



Patient- handbok

2016 års upplaga

Sammanställd av medicine doktor
Brian G.M. Durie



Publicerad av **International Myeloma Foundation**

Förbättrar liv På väg mot ett botemedel



Om International Myeloma Foundation

International Myeloma Foundation (IMF) grundades 1990 och är världens mest långlivade och största myelomspecifika välgörenhetsorganisation. IMF har mer än 350 000 medlemmar i 140 länder och hjälper såväl myelompatienter och anhöriga som sjukvårdspersonal. IMF organiserar en lång rad program inom områden som **forskning, utbildning, support** och **förespråkande**:

FORSKNING IMF är ledande inom global samarbetsinriktad myelomforskning. Sedan 1995 har IMF finansierat mer än 100 projekt med de främsta forskarna. IMF sammanför även världens främsta experter genom International Myeloma Working Group (internationella myelomarbetsgruppen, IMWG), som lägger ut kursen mot ett botemedel, agerar som mentorer åt nästa generations innovativa forskare och förbättrar människors livsförhållanden genom bättre vård.

UTBILDNING IMF håller utbildningsseminarier och workshops i hela världen. Vid dessa möten får myelompatienter och deras anhöriga aktuell information direkt från de främsta specialisterna och forskarna. IMF:s samlade publikationer för patienter, vårdgivare och sjukvårdspersonal finns tillgängliga utan kostnad på engelska och på ett flertal andra språk.

SUPPORT På IMF:s InfoLine finns samordnare som svarar på frågor och ger support och information via telefon och e-post till tusentals familjer vare år. IMF arbetar med ett nätverk med över 150 stödgrupper och utbildar hundratala målmedvetna patienter, vårdgivare och sjuksköterskor som på volontärbasis leder grupper på det lokala planet.

FÖRESPRÅKANDE Såväl globalt som på nationell och delstatlig nivå i USA utbildar och stödjer IMF engagerade människor som har ett positivt inflytande på sjukvårdsfrågor relaterade till myelom. Tusentals IMF-utbildade entusiaster arbetar med att förbättra patienternas tillgång till myelomläkemedel.

Lär dig mer om hur IMF hjälper till att förbättra livskvaliteten för myelompatienter samtidigt som vi arbetar mot förebyggande och botemedel. Kontakta oss på **+1 818-487-7455**, eller besök oss på **myeloma.org**.

Förbättrar liv På väg mot ett botemedel

Innehåll

Inledning	4
Steg 1: Var medveten om vad du har att göra med. Få rätt diagnos.	4
Vad är myelom?	4
Grundläggande fakta om myelom	6
Därför måste myelom behandlas	6
Så uppstår hälsoproblemen i samband med myelom	7
Steg 2: Test som du verkligen bör utföra.	9
Olika typer av myelom	9
Myelomets olika stadier	9
Test vid diagnos	11
Steg 3: Alternativ för inledande behandling.	11
Inledande behandling eller frontlinjebehandling	11
Steg 4: Om stödjande vård och hur du får den.	13
Om frontlinjebehandling inte fungerar	14
Frågor som du bör ställa till din läkare	14
Avslutningsvis	15
Termer och definitioner	20

Inledning

International Myeloma Foundation (IMF) arbetar med att utbilda och ge stöd åt patienter och anhöriga.

En av de svåraste sakerna med att bli diagnostiserad med multipelt myelom är att man snabbt måste ta in och förstå mängder av information om en främmande och ganska komplicerad sjukdom. Patienter och deras närstående känner ofta att de plötsligt klivit in i en ny värld där deras gamla ordförråd inte längre gäller. IMF:s *Patienthandbok* avser att leda dig genom den här "nya världen" och förse dig med verktyg som du behöver för att förstå och hantera ditt myelom på bästa möjliga sätt.

IMF:s *Patienthandbok* fokuserar på de första stegen som behöver tas efter att myelom har upptäckts. Mer information om ämnen som transplantation, stödjande vård, individuella läkemedel, vad som behöver göras vid ett återfall och kliniska studier finns tillgänglig i andra broschyrer från IMF på myeloma.org. Om du har frågor eller funderingar kan du kontakta IMF:s InfoLine via e-post på InfoLine@myeloma.org, eller genom att ringa +1 800-452-2873 avgiftsfritt i USA och Kanada eller +1 818-487-7455 från andra länder. IMF finns här för att hjälpa dig.

Steg 1: Var medveten om vad du har att göra med. Få rätt diagnos.

Vad är myelom?

Multipelt myelom är en typ av cancer i benmärgens plasmaceller. I den här broschyren omnämns multipelt myelom som "myelom" eftersom myelom kännetecknas av flera inblandade områden och ordet "multipelt" därmed blir överflödigt. Avsikten med den här broschyren är att ge grundläggande information om och förslag på vad du kan göra för att klara av att leva med sjukdomen.

Trots att det för närvarande inte finns något botemedel för myelom rör det sig ändå om en i högsta grad behandlingsbar sjukdom. Många patienter lever ett fullvärdigt och produktivt liv flera år, eller till och med decennier, efter att de får diagnosen. Tack vare en ökande mängd forskningsinsatser blir utsikterna för patienterna hela tiden bättre och bättre. Med djupare kunskap om sjukdomen och bättre förståelse av hjälpåtgärder minskar oron så att det blir enklare att acceptera diagnosen.

Myelom är en högst individuell sjukdom.

Myelom utvecklas ofta långsamt men kan ibland vara mycket aggressiv. En skicklig myelomspecialist kan avgöra vilket tillvägagångssätt som passar bäst för din specifika situation. Om det inte finns

Tabell 1. Definitioner av MGUS och myelom

NAMN	DEFINITION
Monoklonal gammopati av oklar signifikans (MGUS)	• Monoklonalt protein finns, men vanligtvis mindre än 3,0 g/dl • Inga CRAB-egenskaper eller andra indikatorer på aktivt myelom • Mindre än 10 % monoklonala plasmaceller i benmärgen
Indolent multipelt myelom (SMM, Smoldering Multiple Myeloma)	• Högre sjukdomsnivå än MGUS: M-komponent i serum ligger på över 3,0 g/dl och/eller andelen plasmaceller i benmärgen ligger mellan 10 och 60 % • Inga CRAB-egenskaper eller andra indikatorer på aktivt myelom
Tidigt aktivt myelom	• > 60 % plasmaceller i benmärgen • Proportion fria lätta kedjor > 100 • > 1 fokal lesion i MRT
Aktivt myelom	• Monoklonalt protein finns • Minst en CRAB-egenskap och/eller indikatorer på organskador*

***Organskador klassade som CRAB** eller annat signifikant kliniskt problem i anslutning till myelomprogression som till exempel återkommande infektioner eller neuropati som inte är relaterade till behandlingen

C – höjda nivåer av kalcium (calcium) (> 10 mg/dl)

R – renal dysfunktion (kreatinin > 2 mg/dl eller kreatininrensning < 40 ml/min)

A – anemi (hemoglobin < 10 g/dl eller > 2 g/dl minskning jämfört med patientens normala nivå)

B – skelettsjukdom (bone disease) (en eller fler osteolytiska lesioner upptäcks genom skelettröntgen, WBLC-CT eller PET-CT)

Minst en CRAB-egenskap eller andra signifikanta problem krävs för diagnos av symtomatiskt myelom

någon myelomspecialist i din närhet bör du söka upp en specialist som sedan kan arbeta tillsammans med din lokala läkare. Det är sjukvårdspersonalens ansvar att bedöma varje specifik situation och rekommendera tillvägagångssätt, men även patienten själv spelar en central roll för att underlätta korrekta individuella behandlingsbeslut. Det är viktigt att patienter och anhöriga är korrekt informerade, ställer frågor och tänker igenom alternativa strategier och valmöjligheter. Ett av IMF:s nyckelbudskap är "Kunskap är makt". Kunskap om din sjukdom hjälper dig att ta de bästa besluten.

Myelom är bokstavligt talat en "om", dvs. en tumör, som berör "myelo", dvs. blodproducerande celler i benmärgen. De berörda cellerna är plasmaceller (en typ av vita blodkroppar) som är våra antikroppsproducerande (immunglobulinproducerande) celler. En elakartad eller cancerartad plasmacell kallas för myelomcell. Myelom benämns som "multipelt" eftersom det ofta växer på flera platser i benet. Myelom kan uppträda i form av en tumör och/eller ett område med benförlust. I båda fallen kallas tumören eller hålet i benet för "lesion". Områden med benförlust orsakad av myelom kallas för "lytiska lesioner". Det enda fall då ett myelom inte är "multipelt" är när det rör sig om "solitärt plasmocytom". Det är det ovanliga tillstånd då en enskild myelomtumör uppträder antingen inuti eller utanför benmärgen.

Myelom påverkar de platser där benmärgen normalt är aktiv hos vuxna. Denna benmärg finns i ihåliga utrymmen inuti benen i ryggraden, kraniet, bäcken, revbenen och områdena runt höft och axlar. De områden som vanligtvis inte drabbas är extremiteterna: händerna, fötterna och områdena långt ner på armarna och benen. Det här är mycket viktigt eftersom funktionen hos dessa kritiska områden vanligtvis inte påverkas alls.

Myelom kan upptäckas i ett precanceröst stadium (se tabell 1). I vissa fall bildas myelomcellerna mycket långsamt i benmärgen. Det allra tidigaste stadiet kallas monoklonal gammopati av oklar signifikans (MGUS). Det är då inte fråga om cancer. I MGUS utgör myelomcellerna mindre än 10 % av benmärgscellerna. Risken för att MGUS övergår till aktivt myelom är mycket låg: den är inte större än 1 % vid varje årlig uppföljning. Även om andelen myelomceller är högre och ligger på 10–60 % av den

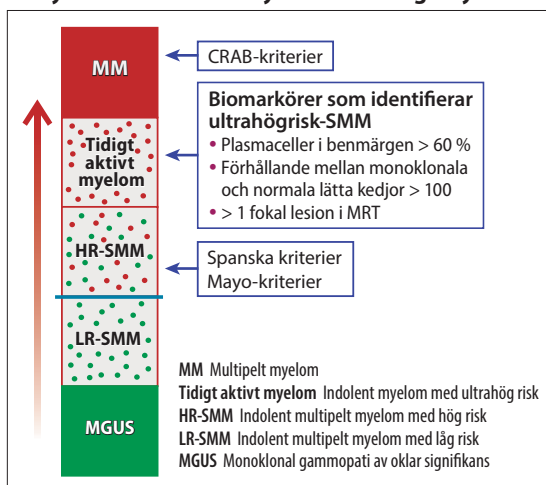
totala mängden benmärg kan tillväxttakten vara mycket långsam och visa sig som asymtomatiskt eller indolent multipelt myelom (SMM, smoldering multiple myeloma). Både MGUS och lågrisk-SMM kan förändras mycket långsamt över flera år och kräver ingen aktiv behandling. Lågrisk-SMM är varken MGUS eller högrisk-SMM. Det är mycket viktigt att ge en korrekt diagnos som skiljer MGUS och SMM från aktivt eller tidigt aktivt myelom, vilka kräver behandling.

