lásd doxilsupply.com
Kortikoszteroid				
dexametazon	- Indukciós kezelés - Egy–három korábbi relapszus esetén - Relabáló/refrakter betegség esetén	- Adható iv. - Általában heti 40 mg szájon át (10 tabletta) („kis dózisu” dexametazon) - Monoterápiában szájon át 40 mg négy napon keresztül, majd négy nap szünet	Fertőzések, szívproblémák/ folyadékretenció, akne, kiütés, emelkedett vércukorszint, emésztőrendszeri problémák, hízás, köhögés, rekedtség, csonttritkulás, izomfájdalom, szembetegségek, pszichiátriai hatások, álmatlanság.	- Figyelní kell a gyógyszerinterakciókra. A részletekért kérjük, olvassa el az <i>A dexametazon és más szteroidok hatásmechanizmusának megértése</i> című IMF kiadványt. Több vizsgálat is kimutatta, hogy a dexametazon dózisának csökkentése a kombinációs kezeléseknél javítja a toleranciát, meghosszabbítja a kezelés időtartamát és a teljes túlélést. - Az ASH 2015. évi konferenciáján bemutatott, Karolinska Intézetben végzett vizsgálatban kimutatták, hogy a lenalidomid + dexametazon második kezeléssel elért legalább részleges remisszió esetén a dexametazon folytatása a lenalidomid mellett nem járt további előnnyel.

(Az 9. táblázat a következő oldalon folytatódik)

■ **Étrend:** A mielómás betegek számára nincs kialakítva konkrét diéta, azonban a kutatások egyértelmű összefüggést mutattak ki az elhízás és a mielóma között. A betegek számára egészséges, mediterrán típusú étrend ajánlott, amelyben sok gyümölcs, zöldség, hal, illetve más sovány állati fehérje, teljes kiőrlésű gabona és feldolgozatlan, „valódi” ételek szerepelnek. A betegek számára kerülendők a feldolgozott cukrokat és a mesterséges transz-zsírokat tartalmazó ételek. Két területen kell elővigyázatossággal eljárni:

- **C-vitamin:** A napi 1000 mg-ot meghaladó dózis mielómában kontraproduktív lehet és fokozhatja a vesekárosodás kockázatát.
- **Gyógynövény- és vitaminalapú étrendkiegészítők:** A mielómakezelés alatti étrendkiegészítő-használatról kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét. Bizonyos étrendkiegészítők akadályozhatják a kezelés hatását. A gyógyszerek és az étrendkiegészítők közötti kölcsönhatások súlyos egészségügyi problémákat is okozhatnak. Sok gyógyszertárban

elérhető olyan számítógépes program, amely kimutatja a lehetséges interakciókat a gyógyszerek és/vagy az étrendkiegészítők között.

- **Mentális egészség:** A betegek mentális egészsége nagyon fontos a tervezett kezelés előrehaladása során. Győződjön meg arról, hogy elégedett-e a kezelési tervvel. Amennyiben úgy gondolja, hogy esetleg depresszív hangulata van, vagy mások aggódnak emiatt, akkor keressen fel egy mentális egészségügyi szakembert. Ez a rák diagnózisára adott normális reakció, és a legtöbb betegnek előbb vagy utóbb szüksége lesz valamilyen segítségre. Ekkor egy mielóma önsegítő csoport felkeresése is hasznos lehet. Ebben az időszakban nagyon fontos a hasonló helyzetben lévő emberektől származó támogatás és információgyűjtés. Az Ön közelében lévő önsegítő csoportok felkereséséhez hívja az IMF Infovonalát vagy látogasson el a myeloma.org/support-groups weboldalra.
- **Rendszeres alvás:** Ez nagyon fontos az immunrendszer működése szempontjából.

9. táblázat A mielóma kezelésében jelenleg használt gyógyszerek 2017. április (folytatás az előző oldalról)

GENERIKUS NÉV	BETEGSÉGHELYZET	ALKALMAZÁS: DÓZIS	MELLÉKHATÁSOK	MEGJEGYZÉSEK
Immunmoduláns gyógyszerek				
talidomid (plusz dexametazon)	• Indukciós kezelés • Egy–három korábbi relapszus esetén • Relabáló/refrakter betegség esetén • Fenntartó	szájon át: Napi 200 mg az engedélyezett mennyiség, azonban ritkán adják napi 100 mg-nál nagyobb adagban, mivel kisebb adagban is hatásos és a nagyobb adagokat a betegek általában nem tolerálják jól.	Magzati toxicitás, vénás és artériás tromboembólia, perifériás neuropátia, székrekedés, álmoság, szédülés, alacsony fehérvérsejtszám, kiütés.	• A betegeknek részt kell venniük egy kockázatbecslő és csökkentő programban. • Szexuális kapcsolat során mindkét félnek fogamzásgátló módszert kell alkalmaznia. • Irreverzibilis perifériás neuropátiát okoz. • Dexametazonnal kombinálva fokozott a tromboembólia kockázata, ekkor vérhígítót kell alkalmazni.
lenalidomid (plusz dexametazon)	• Indukciós kezelés • Egy–három korábbi relapszus esetén • Relabáló/refrakter betegség esetén • Fenntartó	szájon át: 25 mg a 28 napos ciklus 1–21. napján.	Magzati toxicitás, alacsony fehérvérsejtszám, alacsony vérlemezkesszám, vénás és artériás tromboembólia (vérörgékpézdés, amely a tüdőbe juthat), hasmenés, fáradékonyság, vérszegénység, székrekedés, kiütés	• A betegeknek részt kell venniük egy kockázatbecslő és csökkentő programban. • Szexuális kapcsolat során mindkét félnek fogamzásgátló módszert kell alkalmaznia. • A FIRST vizsgálatban kimutatták a folyamatosan alkalmazott lenalidomid előnyösségét újonnan diagnosztizált, transzplantációra alkalmatlan mielómás betegek körében. • Dexametazonnal kombinálva fokozott a tromboembólia kockázata, ekkor vérhígítót kell alkalmazni.
pomalidomid (plusz dexametazon)	• Egy–három korábbi relapszus esetén • Relabáló/refrakter betegség esetén	szájon át: 4 mg a 28 napos ciklus 1–21. napján.	Magzati toxicitás, alacsony fehérvérsejtszám, alacsony vörösvértestszám, alacsony vérlemezkesszám, vénás és artériás tromboembólia, fáradékonyság, gyengeség, szédülés és zavartság, székrekedés, hányinger, hasmenés, neuropátia.	• A betegeknek részt kell venniük egy kockázatbecslő és csökkentő programban. • Szexuális kapcsolat során mindkét félnek fogamzásgátló módszert kell alkalmaznia. • Dexametazonnal kombinálva fokozott a tromboembólia kockázata, ekkor vérhígítót kell alkalmazni.

(Az 9. táblázat a következő oldalon folytatódik)

9. táblázat A mielóma kezelésében jelenleg használt gyógyszerek 2017. április (folytatás az előző oldalról)

GENERIKUS NÉV	BETEGSÉGHELYZET	ALKALMAZÁS: DÓZIS	MELLÉKHATÁSOK	MEGJEGYZÉSEK
Proteaszóma inhibitor				
bortezomib (plusz dexametazon)	- Indukciós kezelés - Egy–három korábbi relapszus esetén - Relabáló/refrakter betegség esetén - Fenntartó	1,3 mg/m ² iv. vagy sc. (subcutan, bőr alá adott) injekció minden 21 napos ciklus 1., 4., 8. és 11. napján.	Perifériás neuropátia, fáradékonyság, hányinger, hasmenés, trombocitopénia, alacsony vérnyomás.	- A herpes zoster vírus (övsömör) nagyobb előfordulási gyakorisága. Ha bortezomib kezelést kap, akkor meg kell beszélni az orvossal megelőző célú antivirális kezelés alkalmazásának szükségességét. - Hatékonyan bizonyult t(4;14) nagy kockázatú kóros citogenetikai eltérés mellett is. - Veseelégtelenségben szenvedő betegek számára is biztonságos. - Subcutan és/vagy heti egyszeri adagolás csökkenti a perifériás neuropátia kockázatát.
karfilzomib (önmagában vagy lenalidomid + dexametazon kezeléssel kombinálva)	- Egy–három korábbi relapszus esetén - Relabáló/refrakter betegség esetén	iv. 10 perces infúzió hetente kétszer 2 egymást követő napon, 4 hetes ciklusonként 3 héten keresztül. 20 mg/m ² az 1. ciklus, 1 + 2. napján; 27 mg/m ² az 1. ciklus, 8., 9., 15. és 16. napján és minden további ciklus esetén így.	Fáradékonyság, anémia, trombocitopénia, légszomj, hasmenés, láz, alacsony vérnyomás, szívelégtelenség és egyéb kardiális események, infúziós reakciók.	- A korábban fennálló szívproblémákkal rendelkező betegeknél nagyobb a szívvel kapcsolatos szövődmények kockázata. - JA progressziómentes és a teljes túlélés vonatkozásában relapszus esetén jobbnak bizonyult a bortezomib + dexametazon kombinációnál (függetlenül az életkortól, a citogenetikától és az előző kezelésektől). - Javasolt a herpes zoster vírusfertőzés (övsömör) megelőzésére szolgáló antivirális kezelés.
ixazomib (plusz lenalidomid + dexametazon)	Egy–három korábbi relapszus esetén	szájon át: 4 mg a 28 napos ciklus 1., 8. és 15. napján.	Trombocitopénia, neutropénia, hasmenés, székrekedés, hányinger, hányás, perifériás neuropátia, perifériás ödéma (a láb dagadása), kiütés, májtoxicitás, derékfájás, felső légúti fertőzés.	- A közepesen súlyos–súlyos máj- vagy vesekárosodásban szenvedő betegek adagja 3 mg legyen. - Magzati toxicitást okoz. - A herpes zoster vírus (övsömör) elleni megelőző antivirális kezelés alkalmazását meg kell beszélni az orvossal. - Egy órával étkezés előtt vagy két órával étkezés után kell bevenni. - A lenalidomid + dexametazon (Rd) kezelés esetén fokozott a tromboembólia kockázata, emiatt vérhígítót kell szedni.
Monoklonális antitest (mAt)				
daratumumab	Relabáló/refrakter betegség esetén	iv. 16 mg/kg hetente az 1. és a 2. ciklusban, kéthetente a 3–6. ciklusban, négyhetente a 7. ciklustól.	Infúziós reakciók, fáradékonyság, hányinger, derékfájás, láz, köhögés, alacsony vérsejtszámok.	- Folyamatban van egy klinikai vizsgálat, amelyben az új sc. alkalmazást értékelik. - bortezomib + dexametazon vagy lenalidomid + dexametazon kombinációban legalább egy korábbi kezelés esetén használható. - A Darzalex magzati toxicitást okozhat. - Az infúziós reakciók megelőzése érdekében az infúzió előtt a betegnek kortikoszteroidot, lázcsillapítót és antihisztamint kell adni.
elotuzumab (plusz lenalidomid + dexametazon)	Egy–három korábbi relapszus esetén	iv. 10 mg/kg az 1. + 2. ciklusban heti egyszer, a 28 napos ciklus 1., 8., 15. és 22. napján; ezt követően minden második héten, a 28 napos ciklus 1. és 15. napján.	Infúziós reakciók, alacsony vérsejtszámok, fertőzések, fáradékonyság, hasmenés, láz, székrekedés, izomgörcsök, csökkent étvágy.	- Lenalidomiddal kombinációban alkalmazva javasolt az antikogagulálás a mélyvénás trombózis és a tüdőembólia előfordulási gyakoriságának fokozódása miatt. - A betegeket dexametazon, antihisztamin, ranitidin és acetaminofen premedikációban részesítik az elotuzumab minden adagja előtt az infúziós reakciók megelőzése érdekében.
HDAC Inhibitor (hisztón-deacetiláz inhibitor)				
panobinostat (plusz bortezomib + dexametazon)	- Egy–három korábbi relapszus esetén - Relabáló/refrakter betegség esetén	szájon át: minden másnap 20 mg, azaz heti 3 dózis (1., 3., 5., 8., 10., 12. napokon) minden 21 napos ciklus 1. és 2. hetében, 8 cikluson keresztül.	Alacsony vérsejtszámok, hasmenés, hányinger vagy hányás, kardiális toxicitás, vérzés (az alacsony vérlemezkeszám miatt), fertőzések, májtoxicitás, magzati toxicitás, fáradékonyság.	- A friss miokardiális infarktusban vagy instabil anginában szenvedő betegeknél nem adható panobinostat. - Súlyos májproblémák esetén a Farydak nem alkalmazható; enyhe–közepes károsodás esetén a dózist csökkenteni kell. - Erős CYP3A inhibitorokkal, például klaritromicinnel történő egyidejű alkalmazás esetén az adagot 10 mg-ra kell csökkenteni.