Nya myelomdefinierande händelser (MDE, myeloma-defining events) har nyligen fastställts, nämligen:

- 1) Klargörande och uppdatering av laboratorie- och radiografivariabler som uppfyller kriterierna för närvaro av CRAB-symtom:
 - Kreatininrensning < 40 ml/min
 - Bildbevis på den aktiva sjukdomen om en eller fler osteolytiska lesioner syns på röntgenbilder av skelettet, WBLD-CT (helkroppsskiktröntgen med låg dos) eller PET-CT.
- 2) Bestämning av biomarkörer för identifiering av patienter med ultrahögrisk-SMM, vilket kräver behandling:
 - Plasmaceller i benmärgen > 60 %
 - Förhållandet mellan invecklade (monoklonala) och oinvecklade (normala) lätta kedjor > 100
 - > 1 fokal lesion i MRT.

Bild 1.

Nya definitioner av myelom och tidigt myelom



Var och en av dessa nya biomarkörer kan för sig förutsäga att en patient med SMM har en risk på minst 80 % att övergå till aktivt myelom och uppvisa symtom inom två år. Dessa patienter har tidigt myelom för vilket numera behandling rekommenderas. Patienter med högrisk-SMM utan MDE bör endast behandlas i anslutning till en klinisk studie.

Det finns för närvarande ingen allmänt accepterad definition av högriskmyelom, men i de flesta fall är definitionerna av högrisk-SMM som publicerats av såväl Mayo som de spanska grupperna godtagbara valbarhetskriterier för kliniska studier.

Patienter med normalrisk-SMM behöver ingen behandling men bör undersökas regelbundet under en hematologs eller onkologs överinseende.

Grundläggande fakta om myelom

Det finns flera saker som kan orsaka myelom eller aktivera en redan onormal eller skadad cellpopulation i förstadiet till myelom i benmärgen. Exponering för giftiga kemikalier, radioaktiv strålning, faktorer som hindrar eller stör immunsystemet samt infektion av cancerframkallande virus har alla visat sig orsaka eller aktivera myelom. Giftiga kemikalier som har identifierats i sammanhanget är bland annat bensen, dioxiner (som till exempel dioxiner i Agent Orange) och en rad jordbrukskemikalier, lösningsmedel, bränslen, motoravgaser och rengöringsmedel. Allvarliga fall av strålning är relativt ovanliga men har inträffat i Japan på platser för kärnvapenprov, vid reaktorer samt vid anläggningar för framställning. Ett flertal virus har identifierats, inklusive HIV (AIDS-virus), hepatitvirus och flera herpesvirus. Även vissa retrovirus, som till exempel SV40 (Simian Virus 40), ett smittämne vid beredning av poliovaccin, har visat sig påverka patogenes för myelom.

Det finns en viss ärftlighetstendens när det gäller myelom: cirka 5–7 % av myelomdiagnoserna inträffar hos patienter som har en nära familjemedlem som tidigare har diagnostiserats med MGUS eller myelom. Du kan tillfråga din läkare om eventuell screening eller tidig testning om du har en familjemedlem som har myelom eller MGUS.

Myelom drabbar vuxna. Myelom inträffar i genomsnitt i början eller mitten av 60-årsåldern. Endast 5–10 % av patienterna är under 40 år gamla. Myelom är vanligare bland män och i vissa etniska grupper.

Globalt finns det för närvarande ungefär 750 000 personer som lever med myelom.

Enligt National Cancer Institutes (NCI) program Surveillance, Epidemiology, and End Results (SEER, övervakning, epidemiologi och slutresultat) utgör myelom 1,8 % av alla nya fall av cancer. Uppskattningsvis 30 330 amerikaner diagnostiserades med myelom under 2016. Myelom är vanligare bland män än kvinnor (förhållandet för män kontra kvinnor är 1,44:1) och bland personer från vissa etniska grupper. Förekomsten av myelom ökar med åldern och varierar från land till land från mindre än 1 av 100 000 i Kina till cirka 4 av 100 000 i de flesta industrialiserade västländer. Tendenser visar att förekomsten av myelom växer på många platser i världen, särskilt i Asien.

Därför måste myelom behandlas

Myelom kan orsaka ett antal hälsoproblem som till exempel skelettskador, förhöjda nivåer av kalcium i blodet, låga blodvärden (framför allt anemi), infektionskänslighet och njurskador. Patienter med aktivt myelom och/eller MDE behöver därför behandlas för att undvika allvarliga hälsoproblem. Eftersom ryggradsbenen ofta drabbas, och eftersom de myelomproteiner som myelomcellerna producerar kan skada nerverna, är det vanligt med ryggrads- och nervproblem som kan kräva särskilt akut vård.

När en behandling av myelom påbörjas är det viktigt att skilja mellan olika typer av akuta problem, som till exempel skelettskador, infektioner, njurskador eller tryck på nerver, vilka kräver omedelbar vård, från den allmänna planeringen av sjukdomsbehandlingen. Ibland kan inte och bör inte akut vård skjutas upp. Vi rekommenderar dock att en hematolog/onkolog med kunskaper om myelom rådfrågas i ett tidigt skede. Till exempel kan alternativ för akut operation eller strålbehandling övervägas. Det är viktigt att hålla dörrarna öppna för alla olika framtida behandlingsalternativ.

När de akuta problemen har åtgärdats kan den allmänna planeringen diskuteras mer i detalj. Det finns ofta tid för att rådfråga en expert eller be om ett andra utlåtande för att på så sätt säkerställa att alla alternativ har tagits i beaktande. Även om planen verkar tydlig är det viktigt att minsta bekymmer, fråga eller tveksamhet kommer upp till ytan så snart som möjligt. Det är mycket viktigt att ha en gemensamt överenskommen plan med läkaren gällande den fortlöpande behandlingen.

Så uppstår hälsoproblemen i samband med myelom

Friska plasmaceller producerar immunglobuliner, dvs. ett slags komplexa proteiner som även

kallas antikroppar. Myelomceller utvecklar inte normal fungerande antikroppar, utan producerar i stället ett onormalt immunglobulin som kallas monoklonalt protein. Den här förändringen i immunsystemet resulterar i reducerad produktion av de normala antikroppar som krävs för att bekämpa infektioner.

Många myelomrelaterade hälsoproblem orsakas av att myelomceller bildas (se tabell 2). Till skillnad från andra typer av cancer kan myelompatienter ha många olika komplikationer eftersom myelomcellerna släpper ut proteiner och andra kemikalier i benmärgens lokala mikromiljö och direkt ut i blodomloppet.

Tabell 2. Hälsoproblem i anslutning till myelom

EFFEKTER AV EN FÖRHÖJD ANDEL MYELOMCCELLER I BENMÄRGEN CRAB -kriterier	ORSAK	EFFEKT PÅ PATIENTEN
C – Ökad mängd kalcium i blodet (calcium)	Kalcium från skelettskador hamnar i blodomloppet.	• Mental förvirring • Uttorkning • Förstopning • Utmattning • Svaghet • Njurskador
R – Renala problem – njurskador	Onormala monoklonala proteiner som myelomcellerna producerar släpps ut i blodomloppet och kan hamna i urinen och ge skador på njurarna. Höga nivåer av kalcium i blodet, infektioner och andra faktorer kan även orsaka eller försvåra njurskador.	• Trög cirkulation • Utmattning • Mental förvirring
A – Anemi	Minskning i antalet och aktiviteten hos celler som producerar röda blodkroppar i benmärgen.	• Utmattning • Svaghet
B – Skelettskador (Bone Damage) • Benskörhet (osteoporos) eller • områden med allvarligare skador (kallade lytiska lesioner), fraktur eller en kollapsad kota	Myelomcellerna aktiverar osteoklastceller som förstör benvävnad, samt blockerar osteoblastceller som normalt reparerar skadad benvävnad.	• Skelettsmärta • Skelettsvullnad • Benfraktur eller -kollaps • Nerv- eller ryggmärgsskador
Andra typer av organdysfunktion	Andra lokala eller systemiska effekter av myelom än CRAB-egenskaperna.	• Neuropati • Återkommande infektioner • Blödningar • Andra individuella problem
Onormal immunfunktion	Myelomcellerna minskar antalet och aktiviteten hos normala plasmaceller som kan producera antikroppar mot infektioner.	• Infektionsmottaglighet • Fördrojd återhämtning efter infektion

■ **Lokala effekter i benmärgen:** Effekterna i benmärgen kan vara minskad produktion av blodkroppar och skada på den omgivande benvävnaden. Slutresultatet är myelomets många vanliga egenskaper, som anemi, infektionskänslighet, skelettmärta, benbrott och höjda nivåer av kalcium i blodet.

■ **Effekter utanför benmärgen:** Effekterna utanför benmärgen beror framför allt på det monoklonala protein som myelomcellerna producerar. Allteftersom myelomcellerna

bildas i benmärgen släpps immunglobulinet, dvs. det myelomspecifika antikroppsprotein, ut i blodomloppet. Detta specifika immunglobulinprotein eller monoklonala protein producerat av myelomceller kan orsaka skada på vävnad på olika platser. Ett vanligt exempel på detta är njurskador. Proteinet kan störa blodets koagulering och/eller dess cirkulation och kan potentiellt även orsaka andra skador på organ och vävnad. Behandlingen av myelom kan minska nedbrytningen av benvävnad och tumörtillväxten, och även

Tabell 3. Typer av myelom och relaterade sjukdomar

SJUKDOMSTYP	BESKRIVNING
Myelom: IgG κ eller λ IgA κ eller λ Mer ovanliga undertyper: IgD, E eller M	• Typiskt myelom: de flesta patienter. • Övervakas genom att spåra monoklonalt protein i serum med hjälp av SPEP (IgG) och/eller kvantitativ immunglobulinmätning (QIG – IgA/D/E). För IgA-myelom är kvantitativ immunglobulinmätning ofta mer pålitlig.
Lättkedjemyelom eller Bence Jones-myelom (BJ): κ- eller λ-typ	• Bence Jones-myelom: cirka 15–20 % av patienterna. • Övervakas genom att spåra monoklonala lätta kedjor i urin med hjälp av UPEP och/eller genom att mäta fria lätta kedjor i serum (Freelite®).
Icke-sekretoriskt myelom: κ- eller λ-typ	• Mindre vanliga myelomtyper: 1–2 % av patienterna. • Eftersom både SPEP och UPEP är negativa (inga monoklonala toppar i serum eller urin) övervakas sjukdomen med hjälp av Freelite®-test.
IgM-myelom: κ- eller λ-undertyp	• IgM-myelom är en mycket ovanlig undertyp. • IgM bildas vanligtvis i samband med en sjukdom som heter Waldenströms makroglobulinemi, som påminner mer om ett lymfom (lymfkörtelcancer) än ett myelom, som är en benmärgscancer.
Amyloidos: AL eller lätt kedja av immunglobulintyp κ- eller λ-undertyp	• I amyloidos, deponeras de lätta kedjorna linjärt (β-veckad) i vävnader i stället för att brytas ned och/eller utsöndras i urinen. • Det finns många varianter av amyloidos som innefattar deponering av olika typer av protein. Alzheimers sjukdom innefattar till exempel deponering av proteiner i hjärnan. • I myelomrelaterad amyloid kan lätta kedjor deponeras i många vävnader, inklusive hud, tunga, hjärta, njurar, nerver, lungor, lever och tarmar. • Vävnader ger positivt resultat i ett färgtest med "Kongorött" färgämne, vilket är diagnostiserande. Det kan vara både lämpligt och nödvändigt att ta till mer detaljerade test i form av masspektroskopi och/eller elektronmikroskopi.
Light Chain Deposition Disease (LCDD, deponering av lätta kedjor): κ- eller λ-undertyp	• I LCDD deponeras de lätta kedjorna mer oorganiserat (slumpmässiga tvärbindingar). • Vävnader ger positivt resultat med direkt κ- eller λ-immunfärgning. Kongoröd färgning är vanligtvis negativ. • Det finns mönster av deponering i vävnad som ofta innefattar njurarna, lungsäckarna (pleura) eller peritoneum (runt tarmarna) eller i ögonen.
POEMS-syndrom: Vanligtvis IgG eller IgA λ (sällan κ-undertyp)	• POEMS-syndrom är en komplex sjukdom som innefattar polyneuropati, organomegali, endokrinopati, monoklonal gammopati och hudförändringar. Den diagnostiseras och behandlas inte på samma sätt som myelom. Detta diskuteras i texten.

minska olika effekter av myelomets proteiner och andra kemikalier. Till skillnad från många andra typer av cancer leder myelom vanligtvis inte till vikt förlust.