- **Változtatások:** Amennyire lehet, kerülje vagy iktassa ki a munkahelyi, a családi vagy a szociális stresszt az életéből. Kerülje a szoros kontaktust iskoláskorú gyerekekkel. Kerülje a tömeget, amennyire lehetséges. Gyakran mosson kezet. Az immunrendszere gyengébb a betegség és a kezelések miatt is. A mielóma kezelése prioritást élvez a remisszió vagy egy stabil állapot eléréséig.

Záró gondolatok

Míg egy rákos megbetegedés diagnózisáról úgy érzi, hogy nem tudja kontrollálni, az orvosokkal és az ápolókkal való kommunikáció hatékonyabbá tételére vonatkozó ismeretek és azok szélesítése kontrollálható, és az jelentősen befolyásolja, hogy a betegség lefolyása alatt hogyan érzi majd magát.

Ez a kiadvány nem helyettesíti az orvosok és az ápolók javaslatait, hiszen ők a tudják a legpontosabb válaszokat adni az Ön egyedi kezelési tervére

10. táblázat A mielóma kezelésének céljai

A KEZELÉS TÍPUSA	CÉL	PÉLDÁK	A DÖNTÉSRE RENDELKEZÉSRE ÁLLÓ IDŐ
Stabilizáló	Elhárítani az életveszélyes metabolikus és immunrendszeri problémákat	• Plazmaferezis a vérhígításhoz és a stroke elkerülése érdekében • Hemodialízis károsodott veseműködés esetén • A magas kalciumszintet csökkentő gyógyszerek (lehet kemoterápia)	Órák–napok
Palliatív	A diszkomfort csökkentése és a beteg funkcióképességének visszaállítása	• Besugárzás a csontpusztulás megállítására érdekében • Vörösvértest-transzfúzió a vérszegénység csökkentésére • Ortopédsebészeti beavatkozás a csont helyreállítása és/vagy erősítése érdekében	Napok–hónapok
Remisszió-indukáló	A tünetek enyhítése és a betegség előrehaladásának lassítása vagy leállítása	• A szervezetben jelenlévő daganatsejtek elpusztítását célzó kezelés • Besugárzás a tumor helyén lévő daganatsejtek elpusztítása érdekében	Hetek–hónapok
Kuratív	Tartós remisszió*	• Csontvelőátültetés nagy dózisu kemoterápiával	Hetek–hónapok

* A gyógyulás a mielóma teljes kiirtását jelenti, amit csak ritka esetekben dokumentáltak. A „funkcionális gyógyulás” kifejezéssel írják le a több mint négy évig tartó teljes remissziót. A (molekuláris szinten is kimutatható) teljes választ követheti relapszus, ezért szükség van hosszú távú utánkövetésre.

vonatkozóan. Az IMF olyan információkkal kívánja ellátni Önt, amelyek alapján párbeszédet kezdeményezhet az egészségügyi szakemberekkel. A hatékony kezelés és a jó életminőség megtartásához fontos, hogy Ön aktívan részt vegyen a saját egészségügyi kezelésében.

Javasoljuk, hogy látogasson el a myeloma.org weboldalra, ahol a mielómára vonatkozó friss információkat talál, illetve hívja az IMF Infovonalát, ha a mielómával kapcsolatban kérdése vagy aggálya merül fel. Az IMF Infovonalán a szakemberek az érdeklődők számára folyamatosan a mielómára vonatkozó legfrissebb információkkal szolgálnak gondoskodó és együttérző szellemben. Az IMF Infovonal szakemberei elérhetők az InfoLine@myeloma.org e-mail címen vagy a +1 800-452-2873 vagy a +1 818-487-7455-ös telefonszámokon.

Kifejezések és meghatározások

Albumin (ALB): A vérszérumban található egyszerű, vízdékes fehérje. A mielóma nagymértékben aktív szakaszában termelődését gátolja az interleukin-6.

Amiloid könnyűlánc amiloidózis (AL amiloidózis): Olyan kórállapot, amelyben a mielóma könnyűláncok béta-redő elrendezésben összekapcsolódnak egymással, majd ahelyett, hogy kiválasztódnának a vizelettel, testszerte lerakódnak a szövetekben és a szervekben, például a szívben, az idegekben és a vesékben. Ezt az állapotot primer amiloidózisnak is hívják.

Anémia: A szervezet szöveteibe és szerveibe oxigént szállító vörösvérsejtek hemoglobintartalmának csökkenése. A normál hemoglobinérték 13–14 g/dl között van, anémiáról vagy vérszegénységről általában 10 g/dl-es hemoglobinszint alatt beszélünk és/vagy akkor ha egy személynél legalább 2 g/dl-es csökkenés tapasztalható a saját normál értékéhez képest.

Antitest: A plazmasejteknek nevezett fehérvérsejtek által termelt fehérje, amely segít a fertőzések és a betegségek leküzdésében.

Bence Jones mielóma: A vizeletben egy szabad kappa vagy lambda könnyűláncokból álló kóros fehérje, az ún. Bence Jones protein jelenlétével jellemezhető mielómafajta.

Bence Jones protein: Egy monoklonális mielómafehérje. A fehérje szabad kappa vagy szabad lambda könnyűláncokból áll. Kis méretük miatt a Bence Jones könnyűláncok szabadon bejutnak a vizeletbe. A Bence Jones fehérjék mennyiségét a vizeletben g/24 h mértékegységben fejezik ki. Normál körülmények között nagyon kis mennyiségű fehérje (< 0,1 g/24 h) előfordulhat a vizeletben, ám ez inkább albumin és nem Bence Jones protein. A Bence Jones protein jelenléte a vizeletben mindenképpen kóros.