Steg 2: Test som du verkligen bör utföra.

Olika typer av myelom

Det finns olika typer och undertyper av myelom.

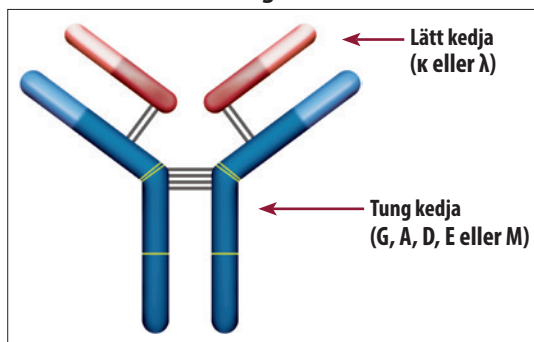
De baseras på den typ av immunglobulin (protein) som myelomcellerna producerar. Vanligtvis har de olika immunglobulinerna olika funktioner i kroppen. Varje immunglobulin består av två tunga och två lätta kedjor. (Se bild 2.) Det finns fem typer av tunga proteinkedjor: G, A, D, E och M. Det finns två typer av lätta proteinkedjor: kappa (κ) och lambda (λ). Typindelningen av myelom, som utförs med hjälp av ett test som kallas immunfixeringselektrofores (IFE), identifierar såväl de tunga som de lätta kedjorna. De flesta av myelompatienterna, cirka 65 %, har IgG-myelom med någon av de lätta kedjorna κ eller λ. Näst vanligast är IgA-myelom, även detta med någon av de lätta kedjorna κ eller λ. (Se tabell 3.) IgD-, IgE- och IgM-myelom är relativt ovanliga.

Hos cirka 30 % av patienterna produceras fria lätta kedjor (avskilda från tunga kedjor) utöver den kompletta molekykombinationen av lätta och tunga kedjor. Hos cirka 15–20 % av patienterna producerar myelomcellerna endast lätta och inga tunga kedjor. Det kallas lättkedjemyelom eller Bence Jones myelom. I ovanliga fall (hos cirka 1–2 % av patienterna) producerar myelomcellerna mycket lite monoklonalt protein eller inget alls. Det kallas icke-sekretoriskt myelom. Analysen Freelite® (fri lätt kedja i serum) kan detektera ytterst små mängder lätta kedjor i blodet på cirka 70 % av dessa patienter.

Skillnaden är hårfin mellan beteendena för olika typer av myelom.

IgG-myelom har myelomets vanliga egenskaper. IgA-myelom kan ibland utmärka sig för att tumörer uppstår utanpå benet. IgD-myelom kan uppstå parallellt med plasmacelleukemi och kan, vilket är vanligare, orsaka njurskador. Lättkedjemyelom och Bence Jones myelom är de typer som oftast orsakar njurskador och/eller leder till ansamlingar av lätta kedjor i njurarna och/eller på nerver eller andra organ. Beroende på egenskaperna hos

Bild 2. Immunglobulinstruktur



ansamlingarna av lätta kedjor kan detta tillstånd kallas antingen amyloid sjukdom eller s.k. light chain deposition disease (LCDD, deponering av lätta kedjor). I februari 2015 publicerades en studie utförd av Mayo-gruppen på 124 icke-sekretoriska patienter som diagnostiserades och behandlades mellan 2001 och 2012. Den publicerades online i *European Journal of Hematology*. Här drogs slutsatsen att överlevnaden hos patienter med icke-sekretoriskt myelom är större än hos de med sekretoriskt myelom.

Två andra relaterade immunglobulinsjukdomar är Waldenströms makroglobulinemi, som är associerad med det monoklonala proteinet IgM, och POEMS-syndrom, en ovanlig sjukdom associerad med monoklonalt protein, neuropati, förstörade organ, endokrinsjukdomar och hudförändringar.

Myelomets olika stadier

När myelomdiagnoser ges varierar mängden myelom i kroppen från patient till patient.

Man brukar tala om detta som myelomets olika stadier. Det kliniska stadiindelningssystem som oftast används är Durie/Salmon-systemet, som påvisar sambandet mellan mängden myelom och de skador dessa orsakar, som till exempel skelettsjukdomar eller anemi (se tabell 4). Den "uppmätta myelomcellmassan" för det här stadiindelningssystemet beräknades från studier där mängden myelomprotein (M-proteintopp) per myelomcell mättes. Detta kallas "M-komponentens syntesnivå". Även studier av M-proteinets metabolism i kroppen utfördes. Tack vare dessa studier kunde en omvänd beräkning göras för att få fram det exakta antalet myelomceller i kroppen. Det ledde till slutsatsen att antalet myelomceller

Tabell 4. Stadieindelningssystemet Durie/Salmon

STADIUM	KRITERIER	UPPMÄTT MYELOMCCELLMASSA (myelomceller i miljarder/m ²)*
STADIUM I (liten cellmassa)	<i>Alla följande:</i> • Hemoglobinvärde > 10 g/dl • Kalciumvärde i serum normalt eller < 10,5 mg/dl • Skelettröntgen, normal benstruktur (skala 0), eller endast enstaka plasmocytom i ben • Låga M-komponentproduktionsnivåer, IgG-värde < 5 g/dl, IgA-värde < 3 g/dl • Lätt kedja i urin, M-komponent på elektrofores < 4 g/24 h	600 miljarder*
STADIUM II (medelstor cellmassa)	<i>Som inte passar varken i Stadium I eller i Stadium III</i>	600–1 200 miljarder* *myelomceller i hela kroppen
STADIUM III (stor cellmassa)	<i>Minst ett av följande:</i> • Hemoglobinvärde < 8,5 g/dl • Kalciumvärde i serum > 12 mg/dl • Avancerade lytiska benlesioner (skala 3) • Höga M-komponentproduktionsnivåer, IgG-värde > 7 g/dl, IgA-värde > 5 g/dl • Lätt kedja i urin, M-komponent > 12 g/24 h	> 1 200 miljarder*
UNDERKLASSIFICERING (antingen A eller B)	• A: relativt normal renal funktion (kreatinin i serum) < 2,0 mg/dl • B: onormal renal funktion (kreatinin i serum) > 2,0 mg/dl <i>Exempel: Stadium IA (liten cellmassa med normal renal funktion)</i> <i>Stadium IIIB (stor cellmassa med onormal renal funktion)</i>	

kan vara relativt lågt hos vissa patienter som producerar stora mängder protein. Även det omvända förhållandet gäller – att antalet myelomceller kan vara oväntat högt hos patienter med låg proteinproduktion. Det går att få en uppfattning av detta förhållande genom att jämföra procentandelen myelomceller i benmärgen med nivån av myelomprotein i blodet och/eller urinen.

International Staging System (ISS) är det prognosfaktorbaserade stadieindelningssystem som oftast används och visas i tabell 5. ISS är resultatet av ett samarbete mellan mer än 20 forskningsinstitut över hela världen. Prognosen för myelompatienter är bättre när behandlingen påbörjas tidigt och skelettsjukdomar och andra komplikationer kan undvikas.

Ett flertal test kan användas för att bedöma hur aggressivt myelomet är hos en viss patient. Höga eller onormala värden i testresultaten betyder vanligtvis att det rör sig om ett mer aktivt myelom och eventuellt en lägre sannolikhet för att behandlingen ska ge en långvarig respons (se tabell 6). Nivåerna av beta-2-mikroglobulin i

serum (S β 2M), albumin i serum (S ALB), C-reaktivt protein (CRP) och laktatdehydrogenas (LDH) i serum fastställs genom blodprov. Benmärgsцитогенetik och fluorescerande in situ-hybridisering (FISH) bedöms genom särskilda studier på benmärgsaspirationsprovet.

Cytogenetik och FISH

Cytogenetik är bedömningen av kromosomer i myelomceller som delar sig efter kortvarig odling i laboratorium. Eftersom den aktiva tillväxttakten för myelomceller är mycket låg (vanligtvis förökar sig mindre än 3 % och ofta rör det sig inte om mer än 1 % av cellerna) är detta en ofullständig bedömning av förekomsten av kromosomförändringar. Trots detta är det viktigt att notera onormala förhållanden som påträffas, särskilt eftersom myelomceller med skadade kromosomer aktivt växer (till exempel 13q- [förlust av den nedre, s.k. "långa", armen på kromosom 13] eller 17p- [förlust av den övre, s.k. "korta", armen på kromosom 17]).

FISH är bedömningen av kromosomerna i alla myelomceller i ett benmärgsprov. Med FISH kan förändringar detekteras oavsett om myelomcellerna

Tabell 5. Internationella stadieindelningssystemet (ISS) för multipelt myelom

STADIUM	VÄRDEN
STADIUM 1	$\beta 2M < 3,5$ $ALB \geq 3,5$
STADIUM 2	$\beta 2M < 3,5$ $ALB < 3,5$ eller $\beta 2M 3,5-5,5$
STADIUM 3	$\beta 2M > 5,5$
Obs! $\beta 2M = \beta 2$ -mikroglobulin i serum, i mg/l, $ALB =$ albumin i serum, i g/dl	

Tabell 6. Prognosfaktorer

TEST	SIGNIFIKANS
$\beta 2$ -mikroglobulin i serum (S $\beta 2M$)	Ju högre nivå, desto mer avancerat stadium.
Albumin i serum (S ALB)	Ju lägre nivå, desto mer avancerat stadium.
C-reaktivt protein (CRP)	Ökar med sjukdomens aktivitet.
Laktatdehydrogenas (LDH) i serum	Ökar med sjukdomens aktivitet.
Onormala kromosomer på benmärgscytogenetik och fluorescerande in situ-hybridisering (FISH)	Flera saknade kromosomer eller translokationer anses innebära hög risk och kan vara förknippade med kortare remissionsperioder.

växer eller inte. Speciella fluorescerande gensonder läggs till i benmärgsprovet för att bedöma närvaron eller avsaknaden av de kromosomavvikelser som brukar uppstå i myelom. Varje kromosom har sin egen unika färg. Om till exempel kromosom 4 felaktigt kopplas med kromosom 14 visas de två färgade prickarna tillsammans, vilket visar att en translokation t (4;14) föreligger. Förekomsten av translokationer, saknade bitar, extra bitar och förlorade kromosomer kan alla detekteras genom FISH-testning.