11. táblázat A szupportív kezeléshez jelenleg használt gyógyszerek 2017. április

GENERIKUS NÉV	BETEGSÉGHELYZET	ALKALMAZÁS: DÓZIS	MELLÉKHATÁSOK	MEGJEGYZÉSEK
Biszfoszfonátok				
pamidronát	A mielómás csontbetegség kezelésére	iv. havonta egyszer 90 mg, 2–4 óra alatt beadva.	Vesetoxicitás, láz, vénairritáció, általános fájdalom, állcsontelhalás.	- Hosszú távú (5+ év) használata atípusos combcsonttöréshez vezethet. - Az igazolt mielómával kapcsolatos csontbetegségben nem szenvedő betegek nem kaphatnak biszfoszfonátokat.
zoledronát	A mielómás csontbetegség kezelésére	iv. 4 mg legkevesebb 15 perc alatt beadva, 3–4 hetente; általában 30–45 perc alatt beadva havonta egyszer.	Vesetoxicitás, láz, vénairritáció, általános fájdalom, állcsontelhalás.	- Hosszú távú (5+ év) használata atípusos combcsonttöréshez vezethet. - Az igazolt mielómával kapcsolatos csontbetegségben nem szenvedő betegek nem kaphatnak biszfoszfonátokat. - Veseelégtelenségben szenvedő betegek esetén az adagot csökkenteni kell. - Naponta 500 mg kalciumot és 400 NE D-vitamint kell szedni.
Össejtmobilizáló				
plerixafor	GCSF-fel kombinált használatra a hematopoetikus őssejtek ASCT előtti mobilizálásához	iv. 0,24 mg/testúlykg.	Hányinger, hányás, hasmenés, fáradékonyság, fejfájás, szédülés, ízületi vagy izomfájdalom, reakció az injekció beadásának helyén, alacsony vérlemezkeszám.	Magzati károsodást okozhat.

Béta-2 mikroglobulin ($\beta 2$ -mikroglobulin, $\beta 2M$ vagy $\beta 2M$): A vérben található kisméretű fehérje. Aktív mielómában a szintje magas lehet. A mielóma korai stádiumában és/vagy inaktív betegség esetén a szintje alacsony vagy normális lehet. A mielómás betegek körülbelül 10%-ában nem termelődik $\beta 2M$. A relapszus időpontjában a $\beta 2M$ már azelőtt emelkedni kezd, mielőtt a mielómafehérje szintjében bármilyen változás állna be. Más tényezők, pl. vírusfertőzés néha előidézhethet emelkedett szérum $\beta 2M$ szintet.

Bizonytalan jelentőségű monoklonális gammopátia (Monoclonal Gammopathy of Undetermined Significance, MGUS):

Egy plazmasejtbetegség, amely viszonylag alacsony vér és/vagy vizelet monoklonális proteinszinttel jár. A csontvelői plazmasejtek aránya alacsony (<10%). A mielómával kapcsolatos tünetek (azaz anémia, veseelégtelenség, hiperkalcémia és lítikus léziók) nem állnak fenn.

C-reaktív protein (CRP): Egy májban termelődő fehérje, amelynek szintje a szervezetben lévő gyulladás esetén megemelkedik.

Citokinek: A sejtek által termelt fehérjék, amelyek más sejtek szaporodását/aktivitását stimulálják vagy gátolják. A citokinek helyben termelődnek (pl. a csontvelőben) és a véráramba jutva keringenek a szervezetben. Normál körülmények között a fertőzésre adott válasz során termelődnek.

Csontvelő: A csontok belsejében lévő puha, szivacsos állomány, amelyben a fehérvérsejtek, a vörösvérsejtek és a vérlemezék termelődnek. Ebben a szövetben halmozódnak fel a mielómát okozó kóros plazmasejtek.

Extramedulláris plazmocitoma: Monoklonális plazmasejtekből álló, a csontvelőn kívül, a csonttól függetlenül, a lágy szövetben kialakuló tumor.

Fehérvérsejtek (fvs): Általános kifejezés, amely a mikroorganizmusok, a fertőzések és az allergiát okozó anyagok elleni védekezésért felelős különböző sejtekre utal. Ezek a sejtek a csontvelőben kezdenek fejlődni, majd más szervekbe is eljutnak. A fehérvérsejtek közé tartoznak a neutrofilok, a granulociták, a limfociták és a monociták.

Fluoreszcens in situ hibridizáció (FISH): Egy olyan eljárás, amelynek segítségével a kutatók meg tudják határozni bizonyos DNS szekvenciák helyét a kromoszómákon.

Hiperkalcémia: A kalcium normálisnál magasabb szintje a vérben. A mielómás betegekben ezt általában a csontlebontás okozza, aminek következtében a csontból a kalcium a véráramba jut. Ez az állapot számos tünettel járhat, például étvágytalansággal, hányingerrel, szomjúsággal, fáradékonysággal, izomgyengeséggel, nyugtalansággal és zavartsággal. Lásd „**Kalcium**.”

IgD, IgE: A mielóma két ritkábban előforduló formája. Lásd „**IgG, IgA.**”

IgG, IgA: A mielóma két leggyakoribb típusa. A G és az A a mielómasejtek által termelt fehérje típusára utalnak. A mielómafehérje, amely egy immunglobulin, két nehézláncból (például G típusból) és két könnyű, kappa vagy lambda láncból áll. Ezért a mielóma két leggyakoribb altípusában a nehézláncok típusa azonos (pl. IgG kappa és IgG lambda). A „nehéz” és a „könnyű” a fehérje méretére, illetve molekulasúlyára utal, a nehézláncok nagyobbak, mint a könnyűláncok.

IgM: Általában Waldenström makroglobulinémiához társul. Ritka esetekben IgM mielóma is előfordulhat.

Immunfixációs elektroforézis (IFE): Szérumból vagy vizeletből történő fehérjekimutatásra szolgáló immunológiai vizsgálat. A mielómás betegeknél ezzel mutatják ki az M-protein típusát (IgG, IgA, kappa vagy lambda). Ez a legérzékenyebb rutin immunfestési eljárás, amellyel pontosan azonosítható az M-protein nehéz- és könnyűláncának típusa.