Förekomsten av avvikande kromosomer innebär i allmänhet ingen positiv prognos. Att resistent underkloner uppstår verkar vara mer sannolikt, vilket resulterar i tidigare och mer frekventa återfall efter behandling. Men även om det rör sig om en tendens gäller detta inte i 100 % av fallen. Till exempel kan minst 30 % av patienterna med s.k. negativa förlopp eller förlopp med dålig prognos, som till exempel t[4;14] eller 17p, må bra och nå ett normalt tillstånd med hjälp av aktuella standardbehandlingar, inklusive induktionsbehandling och autolog stamcellstransplantation.

Test vid diagnos

Tabell 7 sammanfattar de test som vanligtvis krävs vid tiden för diagnosen (baslinjetest).

Steg 3: Alternativ för inledande behandling.

Det viktigaste beslutet att ta inledningsvis är att en behandling är nödvändig. Som redan

har nämnts är baslinjetest, stadieindelning och prognosklassificering viktiga. Behandling rekommenderas för aktivt och symtomatiskt myelom och för indolent sjukdom som uppfyller kriterierna för "ultrahög risk". Hur akut behandlingen är beror på problemen för varje specifik patient.

Inledande behandling eller frontlinjebehandling

Det är viktigt att patienten avsätter tid för att diskutera alternativ med sin hematolog eller hematolog/onkolog. Förutom resultaten från baslinjetest måste ett antal frågor övervägas.

Viktiga baslinjefrågor

- **Vardagliga aktiviteter:** Påverkar behandlingen min förmåga att utföra mina dagliga aktiviteter?
- **Arbete:** Är det nödvändigt med ändringar eller uppehåll?
- **Ålder:** Är det här en faktor som avgör vilken behandling som ska väljas och vilket resultat som kan förväntas?
- **Behandlingens biverkningar:** Hur markanta är de?
- **Andra hälsorelaterade frågor:** Påverkar de valet av behandling och motståndskraften mot behandlingen?
- **Transplantation:** Är cellgiftsbehandling i hög dos med transplantation rekommenderad?
- **Respons hastighet:** Hur snabbt verkar behandlingen och hur utvärderas detta?
- **Inledande och senare beslut:** Vad måste beslutas redan dag 1?

Tabell 7. Baslinjetest

TEST	ÄNDAMÅL
Benmärgsbiopsi Specialtest utförs för att bedöma prognosen (till exempel kromosomer, immuntypning, färgning för amyloid)	Det här är det viktigaste testet när det gäller att avgöra både förekomsten av och andelen myelomceller i benmärgen. I stadium I av sjukdomen eller för ett enskilda plasmocytom kan direkt biopsi av tumören vara nödvändig. Kromosomanalys (cytogenetiskt test) kan visa positiva eller negativa kromosomegenskaper via direkt (Giemsa-färgning av band) och/eller FISH-analys. För denna typ av test krävs ett nytaget prov.
Blodprov Blodstatus (CBC, complete blood count)	• För bedömning av förekomst/allvarlighetsgrad för anemi (låg hemoglobinvärde) • För att bedöma brist på vita blodkroppar • För att bedöma brist på blodplättar
Kemipanel	Används vid bedömning av njurfunktion (kreatinin och BUN), leverfunktion, albumin, kalciumnivå och LDH
Särskilt proteintest	Visar förekomsten av monoklonalt myelomprotein (s.k. "spikeprotein")
Proteinelektrofores i serum (SPEP)	Mängden onormalt myelomprotein i tunga kedjor
Immunfixeringselektrofores (IFE)	Visar de tunga (G, A, D, E och M) och lätta (kappa [κ], lambda [λ]) kedjetyperna av myelomprotein
Freelite®-analys	Kan användas för att mäta mängden fria lätta kappa- eller lambdakedjor om varken SPEP eller UPEP visar något onormalt
Hevylite®-analys	Kan användas för att mäta normala och onormala nivåer av intakta immunglobuliner
Urinprov Särskilt proteinprov liknande serumprovet ovan: • Proteinelektrofores i urin (UPEP) • Immunfixering	Visar förekomsten, mängden och typen av onormalt myelomprotein i urin.
Skelettprov Röntgen	För att bedöma förekomsten, allvarlighetsgraden och platsen för eventuella områden med skelettskador: Röntgen används fortfarande för att söka efter myelomrelaterade skelettskador. På de flesta patienter visar röntgenbilder skelettsjukdomar som är typiska för myelom (lytiska lesioner eller "hål" i benen). Röntgen kan ge oklara resultat på ungefär 25 % av patienterna med aktivt myelom och det kan vara nödvändigt med ytterligare undersökningar med helkroppss-MRT, helkroppsskiktröntgen med låg dos eller PET-CT för att kunna utesluta inblandade ben. En myelomundersökning av hela skelettet med ett antal röntgenbilder är nödvändig för att påvisa benförlust eller benskörhet (osteoporos eller osteopeni orsakad av bennedbrytning), lytiska lesioner och/eller eventuell benfraktur eller -kollaps.
MRT (Magnetisk resonanstomografi)	Används när röntgen inte ger något resultat och/eller för mer detaljerade test av specifika områden som till exempel ryggraden och/eller hjärnan. Kan visa förekomsten och distributionen av sjukdomen i benmärgen när inga skelettskador syns på röntgenbilderna. Kan även påvisa förekomsten av sjukdomen utanför benen som kan trycka på nerver och/eller ryggmärgen.
CT (Skiktröntgen)	Används när röntgen inte ger något resultat och/eller för mer detaljerade test av specifika områden. Särskilt användbar för detaljbedömning av små områden av möjliga skelettskador eller tryck på nerver.
Nukleärmedicinsk skanning	Rutinskanning av ben som används för andra cancer typer. Ej användbart för myelom och bör inte utföras <i>såvida det inte sker för att utesluta andra diagnoser.</i>
FDG/PET-skanning eller PET-CT-skanning	En mycket känsligare teknik för helkroppsskanning. Användbar för sjukdomsövervakning, särskilt för icke-sekretoriska sjukdomar. CT som används för att bedöma områden med PET-positiv sjukdom.
Bentäthetsprov	Användbart vid bedömningen av allvarlighetsgraden hos diffus benförlust i myelom och för att mäta den gradvisa förbättringen med bisfosfonatbehandling.

Du bör vara öppen för stamcellstransplantation om du känner att det kan vara ett alternativ för dig. För närvarande råder konsensus i International Myeloma Working Group (internationella myelomarbetsgruppen, IMWG) om att alla patienter för vilka transplantation är ett alternativ bör lagra stamceller för eventuellt framtida bruk. I allmänhet är stamcellstransplantation ett alternativ för patienter under 65 års ålder. Även om det än så länge inte finns några resultat från randomiserade studier visar studier från Frankrike och Italien att kraftigare respons och längre överlevnad utan progression, såväl som allmän överlevnad, inträffar hos patienter som får autolog stamcellstransplantation i ett tidigt skede av myelombehandlingen.

I USA täcker Medicare en enskild autolog stamcellstransplantation (inte tandemtransplantationer eller flera autologa transplantationer i serie) för berättigade patienter i alla åldrar som har myelom i Durie-Salmon-stadium II eller III som antingen har diagnostiserats nyligen eller som är behandlingsbart, och vars hjärta, lever, lungor och njurar fungerar korrekt. Om du får en transplantation som Medicare-patient och senare återfaller efter en långvarig remission (minst två år) kan det hända att Medicare täcker en ny transplantation. Berättigande till stamcellstransplantation måste utvärderas individuellt, och hälsotillstånd, andra sjukdomar och behandlingshistoriken måste tas i beaktande. Många äldre patienter kan vara i utmärkt fysisk kondition och anses vara i form för och berättigade till en transplantation.

Även om kliniska frontlinjestudier (första behandlingen efter diagnos, även kallad induktionsbehandling) finns tillgängliga måste du acceptera att du slumpmässigt kan tilldelas en behandling i stället för en annan, beroende på studiens utformning. Det kan hända att du blir "låst" till framtida randomisering och behandlingar. Se till att du förstår reglerna till fullo.

Viktigt: Om en behandling inte fungerar betyder det inte att en annan behandling inte kan fungera mycket bra och resultera i en betydande remission.

Steg 4: Om stödjande vård och hur du får den.

Det finns behandlingar som avser att mildra sjukdomens fysiska och känslomässiga effekt.

En tidig stödjande vård är lika viktigt som att frontlinjebehandlingen inleds.

Utöver hanteringen av specifika symtom är en rad stödjande insatser avgörande:

- **Fysisk aktivitet:** Patienten bör kontrollera med sin läkare om det finns några begränsningar för att utföra full fysisk aktivitet på grund av skelettsjukdom och/eller lokala skelettskador. Oftast kan någon typ av fysisk aktivitet planeras, som till exempel promenader eller simning, flexibilitets- och styrketräning och/eller ett individuellt anpassat yogaprogram.
- **Kost:** Inga särskilda kostrekommendationer har tagits fram för myelompatienter. Forskning pågår inom det här området. I allmänhet kan rekommendationer om "hälsosam kost" från andra sjukdomssituationer som till exempel hjärtsjukdomar och cancer i allmänhet (till exempel bröstcancer) användas. Var försiktig med följande:
 - **C-vitamin:** Höga doser på över 1 000 mg/dag kan vara kontraproduktivt vid myelom och öka risken för njurskador.
 - **Örter och vitamintillskott:** Tala med din läkare eller med en farmaceut på onkologcentret om användning av tillskott under cellgiftsbehandling eller annan läkemedelsbehandling. Vissa tillskott kan minska behandlingens effekt. Reaktionen som uppstår mellan läkemedel och tillskott kan dessutom orsaka allvarliga hälsoproblem. Många apotek har system som identifierar potentiella reaktioner mellan läkemedel och tillskott.
- **Mental hälsa:** Din mentala hälsa är viktig alltmedan behandlingen fortskrider. Se till att du är bekväm med behandlingsplanen. Boka tid med en specialist på mental hälsa om du misstänker att du kan vara deprimerad eller om någon är orolig för att du är deprimerad.
- **Regelbunden sömn:** Detta är av högsta vikt för ditt immunsystem.

- **Gör justeringar:** Minska stressen på jobbet, i familjen och i andra sociala situationer så mycket som möjligt, eller eliminera den helt. Undvik kontakt med barn i skolåldern. Undvik stora folkmassor så mycket som möjligt. Tvätta händerna ofta. Ditt immunsystem försämras både av sjukdomen och av behandlingarna. Myelombehandlingen har högsta prioritet tills tillståndet förbättras och/eller stabiliseras.

Om frontlinjebehandling inte fungerar

Det finns många behandlingsalternativ utöver de som nämns i den här introduktionshandboken. Det kommer hela tiden nya behandlingar som kan fungera bättre.

Besök gärna IMF:s webbplats på myeloma.org om du vill ha mer information och regelbundna uppdateringar, eller ring InfoLine på +1 800-452-2873.

Frågor som du bör ställa till din läkare

Beslut om behandlingen är mycket viktiga för myelompatientens överlevnad och livskvalitet.

Patienten behöver fakta för att kunna ta rätt beslut. Vissa patienter vill diskutera alla aspekter av sin situation, behandling och prognos. Andra vill bara veta vilket nästa steg är. De flesta läkare är väl förberedda för dessa skillnader och varierar hanteringen beroende på vad de upplever att patienten vill ha. Vi rekommenderar patienter att vara tydliga med hur detaljerat de vill tala om behandlingsbeslutet. Vi föreslår också att patienten alltid ber om ett andra utlåtande från en myelomspecialist innan behandlingen påbörjas, även om patienten är nöjd med sin läkare.

1. Få en fullständig beskrivning av behandlingsprogrammet:

- **Exakt vad innebär behandlingen?**
- **Vilka är målen med behandlingen?**
- **Under vilken tidsperiod ges behandlingen?**
- **Vad består behandlingen av?** Hur ofta måste patienten besöka en vårdinrättning? Är det nödvändigt eller troligt att patienten måste läggas in på sjukhus? Vilka är de troliga effekterna på patientens möjlighet att fungera normalt (dvs. arbeta och vara i rörelse)? Hur mår man före, under och efter behandlingen? Hur ser man ut? Hur lång tid tar det normalt att återhämta sig?

- **Vilka uppföljnings- och underhållsprogram krävs?**

- **Hur mycket kostar behandlingen?**

2. Hur väl har behandlingen fungerat för andra personer i liknande situationer? Effektiviteten mäts på många olika sätt:

- **Vilka är de tidigare erfarenheterna av behandlingen?** Hur många patienter har genomgått behandlingen? Hur lång uppföljning fick dessa patienter efter behandlingen?
- **Hur stor är sannolikheten för en fullständig eller partiell remission?** Vilka faktorer tenderar att öka och minska sannolikheten?
- **Hur länge har patienternas remission varat?** Vilka faktorer sammanhänger med långvariga respektive kortvariga förbättringar?
- **Vilka alternativ finns vid återfall?** (Dessa alternativ kan ändras med tiden.)
- **Vad kan rimligen förväntas när det gäller lindring av symtom som skelettsmärter, patologiska frakturer, anemi, utmattning och hyperkalcemi?** Vilka faktorer avgör hur väl dessa behandlingar fungerar för symtomen?
- **Hur länge har andra som genomgått behandlingen överlevt?** När det gäller nyare behandlingstyper, hur många i den ursprungliga patientgruppen är fortfarande vid liv?

3. Liksom vid andra cancerbehandlingar används även vid myelombehandlingar starka läkemedel och andra metoder för att ta död på elakartade celler och/eller korrigera kroppens kemiska balans. I vanliga fall uppstår biverkningar. Vissa av dessa uppstår under själva behandlingen. Andra kan ge sig till känna långt efter det att behandlingen har avslutats.

- **Vilka biverkningar har observerats på patienter som har genomgått behandlingen?** När brukar de inträffa? Hur stor andel av patienterna känner av dem? Hur allvarliga är biverkningarna? Är de livshotande? Är de smärtsamma? Är de permanenta? Hur länge pågår de?

■ Kan biverkningarna behandlas?

Har biverkningarnas behandlingar egna biverkningar?

4. Det finns alltid alternativ. Du måste ställa alla de här frågorna för vart och ett av alternativen:

■ Vilka alternativ finns för den rekommenderade behandlingen?

■ Vilka för- och nackdelar har alternativen i förhållande till den rekommenderade behandlingen?

■ Vilka för- och nackdelar har de alternativa behandlingarna om man jämför med att avstå från behandling?

Eftersom myelom är ovanligt finns endast ett fåtal läkare och inrättningar som har myelom som specialitet. Det är mycket vanligt att myelompatienter ber om ett andra utlåtande från en expert på ett forskningsinstitut samtidigt som de överlåter åt sin lokala läkare att administrera och övervaka behandlingen.

För att ta rätt beslut om behandling måste man ha rätt resurser, ställa rätt frågor, tänka igenom sina val och vara modig. Men framför allt kräver det att patienten och de som ger patienten stöd engagerar sig i processen. Eftersom det än så länge inte finns

något botemedel, eftersom inga garantier kan ges och eftersom varje individ är unik beror det yttersta beslutet på patientens preferenser och prioriteringar.

Avslutningsvis

En cancerdiagnos är givetvis inget som du har kontroll över, men du har möjligheten att skaffa de kunskaper du behöver för att förbättra samarbetet med läkare och sjuksköterskor, och det är något som kommer att vara avgörande för din tillvaro under sjukdomens gång.

Den här broschyren är inte avsedd att ersätta råd från läkare och sjuksköterskor, vilka är bäst lämpade att svara på frågor om din individuella vårdplan. IMF försöker bara ge dig den information du behöver för att få ut så mycket som möjligt av dina samtal med vårdpersonalen. Du måste spela en aktiv roll i din egen vårdssituation om du vill att behandlingen ska bli effektiv och för att få bästa möjliga livskvalitet.

Vi rekommenderar att du besöker myeloma.org för att få aktuell information om myelom och att du kontakter IMF:s InfoLine om du har myelomrelaterade frågor och funderingar. IMF:s InfoLine ger hela tiden den bästa informationen om myelom på ett omtänksamt och medkännande sätt. Du kan komma i kontakt med IMF:s InfoLine-experten på InfoLine@myeloma.org eller +1 800-452-2873 eller +1 818-487-7455.

Tabell 8. Myelombehandlingens mål

TYP AV BEHANDLING	MÅL	EXEMPEL	BESLUTSTID
Stabiliserande	Motarbeta livshotande rubbningar i kroppens kemi och immunsystemet	• Plasmaferes för att förtunna blodet och undvika stroke • Hemodialys när njurarna inte fungerar • Läkemedel som minskar hyperkalcemi (kan inkludera cellgiftsbehandling)	Timmar till dagar
Palliativ	Mildrar obehag och ökar patientens funktionsförmåga	• Strålning som förhindrar bennedbrytning • Transfusion av röda blodkroppar mot anemi • Ortopedisk kirurgi för att reparera och/eller stärka ben	Dagar till månader
Remissions-inducerande	Lindrar symtom, saktar ned eller avbryter sjukdomens utveckling	• Behandlingar som tar död på elakartade celler i hela kroppen • Strålning som tar död på elakartade celler på platsen för en tumör	Veckor till månader
Botande	Permanent remission*	• Benmärgstransplantation för cellgiftsbehandling i höga doser	Veckor till månader

* Bota betyder att myelomet elimineras permanent, vilket är något som sällan har dokumenterats. Termen "funktionellt botad" har använts för att beskriva fall med fullständig förbättring som varar i över fyra år. Fullständig respons på behandlingen (inklusive på molekyllär nivå) kan följas av återfall, varför uppföljning kommer att krävas under lång tid.

Tabell 9A. Läkemedel som för närvarande

GENERISKT NAMN MÄRKE	SJUKDOMSSITUATION	ADMINISTRERING: DOS
Alkyliserande agens		
melfalan Alkeran®	• induktion hos patienter som inte kan ta emot en transplantation • ett till tre tidigare återfall • återfall/refraktär	• IV (intravenös injektion): 200 mg/m² • Oralt: 6 mg (tre tabletter) per dag
cyklofosfamid Cytosan®	• induktion • ett till tre tidigare återfall • återfall/refraktär	• IV: 40–50 mg/kg uppdelat över 2–5 dagar • Oralt: 300 mg/m² en gång i veckan
Antracyklin		
peglyerat liposomalt doxorubicin Doxil® (plus Velcade® + dexametason)	• ett till tre tidigare återfall • återfall/refraktär	IV: 30 mg/m ² på dag 4, efter bortezomib
Kortikosteroid		
dexametason Decadron®	• induktion • ett till tre tidigare återfall • återfall/refraktär	• Kan administreras intravenöst • Administreras vanligtvis veckovis 40 mg oralt (10 tabletter) ("lågdosdexametason") • Som monobehandling administreras 40 mg oralt i cykler om fyra dagar med behandling, fyra dagar utan behandling
Immunmodulerande läkemedel		
talidomid Thalomid® (plus dexametason)	• induktion • ett till tre tidigare återfall • återfall/refraktär • underhåll	Oralt: godkänt för 200 mg per dag, men administreras sällan i större mängd än 100 mg per dag eftersom det är effektivt vid lägre doser, och högre doser brukar i allmänhet inte tolereras.
lenalidomid Revlimid® (plus dexametason [Rd])	• induktion • ett till tre tidigare återfall • återfall/refraktär • underhåll	Oralt: 25 mg dag 1–21 i en cykel på 28 dagar.
pomalidomid Pomalyst® (plus dexametason)	• ett till tre tidigare återfall • återfall/refraktär	Oralt: 4 mg dag 1–21 i en cykel på 28 dagar.