Immunglobulin (Ig): A plazmasejtek által termelt fehérje, a szervezet immunrendszerének egyik alapvető eleme. Az immunglobulinok az idegen anyagokhoz (antigénekhez) kötődnek, és segítenek az elpusztításukban. Az immunglobulinokat IgG, IgA, IgD, IgE és IgM osztályokba (izotípusokba) sorolják. Az immunglobulinokat nem orvosi szakszóval „antitestnek” nevezik.

Immunrendszer: A sejtes immunválaszért felelős, antitesttermelő szervek és sejtek komplex csoportja, amely megvédi a szervezetet az idegen anyagoktól, baktériumoktól, vírusoktól, toxinoktól és a daganatos betegségektől.

Indukciós kezelés: Újonnan diagnosztizált mielóma esetén a kezdeti, a remisszió elérését célzó kezelés. Néha „kezdeti” kezelésnek is hívják.

Kalcium: Főként a csontmátrix kemény részében, illetve a hidroxipatitban megtalálható ásvány. Ha túl sok termelődik, illetve szabadul fel belőle, akkor megemelkedik a vér kalciumszintje. Lásd „**Hiperkalcémia.**”

12. táblázat Szupportív kezelés

TÜNET	KEZELÉS	MEGJEGYZÉSEK
Fáradékonyság és gyengeség az anémia miatt	- Súlyos anémia esetén vérátömlesztés (csomagolt vörösvértest készítmény: csökkentett fehérvérszettartalommal és vírusokra megsűrűve) - Eritropoetin, ha az anémia enyhe vagy középsúlyos és terápiával előidézhető a vörösvértesttermelés	A kezelések egyszerűek, általában nagyon hasznosak és fokozzák a jól-lét érzést.
Csontfájdalom	- Biszfoszfonát (pl. pamidronate 90 mg iv. 2–4 óra alatt beadva, havonta; zoledronsav 4 mg iv. 15–45 perc alatt beadva havonta) - Fájdalomcsillapító gyógyszerek szükség szerint (pl. acetaminofen, szájon át adható morfinszármazékok, fentanil)	A csontfájdalom csökkentése fontos, mert fokozza a fizikai aktivitást, aminek következtében a csont megerősödik és beindulnak a gyógyulási folyamatok, valamint javul a pszichés állapot is. A krónikus biszfoszfonátkezelés károsíthatja a vesét, az állcsontot, azonban ezek ritkán fordulnak elő. A megelőzés kulcsa a tudatosság.
Láz és/vagy fertőzés jelei	- Megfelelő antibiotikumkezelés - Szükség esetén filgrastim az alacsony fehérvérsejtszám növelésére - Súlyos fertőzések esetén intravénás gammaglobulin - Vizsgálatokat kell végezni a fertőzés pontos típusának azonosítására (kivéve veszélyes biopszia/tenyésztés esetén)	Bár az antibiotikumokat körültekintően kell kiválasztani és használni, kiemelkedően fontos a fertőzések azonnali kezelése. Ajánlott, hogy legyen a betegnél vészhelyzet esetére (különösen utazáskor) antibiotikum.
Emésztőrendszeri mellékhatások	- A hányinger, a hányás, a székrekedés vagy a hasmenés kezelésére szolgáló megfelelő gyógyszerek. - Fontos a megfelelő folyadékbevitel és tápláltság fenntartása	A tüneteket meg kell beszélni az egészségügyi szakemberekkel; súlyos tünetek esetén kórházi kezelésre lehet szükség.
Vérrögzépződés és tromboembóliás események	- A vérrögzépződés sürgős orvosi beavatkozást igénylő esemény; a kezelést az adott esemény és a beteg kockázati tényezői alapján határozzák meg - Aszpirin vagy véralvadásgátló gyógyszerek felírhatók	A kockázat csökkenthető testmozgással, fogyással és a dohányzás elhagyásával.
Perifériás neuropátia	- Fájdalomcsillapítók - A dózis, az adagolási séma és/vagy a beadás módjának megváltoztatása - Fizikoterápia, vitaminok és egyéb kiegészítők	A tüneteket meg kell beszélni az egészségügyi szakemberekkel. Korai beavatkozással megelőzhető a tartós károsodás és lehetővé válik a kezelés folytatása. A dózist saját magának ne módosítsa. Ne szedjen étrendkiegészítőket anélkül, hogy azt megbeszélné orvosával.
Szteroidok mellékhatásai	- Kora reggel kell bevenni, étkezéssel együtt - Figyelní kell a fertőzés és a vércukorszint változások jeleire - Övsömör és a gombás fertőzések elleni gyógyszerek	A mellékhatásokról és a tünetekről számoljon be az egészségügyi szakembernek. A dózist saját magának ne módosítsa, illetve ne állítsa le a gyógyszer szedését.

Kérjük, hogy a vérrögzépződés, a tromboembóliás események és a perifériás neuropátia megelőzésére, valamint a csontvelősuppresszió, a szteroidkezelés mellékhatásainak, illetve az emésztőrendszeri mellékhatások kezelésére vonatkozó betegtájékoztatókért látogasson el a myeloma.org weboldalra vagy forduljon az IMF-hez.

Klinikai vizsgálat: Egy új gyógyszerrel, betegek bevonásával végzett kutatási célú vizsgálat. A vizsgálatokat úgy építik fel, hogy azok alapján jobb megoldásokat találjanak a daganatos megbetegedés megelőzésére, kimutatására, diagnosztizálására vagy kezelésére, illetve, hogy alkalmasak legyenek tudományos kérdések megválaszolására.