används för myelom – juli 2016

BIVERKNINGAR	ANMÄRKNINGAR
Minskat antal blodkroppar, hypersensitivitetsreaktioner, gastrointestinal toxicitet, pulmonell toxicitet, infertilitet, sekundära maligniteter (leukemi).	- Används som högdosbehandling vid autologa transplantationer. - Används tillsammans med prednison ± ett tredje läkemedel på patienter som inte tar emot någon transplantation (MPV, MPR).
Minskat antal blodkroppar, infektioner, toxicitet i urinvägar och njurar, kardiotoxicitet, pulmonell toxicitet, sekundära maligniteter, feber, håravfall (IV), illamående, kräkningar, diarré.	- Används ibland för att transportera stamceller från märgen till det perifera blodet för skörd innan ASCT. - Administreras oralt vid kombinationsbehandlingar som till exempel CyBorD. - Administreras intravenöst vid kombinationsbehandlingar som till exempel DCEP och DVPACE.
Kardiotoxicitet, infusionsreaktioner, minskat antal blodkroppar, hand- och fotsyndrom, munsår, illamående och kräkningar, trötthet, svaghet.	En ny tillverkare i USA godkändes förra året för att mildra problem med utbudet. Se doxilsupply.com
Infektioner, hjärtproblem/vätskeansamlingar, akne, utslag, förhöjda blodsockervärden, gastrointestinala sjukdomar, viktökning, hosta, heshet, osteoporos, muskelsmärtor, oftalmologiska sjukdomar, psykiatriska effekter, sömnlöshet.	- Var försiktig i kombination med andra läkemedel. Mer information finns i IMF:s publikation <i>Understanding Dexamethasone and Other Steroids (Förstå dexametason och andra steroider)</i>. Ett flertal studier har påvisat att en minskning av dexametasondosen i kombinationsbehandlingar ökar toleransen, ökar behandlingens varaktighet och förlänger överlevnaden. - Karolinska Institutets studie ASH 2015 visade att om åtminstone en delvis förbättring uppnås med andrahandsbehandling med Revlimid + dexametason ger det ingen extra fördel att fortsätta med dexametason utöver Revlimid.
Embryo-fetal toxicitet, venös och arteriell tromboembolism, perifer neuropati, förstoppning, dåsighet, yrsel, minskat antal vita blodkroppar, utslag.	- Patienter måste delta i ett program för utvärdering och minskning av risker (REMS, risk evaluation and mitigation strategies). - Båda parterna måste använda preventivmedel. - Orsakar obotlig perifer neuropati. - Ökad risk för tromboembolism i kombination med dexametason. Kräver därför att blodförtunnare används.
Embryo-fetal toxicitet, minskat antal vita blodkroppar, minskat antal blodplättar, venös och arteriell tromboembolism (blodkoagel som kan hamna i lungan), diarré, utmattning, anemi, förstoppning, utslag.	- Patienter måste delta i ett program för utvärdering och minskning av risker (REMS, risk evaluation and mitigation strategies). - Båda parterna måste använda preventivmedel. - I FÖRSTA studien påvisades fördelen med fortlöpande Revlimid hos nyligen diagnostiserade myelompatienter som inte får någon transplantation. - Ökad risk för tromboembolism i kombination med dexametason. Kräver därför att blodförtunnare används.
Embryo-fetal toxicitet, minskat antal vita blodkroppar, minskat antal röda blodkroppar, minskat antal blodplättar, venös och arteriell tromboembolism, utmattning, svaghet, yrsel och förvirring, förstoppning, illamående, diarré, neuropati.	- Patienter måste delta i ett program för utvärdering och minskning av risker (REMS, risk evaluation and mitigation strategies). - Båda parterna måste använda preventivmedel. - Ökad risk för tromboembolism i kombination med dexametason. Kräver därför att blodförtunnare används.

(Tabell 9A fortsätter på nästa sida)

Tabell 9A. Läkemedel som för närvarande

GENERISKT NAMN MÄRKE	SJUKDOMSSITUATION	ADMINISTRERING: DOS
Proteasomhämmare		
bortezomib Velcade®	• induktion • ett till tre tidigare återfall • återfall/refraktär • underhåll	Intravenös eller subkutan injektion på 1,3 mg/m ² dag 1, 4, 8 och 11 i en cykel på 21 dagar.
karfilzomib Kyprolis® (enbart eller plus Revlimid + dexametason)	• ett till tre tidigare återfall • återfall/refraktär	IV: 10 minuters infusion två gånger per vecka på 2 på varandra följande dagar i 3 veckor under varje cykel på 4 veckor. 20 mg/m ² cykel 1, dag 1 + 2. 27 mg/m ² cykel 1, dag 8, 9, 15 och 16 och alla följande cykler.
ixazomib Ninlaro® (plus Revlimid + dexametason)	ett till tre tidigare återfall	Oralt: 4 mg dag 1, 8 och 15 i en cykel på 28 dagar.
Monoklonal antikropp (mAb)		
daratumumab Darzalex®	återfall/refraktär	IV: 16 mg/kg per vecka cykel 1 och 2, varannan vecka cykel 3–6, var fjärde vecka från och med cykel 7.
elotuzumab Empliciti® (plus Revlimid + dexametason)	ett till tre tidigare återfall	IV: 10 mg/kg cykel 1 + 2 en gång i veckan, dag 1, 8, 15 och 22 i en cykel på 28 dagar, sedan varannan vecka, dag 1 och 15 i perioder på 28 dagar.
HDAC-hämmare (histondeacetylshämmare)		
panobinostat Farydak® (plus Velcade + dexametason)	• ett till tre tidigare återfall • återfall/refraktär	Oralt: 20 mg varannan dag i 3 doser per vecka (dag 1, 3, 5, 8, 10 och 12) vecka 1 och 2, i 8 cykler på vardera 21 dagar.

BIVERKNINGAR	ANMÄRKNINGAR
Perifer neuropati, utmattning, illamående, diarré, trombocytopeni, för lågt blodtryck.	• Ökad förekomst av herpes zoster-virus (bältros). Rådfråga din läkare om preventiv användning av anitviralaläkemedel medan du tar Velcade. • Har visat sig effektivt på patienter med den cytogenetiska högriskavvikelsen t(4;14). • Säker för patienter med njursvikt. • Administrering subkutant och/eller en gång per vecka minskar risken för perifer neuropati.
Utmattning, anemi, trombocytopeni, andningssvårigheter, diarré, feber, lågt blodtryck, hjärtfel och andra hjärtproblem, infusionsreaktioner.	• Patienter med redan befintliga hjärtbesvär kan löpa större risk för hjärtproblem. • Gav bättre resultat än Velcade + dexametason i återfall av myelom för PFS, OS (oavsett ålder, cytogenetik och tidigare behandling). • Antiviral behandling för förebyggande av herpes zoster-virus (bältros) rekommenderas.
Trombocytopeni, neutropeni, diarré, förstoppning, illamående, kräkningar, perifer neuropati, perifert ödem (svullnade fötter), utslag, levertoxicitet, ryggsmärtor, infektion i den övre luftvägen.	• Dosen ska vara på 3 mg för patienter med måttligt till gravt nedsatt lever- eller njurfunktion. • Orsakar embryo-fetal toxicitet. • Rådfråga din läkare om antiviral behandling för förebyggande av herpes zoster-virus (bältros). • Tas en timme innan eller två timmar efter måltid. • Tillsammans med Revlimid + dexametason (Rd) ökas risken för tromboembolism och användning av blodförtunnare krävs.
Infusionsreaktioner, utmattning, illamående, ryggsmärtor, feber, hosta, minskat antal blodkroppar.	• Kliniska studier pågår för att utvärdera ny subkutan administrering. • Studiedata gällande användningen av Darzalex tillsammans med Velcade + dexametason (CASTOR-studien) eller i kombination med Revlimid + dexametason (POLLUX-studien) har bidragit till att FDA har tilldelat dessa kombinationer "genombrottsstatus". • Darzalex kan orsaka embryo-fetal toxicitet. • Patienter måste före och efter infusioner medicineras med kortikosteroid, ett febernedsättande läkemedel och antihistamin för att undvika infusionsreaktioner.
Infusionsreaktioner, låga blodvärden, infektioner, utmattning, diarré, feber, förstoppning, muskelspasmer, försämrad aptit.	• Antikoagulans rekommenderas för kombinationen med Revlimid på grund av ofta förekommande djup ventrombos och lungembolism. • Patienter måste i förväg administreras dexametason, antihistamin, ranitidin och acetaminofen inför varje dos av elotuzumab för att undvika infusionsreaktioner.
Låga blodvärden, diarré, illamående eller kräkningar, hjärttoxicitet, blödningar (p.g.a. minskat antal blodplättar), infektioner, levertoxicitet, embryo-fetal toxicitet, utmattning.	• Patienter med en historik av nyligen inträffade fall av myokardinfarkt eller instabil angina ska inte ta Farydak. • Patienter med gravt nedsatt leverfunktion ska inte ta Farydak. Dosen bör dessutom minskas för patienter med lätt eller måttligt nedsatt leverfunktion. • Minska dosen till 10 mg om den administreras tillsammans med starka CYP3A-hämmare, inklusive klaritromycin (Biaxin®).

Tabell 9B. Läkemedel som för närvarande används för stödjande vård – juli 2016

GENERISKT NAMN MÄRKE	SJUKDOMSSITUATION	ADMINISTRERING: DOS	BIVERKNINGAR	ANMÄRKNINGAR
Bisfosfonat				
pamidronat Aredia®	För behandling av myelomrelaterad skelettsjukdom	IV: 90 mg administreras genom infusion spritt över 2–4 timmar en gång per månad.	Renal toxicitet, feber, venirritation, värk och smärtor i allmänhet, osteonekros i käken.	- Användning under lång tid (mer än 5 år) kan leda till atypiska frakturer på lårbenet. - Patienter utan dokumenterad myelomrelaterad skelettsjukdom ska inte ta bisfosfonater.
zoledronat, zoledronsyra Zometa®	För behandling av myelomrelaterad skelettsjukdom	IV: 4 mg spritt över minst 15 minuter var tredje till var fjärde vecka. Vanligtvis 30–45 minuter en gång i månaden.	Renal toxicitet, feber, venirritation, värk och smärtor i allmänhet, osteonekros i käken.	- Användning under lång tid (mer än 5 år) kan leda till atypiska frakturer på lårbenet. - Patienter utan dokumenterad myelomrelaterad skelettsjukdom ska inte ta bisfosfonater. - Dosen bör minskas för patienter med njursvikt. 500 mg kalcium och 400 IU D-vitamin bör tas varje dag.
Stamcellsmobiliserare				
plerixafor Mozobil®	Används tillsammans med G-CSF för att mobilisera hematopoetiska stamceller innan ASCT	IV: vid 0,24 mg/kg kroppsvikt.	Illamående, kräkningar, diarré, trötthet, huvudvärk, yrsel, led- eller muskelsmärter, reaktioner på injektionsstället, brist på blodplättar	Kan orsaka embryo-fetal skada.

Termer och definitioner

Akut: Plötslig uppkomst av symtom, en sjukdom eller en förändring.

Albumin (ALB): Enkelt vattenlösligt protein som finns i blodserum. Dess produktion hämmas av interleukin-6 vid mycket aktivt myelom.

Alkylerande agens: Ett kemoterapeutiskt agens som till exempel melfalan eller cyklofosamid. Alkylerande syftar på det sätt på vilket dessa agens tvärbinder myelomcellernas DNA och förhindrar celledelning.

Amyloidos: En gemensam term för en grupp sjukdomar som kännetecknas av tvärbundna lätta kedjor. De lätta kedjorna bildar hårda fibriller som är olösliga och deponeras i flera olika organ och vävnader. Olika typer av amyloidos visar olika tecken och symtom beroende på var och i vilka organ amyloidproteinerna deponeras.

Analgetikum: Alla typer av smärtstillande läkemedel. Aspirin och acetaminofen är milda analgetika.

Analog: En kemisk sammansättning som i sin struktur liknar en annan men som skiljer sig något från denna i sin komposition.

Anemi: En minskning av hemoglobin i de röda blodkropparna, vilka transporterar syre till kroppens vävnader och organ. Anemi definieras vanligtvis som hemoglobin under 10 g/dl, medan över 13–14 g/dl anses normalt, och/eller en minskning på ≥ 2 g/dl från patientens individuella normalvärde.

Anestesi: Förlust av känsel eller medvetande. Lokalanestesi orsakar förlust av känsel i en del av kroppen. Generell anestesi framkallar förlust av känsel med eller utan förlust av medvetandet.

Angiogenes: Nybildning av blodkärl som ofta uppstår i anslutning till tillväxt av elakartad vävnad, inklusive myelom.

Tabell 10. Stödande vård

<i>SYM TOM</i>	<i>BEHANDLING</i>	<i>KOMMENTARER</i>
Utmattning och svaghet på grund av anemi	• Blodtransfusion (koncentrat av röda blodkroppar: leukoreducerat, undersökt för virus) vid grav anemi • Erytropoietin vid lätt till måttlig anemi som inducerats genom behandling	Behandlingarna är enkla, vanligtvis mycket förmånliga och förstärker känslan av välmående.
Skelettsmärter	• Bisfosfonat (till exempel Aredia® 90 mg IV spritt över 2–4 timmar en gång per månad, Zometa® 4 mg IV spritt över 15–45 minuter en gång per månad) • Smärtstillande medel efter behov (till exempel Tylenol®, orala morfinderivat, Fentanyl® "smärtplåster")	Att stilla skelettsmärter är viktigt i sig och förbättrar den fysiska aktiviteten, vilket i sin tur stärker och läker skelettet och förbättrar det känslomässiga välmåendet. Även om skador på njurar och käkar är sällsynta kan de uppstå som ett resultat av kronisk bisfosfonatbehandling. Medvetenhet är nyckeln till förebyggande.
Feber och/eller infektionsevidens	• Lämpliga antibiotika • Neupogen® om nödvändigt för att få upp ett för litet antal vita blodkroppar • Intravenöst gammaglobulin vid allvarliga infektioner • Utför test efter behov för att diagnostisera den exakta infektionstypen (med undantag för riskfyllda biopsier/kulturer)	Även om antibiotika ska väljas och användas med försiktighet är det mycket viktigt att snabbt få kontroll över infektioner. Vi rekommenderar att ha antibiotika till hands för nödsituationer (särskilt under resor).
Gastrointestinala biverkningar	• Lämpliga läkemedel för att behandla illamående, kräkningar, förstoppning och diarré • Bibehåll tillräckligt intag av vätska och näring	Kontakta en vårdinrättning för att diskutera eventuella symtom. Svåra symtom kan kräva inläggning på sjukhus.
Blodkoagel och tromboemboliska händelser	• Koagelrelaterade händelser är akutfall och ska behandlas baserat på riskfaktorer för såväl händelsen som patienten • Aspirin eller antikoagulerande läkemedel kan skrivas ut	Risken kan minskas genom motion, viktnedgång och genom att avstå från rökning.
Perifer neuropati	• Smärtstillande medel • Justering av dosering, frekvens och/eller administreringsväg • Fysioterapi, vitaminer och andra tillskott	Kontakta en vårdinrättning för att diskutera eventuella symtom. Ett tidigt ingripande kan förhindra permanenta skador och öppna för fortsatt behandling. Justera inte doseringen på egen hand. Ta inga tillskott utan att först rådfråga en läkare.
Biverkningar från steroider	• Tas tillsammans med föda tidigt på morgonen • Var uppmärksam på symtom på infektioner och ändringar i blodsockernivåerna • Läkemedel mot bältros och svampinfektioner	Anmäl biverkningar och symtom till vårdpersonal. Avbryt eller justera inte doseringen på egen hand.

Patientutbildningsblad om hur blodkoagel och tromboemboliska händelser kan undvikas, hur steroidrelaterade biverkningar hanteras, hur myelosuppression hanteras, hur perifer neuropati förebyggs och hur gastrointestinala biverkningar hanteras. Kan beställas från IMF. Kontakta IMF på +1 800-452-2873 eller +1 818-487-7455 eller besök myeloma.org.

Anslutning: Inskrivningen av patienter för en klinisk studie (forskningsstudie) eller antalet patienter som redan är inskrivna eller förväntas skriva in sig för en studie.

Antibiotika: Läkemedel som används för behandling av infektioner.

Antiemetikum: Ett läkemedel som förhindrar eller kontrollerar illamående och kräkning.

Antifungalt agens: Ett läkemedel som används för behandling av svampinfektioner.

Antigen: Ett främmande ämne (som till exempel bakterier, ett virus, ett toxin eller en tumör) som leder till att immunsystemet producerar antikroppar.

Antikropp: Ett protein som produceras av vita blodkroppar som kallas plasmaceller och som bekämpar infektioner och sjukdomar.

Antineoplastiskt agens: Ett läkemedel som förhindrar eller dödar cancerceller eller stoppar deras tillväxt och spridning.

Apoptos: En normal cellutveckling som leder till att cellen dör.

Appendikularskelett: De långa ben (armar och ben) som är fästa i ryggrad, bröstorg och bäcken.

Aspiration: Borttagning av vätska eller vävnad, eller både och, från ett visst område som till exempel benmärgen.

Asteni: Ett tillstånd i vilket kroppen i sin helhet eller delar av den saknar eller har förlorat kraften.

Asymtomatiskt myelom: Myelom som inte visar några sjukdomssymtom (som till exempel anemi, njursvikt, hyperkalcemi och lytiska lesioner). Kallas även indolent multipelt myelom (SMM, Smoldering Multiple Myeloma) eller tidigt myelom.

Återfall: Symtom som visar sig på nytt efter en tids förbättring. Patienter som återfallit i sjukdom har behandlats och sedan visat symtom på myelom minst 60 dagar efter behandlingens slut. De flesta kliniska studier för långt framskriden sjukdom är för patienter som har återfallit och/eller med refraktärt myelom.

Axialskelett: Ryggrad, bäcken, revben och kranium. Axialskelettet samt de övre delarna av de långa benen i armar och ben är de delar som oftast drabbas av myelom.

B-celler (B-lymfocyter): Vita blodkroppar som tillhör det naturliga immunsystemet. Vissa B-celler utvecklas till plasmaceller i benmärgen och utgör källan till antikroppar.

Basofil: Ett slags vit blodkropp. Basofilerna är ett slags granulocyter.

Bence Jones-protein: Ett monoklonalt myelomprotein. Proteinets består av antingen fria kappakedjor eller fria lambdakedjor. Eftersom de är så små hamnar de lätta Bence Jones-kedjorna obehindrat i urinen. Mängden Bence Jones-protein i urinen uttrycks i gram per 24 timmar. I normala fall kan urinen innehålla en mycket liten mängd protein ($< 0,1$ g/24 h), men då rör det sig om albumin snarare än Bence Jones-protein. Förekomsten av även en minimal mängd Bence Jones-protein i urinen klassas som onormalt.

Benmärg: Den mjuka, svampliknande vävnad inuti benen som producerar vita blodkroppar, röda blodkroppar och blodplättar. I denna vävnad ansamlas onormala plasmaceller som orsakar myelom.

Benmärgsaspiration: Vätske- eller cellprovtagning, med hjälp av en nål, från benmärgen som sedan undersöks med mikroskop.

Benmärgsbiopsi: Vävnadsprovtagning, med hjälp av en nål, från benet. Kontroll av om cellerna är cancerartade. Om cancerartade plasmaceller upptäcks uppskattar patologen hur stor del av benmärgen som är drabbad. Benmärgsbiopsi utförs vanligtvis samtidigt med benmärgsaspiration.

Benmetabolism: Den normala samverkan (koppling) som sker mellan osteoklastceller (som resorberar eller bryter ned benet) och osteoblastceller (som skapar ny benmatrix) för att bibehålla en balanserad nivå av benuppbbyggnad och -nedbrytning.

Beta-2-mikroglobulin (även kallat $\beta 2$ -mikroglobulin, β_2 M och $\beta 2$ M): Ett litet protein som finns i blodet. Höga nivåer uppstår hos patienter med aktivt myelom. Låga till medelhöga nivåer finns hos patienter med tidigt och/eller inaktivt myelom. Cirka 10 % av patienterna har myelom som inte producerar $\beta 2$ M. Vid ett återfall kan $\beta 2$ M-nivån öka innan någon förändring sker i myelomproteinnivån. Faktorer som virusinfektioner kan ibland producera förhöjda nivåer av $\beta 2$ M i serum.

Biopsi: Avlägsnande av en bit vävnad som sedan undersöks med mikroskop som hjälp för diagnos.

Bisfosfonat: Ett slags läkemedel som skyddar mot osteoklastaktivitet (bennedbrytning) och binder med ytan på benet där det resorberas eller bryts ned.

Biverkningar: Önskad effekt orsakade av ett läkemedel.

Blodkroppar: Mycket små strukturer som produceras i benmärgen. De finns i form av röda blodkroppar, vita blodkroppar och blodplättar.

Blodplättar: Ett av blodets tre huvudsakliga element. De andra är röda blodkroppar och vita blodkroppar. Blodplättarna pluggar igen öppningar i blodkärlens väggar och utsöndrar ämnen som stimulerar blodets koagulering. Blodplättarna är det främsta försvaret mot blödning. De kallas även för trombocyter.

Blodurea (BUN, blood urea nitrogen): Mäter nivån av urea i blodet. Urea utsöndras av njurarna. BUN är ett laboratorieblodprov som bedömer njurarnas funktion. Sjukdomar som myelom, som försämrar njurarnas funktion, leder ofta till ökade BUN-nivåer i blodomloppet.

Blodvärden: Antalet röda blodkroppar, vita blodkroppar och blodplättar i ett blodprov.

Cancer: En gemensam term för sjukdomar där elakartade celler delar sig utan kontroll. Cancerceller kan angripa närliggande vävnad och spridas via blodomloppet och det lymfatiske systemet till andra delar av kroppen.

Cancerförstadiet: En term som används för att beskriva ett tillstånd som potentiellt kan utvecklas till cancer.

Cell: Den grundläggande enheten hos alla levande organismer. Alla organ och vävnader i kroppen består av miljontals mikroskopiska celler.

Celldifferentiering: Den process under vilken unga, omogna (ospecialiserade) celler får individuella egenskaper och uppnår sin mogna (specialiserade) form och funktion.

Cellförökning: En ökning i antalet celler genom celltillväxt och celledning.

Cysta: En ansamling av vätska eller halvfast material i en säck. En cysta kan uppstå i alla organ och vävnader.

Cytokiner: Proteiner som utsöndras från celler som kan stimulera eller förhindra tillväxt/aktivitet i andra celler. Cytokiner produceras lokalt (dvs. i benmärgen) och cirkulerar i blodomloppet. De släpps vanligtvis ut som respons på en infektion.

Deoxiribonukleinsyra (DNA): Arvsmassan – en stor molekyl som bär den genetiska informationen som celler behöver för att föröka sig och för att producera alla kroppens komponenter.

Dexametason: En kraftfull kortikosteroid som ges för sig eller tillsammans med andra läkemedel.

Diagnos: Identifikationen av en sjukdom via dess tecken och symtom samt testresultat.

Dialys: När patientens njurar inte kan filtrera blodet används dialys för att rengöra blodet genom att det förs genom en dialysmaskin.

Dosbegränsande toxicitet (DLT, dose-limiting toxicity): Biverkningar som är tillräckligt allvarliga för att behandlingen inte ska kunna fortsätta.