- **Kontrollcsoport** – A randomizált klinikai vizsgálat azon csoportja, amelynek betegei a standard kezelésben részesülnek vagy placebót (hatóanyag nélküli készítményt) kapnak.
- **Kísérleti csoport** – A randomizált klinikai vizsgálat azon csoportja, amelynek betegei a vizsgált új készítményt kapják.
- **Randomizált klinikai vizsgálat** – Olyan kutatási célú vizsgálat, amelyben random módon osztják be a betegeket az egyes kezeléseket kapó csoportokba.
- **Kar** – Egy randomizált vizsgálat egyik kezelési csoportja. A randomizált vizsgálatok többsége kétkarú, de lehet több karú is egy vizsgálat.
- **Végpont** – A vizsgálat célja; amit a klinikai vizsgálat szerethetnének lemérni vagy kimutatni. Jellemző végpontok lehetnek a toxicitás mérése, a válaszarány és a túlélés.
- **Kettős vak** – A randomizált vizsgálatok egyik típusa, amelyben sem a résztvevő, sem a vizsgáló nem tudja, hogy az adott beteget melyik karba osztották be. Ennek az a célja, hogy kiküszöbölje az eredmények torzítását.
- **I-es fázisú vizsgálat** – Az ilyen vizsgálatban egy új gyógyszer vagy gyógyszerkombináció maximális tolerálható adagját határozzák meg. Ez általában egy új gyógyszer első kipróbálása emberen, bár a kombinációs kezelések I-es fázisú vizsgálatain esetén előfordulhat, hogy a kombináció elemeit már széleskörűen tesztelték. Az I-es fázisú vizsgálatokban résztvevő betegek általában semmilyen standard kezelésre nem reagáló, előrehaladott daganatos betegségben szenvednek. Egy tipikus I-es fázisú vizsgálatban egymást követő, 3–6 tagú betegcsoportoknak (ún. „kohorszoknak”) adagolják a kezelést. A kohorszban lévő minden beteg azonos dózist kap. Az első kohorsz általában nagyon alacsony adagot kap, majd az adagot minden soron következő kohorsznál emelik addig, amíg egy meghatározott számú betegnél nem tapasztalnak dóziskorlátozó toxicitást. Az előző kohorsz számára adott dózisszint lesz a maximális tolerálható adag. Ezt az adagot használják fel ezt követően egy II-es fázisú vizsgálatban.
- **II-es fázisú vizsgálat** – Ezekben a vizsgálatokban az I-es fázisú vizsgálatnál már tesztelt új gyógyszer válaszarányát határozzák meg. Általában egy típusú daganatos betegségben szenvedő 14–50 beteget kezelnek, és

figyelik, hogy hányan reagálnak a kezelésre. Általában olyan előrehaladott daganatos betegeket vonnak be ezekbe a vizsgálatokba, akik semmilyen szokásos kezelésre nem reagálnak, és betegségük valamilyen módon mérhető. Ha a II-es fázisú vizsgálat eredményei ígéretesek, akkor a kezelést lehet vizsgálni egy III-as fázisú vizsgálatban. Ha az eredmények nyilvánvalóan sokkal jobbakként mutatkoznak a szokásos kezelés esetén, akkor előfordulhat, hogy nincs szükség III-as fázisú vizsgálatra, és a kezelés a II-es fázisú vizsgálat eredményei alapján engedélyezik szokásos kezelésként.

- **III-as fázisú vizsgálat** – Ezekben a vizsgálatokban két vagy több szert vagy kombinációt hasonlítanak össze egy adott típusú és stádiumú daganatos betegség kezelésében. A III-as fázisú vizsgálatok végpontja általában a túlélés vagy a betegségmentes túlélés. A III-as fázisú vizsgálatok általában randomizáltak, így a betegek nem választhatják ki, hogy melyik kezelést fogják kapni. A III-es fázisú vizsgálatokba általában 50–1000 beteget vonnak be. Néhány III-as fázisú vizsgálatban a II-es fázisú vizsgálatban jó eredményt mutató új kezelést egy régebbi, jól ismert, szokásos kezeléssel hasonlítják össze. Más III-as fázisú vizsgálatokban már szokásosan használt készítményeket hasonlítanak össze. A III-as fázisú vizsgálatokban alkalmazott néhány kezelés a klinikai vizsgálaton kívül is elérhető lehet.
- **IV-es fázisú vizsgálat** – További vizsgálatokra akkor is szükség lehet, ha az Amerikai Egyesült Államok Élelmiszer és Gyógyszerfelügyeleti Hatósága (Food and Drug Administration, FDA) már engedélyezte az adott gyógyszert egy meghatározott indikációban történő használatra. A IV-es fázisú klinikai vizsgálatokat a szabályozó hatóságok rendelhetik el, vagy egy szponzor végeztetheti különböző okokból. Például biztonsági utánpótlásra van szükség egy ritka vagy hosszú távú kezelés során jelentkező mellékhatásról egy nagyméretű populációban hosszabb időn keresztül, ami nem volt kivitelezhető az I–III-as fázisú vizsgálatok folyamán.

Könnnyűlánc: Az immunglobulin könnyűlánc az antitest (immunglobulin) két egysége közül a kisebbik. A könnyűláncok kémiai kötésekkel a nehézláncok végeihez kapcsolódnak, de a szervezet olyan extra könnyűláncokat termel, amelyek bejutnak a vérkeringésbe. Ezeket „szabad könnyűláncnak” hívják. A könnyűláncoknak két típusa van: kappa és lambda.

Laktát-dehidrogenáz (LDH): Egy energiatermelő enzim, amely a szervezet majdnem minden szövetében jelen van. A vérben az LDH szintje sejtkárosodás esetén emelkedik. Az LDH szint segítségével monitorozható a mielóma aktivitása.

Lézió: Kóros szövet. Egy sérülés vagy betegség, például rák által okozott daganat vagy tályog. A mielóma esetén a „lézió” szó a plazmocitómára vagy a csontban lévő üres területre utal.

Lítikus (lízis): A sejtek vagy a szövetek pusztulása vagy feloldódása.

Lítikus léziók: A csont sérült területe, amely a röntgenfelvételen fekete foltnak látszik, ha az egészséges csont legalább 30%-a már elpusztult. A lítikus elváltozások a csontokban lévő lyukak, amelyek miatt a csont gyengül.

Malignus: Rákos, rosszindulatú; képes a környező szövet beszűrésére és a szervezet más részébe történő terjedésre.

Monoklonális: Egyetlen sejt klónja vagy másolata. A mielóma egyetlen rosszindulatú plazmasejtből alakul ki (monoklonális). A mielómafehérje típusa szintén monoklonális; egy fajta típus termelődik, nem sok különböző (poliklonális). A monoklonális fehérje fontos gyakorlati jelentősége, hogy a szérum elektroforézis vizsgálatokon éles csúcsként (M-csúcsként) jelenik meg.

Monoklonális fehérje (M-protein): A mielómasejtek által termelt kóros fehérje, amely felhalmozódik a csontban és a csontvelőben és károsítja azt. Az M-protein magas szintje arra utal, hogy nagy számú mielómasejt van jelen.

Mielóma-meghatározó események (Myeloma-defining events, MDE): A betegség 18 hónapon–két éven belüli tünetekkel járó mielómába történő progresszióját előre jelző biológiai marker.

Nonszekretoros mielóma: A mielómás betegek körülbelül 1%-ánál nem mutatható ki az M-protein sem a vérben (szérumban) sem a vizeletben. E betegek közül néhány sikeresen monitorozható a szérum könnyűlánckimutatásra szolgáló próbákkal, másoknál csontvelőbiopsziát és/vagy PET/CT vizsgálatot alkalmaznak. A nonszekretoros mielómában szenvedő betegek kezelése megegyezik az M-proteint termelő betegek kezelésével.

Oszteoblaszt: Csontszövettermelő csontsejt. Az oszteoblasztok oszteoidot termelnek, amelyekbe kalciumtartalmú ásványok rakódnak le, és így képződik az új kemény csont.

Oszteoklaszt: A csont és a csontvelő határán található sejtek. Ezek az előregedett csontszövet lebontásáért, illetve átépítéséért felelősek. Mielómában az oszteoklasztsejtek túlzott stimulációnak vannak kitéve, az oszteoblasztok aktivitása pedig gátolva van. A felgyorsult csontfelszívódás és az új csontképződés gátlása lítikus elváltozások kialakulását eredményezi.

Perifériás neuropátia (PN): A kéz, a láb, a lábszár és/vagy a kar zsibbadása, bizsergése és/vagy fájdalma.

Plazmasejtek: Speciális, antitesteket (immunglobulinokat) termelő fehérvérsejtek. A mielóma a plazmasejtek daganatos megbetegedése. A rosszindulatú plazmasejtet mielómasejtnak hívják. Mielómában a

rosszindulatú plazmasejtek nagy mennyiségű kóros antitestet termelnek, amelyek hatástalanok a fertőzések elleni küzdelemben. Ezek a kóros antitestek a monoklonális fehérjék vagy M-proteinek, amelyek a mielóma esetén tumormarkerként is funkcionálnak. A plazmasejtek más kémiai anyagokat is termelnek, amelyek szövet- és szervkárosodást eredményeznek (azaz anémia, vesekárosodás és idegkárosodás).

Plazmocitóma: Lásd „**Extramedulláris plazmocitóma**” és „**Szoliter csont plazmocitóma**.”

Progressziómentes túlélés (Progression-free survival, PFS): Egy beteg túlélésének javulása, ami közvetlen kapcsolatban áll a mielóma kezelésére alkalmazott szerekkel. A beteg túlélésének azon időtartama, amely alatt a mielóma nem újul ki, illetve a beteg nem esik vissza. Lásd „**Progresszív betegség**.”

Progresszív betegség: A vizsgálatok alapján rosszabbodó vagy kiújuló betegség. A mielómafehérje szint válaszádkor mért legalacsonyabb igazolt értéke $\geq 25\%$ -kal növekszik és/vagy a betegség új jele alakul ki.

Smoldering mielóma multiplex (SMM): A SMM a MGUS-nál súlyosabb szintű betegség, azonban még mindig nem aktív mielóma, és nem állnak fenn a szervkárosodásra utaló CRAB jellemzők. A standard kockázatú SMM-mel diagnosztizált betegeknél nincs szükség kezelésre, azonban rendszeres onkohematológiai megfigyelést igényelnek. A nagy kockázatú SMM-mel diganosztizált betegek dönthetnek úgy, hogy részt vesznek egy klinikai vizsgálatban.

Szabad könnyűlánc: A monoklonális fehérje egyik kis molekulásúlyú része. Előfordulhat nehézlánchoz kötve vagy szabadon. A szabad könnyűláncok egy Freelite® teszt nevű nagy érzékenyséű próbával mérhetők.

Szoliter csont plazmocitóma (Solitary plasmacytoma of bone, SPB): Egy monoklonális plazmasejtekből álló, elkülönült, egyetlen csonttumor. A szoliter csont plazmocitóma diagnózisa akkor állítható fel, ha van egy önálló csontelváltozás, egy biopsziás lelet, amelyen látható a plazmasejtes beszűrődés; a képalkotó vizsgálati leletek további csontelváltozásokra nézve negatívak; a random levett csontvelőmintában nem láthatók klonális plazmasejtek, illetve nem áll fenn a szisztémás mielómára utaló anémia, hiperkalcémia vagy veseérintettség.

Teljes túlélés (Overall survival, OS): Egy daganatos betegségben szenvedő betegcsoport esetén ez a kifejezés a túlélési esélyeket határozza meg. Arra utal, hogy a csoportban átlagosan hány ember él túl valószínűleg egy bizonyos időtartamot. Általános szinten a teljes túlélés a gyógyulási arányt mutatja. A teljes túlélést klinikai vizsgálatokban gyakran alkalmazzák a kezelés hatásosságának megítélésére.

Transzplantáció (átültetés): A transzplantációnak több különböző típusa létezik.

- **Perifériás őssejt-transzplantáció (Peripheral blood stem cell, PBSC)** – Az orvosok a rákos sejtek elpusztítását célzó nagy dózisú kemoterápia előtt a beteg véréből (nem a csontvelőjéből) kivonják az egészséges őssejteket, és tárolják azokat. Az őssejteket a kezelés után visszaadják a betegnek, és azok új vörösvérsejteket termelnek a kezeléssel elpusztított sejtek helyére. Az autológ (saját) perifériás vérből végzett őssejt-transzplantáció esetén könnyebb az őssejtek levétele, és gyorsabb az átültetés utáni felépülés, mint csontvelő-átültetés esetén.
- **Autológ transzplantáció** – A beteg véréből leveszik az őssejteket, majd intenzív kezelést követően visszaadják azokat a betegnek.
- **Csontvelő-transzplantáció** – Ennél az eljárásnál az őssejteket a csontvelőből veszik le, majd azokat infúzióban visszaadják a betegnek. Ezt a kifejezést ma a mielómával kapcsolatosan ritkábban használják, mivel az őssejteket ma inkább a perifériás, keringő vérből veszik le.
- **Allogén (allograft) transzplantáció** – A csontvelő vagy az őssejtek infúziója egy személyből (donorból) egy másikba (recipiens). A beteg csontvelőt vagy őssejteket kap egy összeillő, azonban genetikailag nem teljesen azonos donortól. A betegnél HLA vizsgálatot végeznek, amivel megállapítható, hogy van-e számára alkalmas, egyező donor. A donor lehet egy családtag vagy egy donornyilvántartó rendszeren pl. a Nemzetközi Csontvelődonor Programon (National Marrow Donor Program, NMDP-n) keresztül kiválasztott személy. Ritkán a donorsejtek beszerezhetők a köldökzsinórvérbankból is.
- **Csökkent intenzitású kondicionálás (Reduced-intensity conditioning, RIC) allo transzplantáció** – Újabb, és a mielóma esetén biztonságosabb eljárás, mint az allogén transzplantáció. A RIC nem myeloablatív, csökkentett intenzitású, „mini-allo” transzplantáció, amit egy standard autológ transzplantációt követő 180 napon belül kell elvégezni.
- **Tandem transzplantáció** – Kettős transzplantáció. Ez lehet két autológ transzplantáció vagy egy autológ majd egy allogén (donor) transzplantáció. A kettős transzplantációt általában 3–6 hónap különbséggel tervezik. A kettős transzplantáció ritkábbá vált a hatásos új kezelések korában.
- **HLA-egyező nem rokon donor transzplantáció** – Olyan transzplantáció, ahol a betegbe ültetett őssejtek genetikailag megfelelőek, de nem rokon donorból származnak. Ez az eljárás a mielómás betegeknek nem javasolt, mivel elfogadhatatlanul nagy halálozási aránnyal jár.
- **Szingén transzplantáció** – A csontvelő vagy az őssejtek infúziója egy egypetéjű ikerpár egyik tagjából a másikba.

- **Köldökzsinórvér transzplantáció** – Az újszülöttkori köldökzsinórvérből levett őssejtek beültetése. A újszülöttkorban levett őssejteket lefagyasztva tárolják köldökzsinórvér bankokban.

Tumor: A túlzott sejtosztódás következtében kialakult kóros szövettömeg.

Tünetmentes mielóma: Olyan mielóma, amely nem jár panaszokkal; korai stádiumú mielóma. Lásd „**Smoldering mielóma multiplex (SMM)**.”

Vakcina: Elölt, élő gyengített vagy virulens mikroorganizmusokat tartalmazó készítmény, amelyet egy adott betegség elleni immunitás mesterséges kialakítása vagy fokozása érdekében adnak be.

Vérlemezke: Az egyik a három fő véralkotóelem közül. A másik kettő a vörösvérsejt és a fehérvérsejt. A vérlemezkéket eltömeszelik az érfal sérüléseit, és a véralvadék kialakulásához szükséges anyagokat termelnek. A vérlemezkéket a véralvadás legfontosabb szereplőit. Trombocitáknak is hívják őket.

Vírus: Kisméretű élő részecske, amely megfertőzi a sejteket és megváltoztatja azok működését. Egy vírusfertőzés következtében az érintett betegnél tünetek alakulhatnak ki. Az okozott betegség és a kialakuló tünetek a vírus és a megfertőzött sejtek típusától függ.

Vörösvérsejtek (vvs, vvt, eritrociták): A vér hemoglobintartalmú sejtjei, amelyek oxigént szállítanak a szervekhez és elszállítják onnan a szén-dioxidot. A vörösvértesttermelést egy vesében termelődő hormon (eritropoetin) szabályozza. A károsodott veseműködésű mielómás betegek veséje nem termel elegendő mennyiségű eritropoetint, ezért a betegek anémiásakká válhatnak. A mielómás betegek azért is vérszegényekké válhatnak, mivel a mielómasejtek gátolják a csontvelőben a vörösvértesttermelést.

Waldenström makroglobulinémia (WM): A plazmasejteket érintő ritka, indolens limfóma. Nagy mennyiségű IgM fehérje termelődésével jár. Nem tartozik a mielómák közé.

10 STEPS TO BETTER CARE®

EGYEDÜLÁLLÓ SEGÉDESZKÖZ A DIAGNOSZTIKÁRA ÉS A KEZELÉSRE VONATKOZÓ INFORMÁCIÓKHOZ

A mielóma multiplex diagnózisának egyik legijesztőbb aspektusa, hogy meg kell ismerni – és érteni – egy ismeretlen és meglehetősen bonyolult betegséget. A 10 Steps to Better Care® (10 lépés a jobb ellátásért) végigvezeti Önt a diagnózistól a hosszú távú túlélésig tartó úton:

1. Ismerje meg, mivel áll szemben. Szerezze meg a pontos diagnózist.
2. Az alapvető vizsgálatok.
3. A kezdeti kezelési lehetőségek.
4. Ismerje meg a támogató kezelési lehetőségeket, valamint azok elérhetőségét.
5. Transzplantáció: szükség van rá?
6. A válasz értékelése: hatásos a kezelés?
7. Konszolidációs és/vagy fenntartó kezelés.
8. A mielóma követése: monitorozás rejtélyek nélkül.
9. Relapszus: változtatni kell a kezelésen?
10. Új klinikai vizsgálatok: hogyan találhat rájuk?

A betegség és a diagnózis jobb megértéséhez keresse fel a **10steps.myeloma.org** weboldalt, és haladjon végig a lépéseken ahhoz, hogy megismerje a legjobb vizsgálatokat, kezeléseket, szupportív kezeléseket és az aktuálisan elérhető klinikai vizsgálatokat.

Az International Myeloma Foundation (IMF) mindig arra bátorítja Önt, hogy minden egészségügyi problémát alaposan beszéljen meg orvosával. Az IMF segít Önnek és biztosítja a mielóma megértéséhez és a kezelés jobb vezetéséhez szükséges eszközöket. Látogasson el az IMF weboldalára a myeloma.org-ra vagy hívja az IMF Infóvonalát a +1 818-487-7455-ös számon, ahol képzett tájékoztató szakembereinkkel megbeszélheti kérdéseit vagy aggályait. Az IMF mindig Ön mellett áll és segít.