Effektivitet: Möjligheten att åstadkomma en effekt – i cancerforskning används benämningen "effektivitet" för att indikera om en behandling är effektiv.

Elakartad: Cancerartad. Kan angripa närliggande vävnad och spridas till andra delar av kroppen.

Elektrofores: Ett laboratorietest i vilket en patients serum- (blod-) eller urinmolekyler separeras efter storlek och elektrisk laddning. För myelompatienter gör elektrofores på blod eller urin att mängden myelomprotein (M-protein) kan beräknas och att egenskaperna för den specifika M-spiken för varje patient kan identifieras. Elektrofores används som ett verktyg för såväl diagnos som övervakning.

Enzym: En substans som ökar hastigheten för kemiska förändringar i kroppen.

Erytrocyter: Röda blodkroppar (RBC). De röda blodkropparna transporterar syre till kroppens celler och koldioxid bort från kroppens celler.

Erytropoietin: Ett hormon som produceras av njurarna. Myelompatienter med skador på njurarna producerar inte tillräckligt mycket erytropoietin, vilket kan resultera i anemi. Injektioner med syntetiskt erytropoietin kan hjälpa. En annan alternativ behandling av anemi är blodtransfusion, särskilt i akuta fall. Syntetiskt erytropoietin kan användas som stödjande behandling under en behandling av myelom för att undvika anemi.

Extramedullärt plasmocytom: En tumör som är uppbyggd av monoklonala plasmaceller som finns i mjuk vävnad utanför benmärgen och separat från benet.

Fri lätt kedja: En del av det monoklonala proteinet som har låg molekylvikt. Den kan vara bunden till en tung kedja eller vara obunden, eller fri. Fria lätta kedjor kan mätas i en känslig analys som heter Freelite®-test.

Gastrointestinala biverkningar: Biverkningar av läkemedel som påverkar matsmältningsorganen, som till exempel illamående, kräkningar, diarré och förstoppning.

Gen: En särskild sekvens av DNA-kodning för ett visst protein.

Genetisk: Ärftlig – har att göra med information som går vidare från föräldrar till barn via DNA i generna.

Genterapi: Behandling som påverkar genernas aktivitet. Det handlar vanligtvis om att lägga till eller ta bort en eller flera gener.

Godartad: Ej cancerartad. Angriper inte närliggande vävnad och sprids inte till andra delar av kroppen. MGUS är ett godartat tillstånd.

Granulocyt: Ett slags vit blodkropp som tar död på bakterier. Neutrofiler, eosinofiler och basofiler är alla typer av granulocyter.

Hämma: Att stoppa någonting eller hålla det i schack.

Hematokrit (Hct): Procentandelen röda blodkroppar i blodet. Ett lågt hematokritvärde indikerar anemi.

Hematolog: En läkare som specialiserar sig på problem med blodet och blodmärgen.

Hematologisk: Med sitt ursprung i blodet, eller spridd genom cirkulation eller genom blodomloppet.

Hemoglobin: Ett protein i röda blodkroppar som transporterar syre.

Herpes simplex: Ett vanligt virus som orsakar sår, ofta s.k. munsår.

Herpes zoster: En virusinfektion som ofta angriper nerverna. Detta tillstånd kallas även bältros.

Hormoner: Kemikalier som produceras av olika körtlar och som reglerar aktiviteten hos vissa celler eller organ i kroppen.

Human leukocytantigentest (HLA): Ett blodprov som används för att matcha en blodgivare eller benmärgsdonator med en mottagare av en transfusion eller transplantation.

Hyperkalcemi: En onormalt hög nivå av kalcium i blodet. Hos myelompatienter är detta oftast ett resultat av bennedbrytning, där kalcium från benet kommer ut i blodomloppet. Tillståndet kan orsaka en rad symtom som till exempel dålig aptit, illamående, törst, utmattning, muskelsvaghet, rastlöshet och förvirring. Se "Kalcium".

IgD, IgE: Två mindre vanliga typer av myelom. Se "IgG, IgA".

IgG, IgA: De två vanligaste typerna av myelom. G och A syftar på typen av protein som myelomcellerna producerar. Myelomproteinet, som är ett immunglobulin, består av två tunga kedjor (till exempel av G-typ) kombinerat med två lätta kedjor, som är antingen kappa eller lambda. Därför har de två vanligaste undertyperna av myelom identiska tunga kedjor (dvs. IgG kappa och IgG lambda). Termerna "tung" och "lätt" syftar på proteinets storlek eller molekylära vikt. De tunga kedjorna är större än de lätta kedjorna.

IgM: Vanligtvis relaterat till Waldenströms makroglobulinemi. I mer sällsynta fall kan IgM vara en typ av myelom.

Immundeficiens: En minskning av kroppens kapacitet att bekämpa infektioner och sjukdomar.

Immunfixeringselektrofores (IFE): Ett immunologiskt test av serum eller urin som används för att identifiera proteiner. När det gäller myelompatienter underlättar det för läkaren att identifiera M-proteintypen (IgG, IgA, kappa eller lambda). Det är den känsligaste rutinimmunfärgningstekniken och identifierar M-proteinets exakta typer av tunga och lätta kedjor.

Immunglobulin (Ig): Ett protein som produceras av plasmaceller. En viktig del av kroppens immunsystem. Immunglobuliner binder sig till främmande ämnen (antigener) och bidrar till att ta död på dem. Immunglobulinklasserna (även kallade isotyper) är IgG, IgA, IgD, IgE och IgM. Det icke-medicinska ordet för immunglobulin är "antikropp".

Immunsuppression: En försvagning av immunsystemet som leder till försämrad förmåga att bekämpa infektioner och sjukdomar. Immunsuppression kan vara avsiktlig, som till exempel vid förberedelse inför en benmärgstransplantation för att undvika att värden avvisar donatorns vävnad, eller mer oförutsedd, så som ofta sker vid cellgiftsbehandling av cancer.

Immunsystem: Den komplexa grupp organ och celler som producerar antikroppar, dvs. cellernas respons för att försvara kroppen mot främmande ämnen som till exempel bakterier, virus, toxiner och cancer.

Immunterapi: En behandling som förstärker kroppens naturliga försvar för bekämpning av cancer. Kallas även biologisk terapi.

Incidens: Antalet nya fall av en sjukdom som diagnostiseras varje år.

Induktionsterapi: Den första behandling som görs på en nydiagnostiserad myelompatient i ett försök att åstadkomma en förbättring.

Informerat samtycke: Den process som gör det obligatoriskt för läkaren att ge en patient tillräcklig information om en föreslagen procedur så att patienten kan fatta ett välgrundat beslut om huruvida proceduren eller den planerade strategin ska genomgå eller inte. Läkaren måste, förutom att förklara alla procedurer, ta upp frågor som risker, fördelar, alternativ och eventuella kostnader.

Infusion: Administrering av vätskor eller läkemedel i blodomloppet under en viss tidsperiod.

Infusionspump: En enhet som regelbundet administrerar vätska eller läkemedel i blodomloppet under en viss tidsperiod.

Injektion: Införsel av läkemedel i kroppen med hjälp av spruta och nål.

Interferon: Ett naturligt hormon (cytokin) som kroppen utsöndrar som respons på en infektion eller en sjukdom och som stimulerar tillväxten av vissa sjukdomsbekämpande blodkroppar i immunsystemet. Interferon kan produceras artificiellt genom genteknik och användas som ett slags immunterapi, framför allt i underhållsfasen (platå) för att förhindra tillväxt av myelom och på så sätt skjuta upp eller förhindra ett återfall.

Interleukin: En naturlig kemikalie som utsöndras av kroppen eller ett ämne som används i biologisk terapi. Interleukiner stimulerar tillväxten och aktiviteten hos vissa typer av vita blodkroppar. Interleukin-2 (IL-2) är ett slags modifierare av biologisk respons som stimulerar tillväxten av vissa blodkroppar i immunsystemet som kan bekämpa vissa typer av cancer. Interleukin-6 (IL-6) är ett cytokin som kraftigt stimulerar aktiviteten hos osteoklasterna och plasmaceller.

Kalcium: Ett mineral som huvudsakligen finns i den hårda delen av benmatrix, s.k. hydroxiapatit. Om det produceras eller släpps ut i för stor mängd kan det ansamlas i blodomloppet. Se "**Hyperkalcemi**".

Karcinogen: Ämne eller agens som producerar eller stimulerar cancertilväxt.

Kateter: En slang som ansluts till ett blodkärl som ingång för läkemedel eller näring. En central venkateter (CVK) är en särskild slang som kirurgiskt förs in i en stor ven nära hjärtat och går ut genom bröstkorgen eller buken. Administrering av läkemedel, vätskor och blodprodukter, samt blodprovtagning, kan utföras via katetern.

Kemoterapeutiska agens: Läkemedel som används för att ta död på cancerceller. "Kombinerad kemoterapi" använder mer än ett läkemedel för att behandla cancer.

Klinisk: Innefattar direkt observation eller undersökning av en patient.

Klinisk studie: En forskningsstudie av en ny behandling som inbegriper patienter. Varje studie är utformad för att hitta bättre sätt att förhindra, upptäcka, diagnostisera eller behandla cancer och besvara vetenskapliga frågor.

- **Kontrollgrupp** – den gren av en randomiserad studie som får standardbehandlingen eller placebo (ingen behandling).

- **Experimentgrupp** – den gren av en randomiserad studie som får den nya behandlingen.

- **Randomiserad klinisk studie** – en forskningsstudie i vilken patienterna slumpmässigt utses att få en viss behandling eller ej.

- **Gren** – en av behandlingsgrupperna i en randomiserad studie. Majoriteten av randomiserade studier har två, men vissa kan ha fler.

- **Slutpunkt** – studiens mål, dvs. det den kliniska studien försöker mäta eller ta reda på. Vanliga slutpunkter är mätningar av toxicitet, responsgrad och överlevnad.

- **Dubbelblind** – en randomiserad studie i vilken varken deltagarna eller forskaren vet vilken gren patienten tillhör. Med detta vill man utesluta bias när resultaten ska meddelas.

- **Fas I-studie** – en studie avsedd att avgöra den maximalt tolererbara dosen (MTD) för ett nytt läkemedel eller en ny läkemedelskombination. Det är vanligtvis det första testet på människor, men när det rör sig om fas I-studier av behandlingskombinationer kan det hända att beståndsdelarna redan är väl testade individuellt. Patienter i fas I-studier har i allmänhet långt framskriden cancer som standardbehandlingarna inte har någon effekt på. I en typisk fas I-studie ges behandlingen till på varandra följande grupper (s.k. kohorter) med 3 till 6 patienter vardera. Alla patienter i en kohort får samma dos. Den första kohorten får i normalfallet en mycket låg dos och dosen höjs sedan i varje påföljande kohort tills ett givet antal patienter upplever dosbegränsande toxicitet (DLT, dose-limiting toxicity). Dosen som gavs till den föregående kohorten utses då till MTD. Sedan används denna dos i en fas II-studie.

- **Fas II-studie** – en studie avsedd att avgöra responsgraden för en ny behandling som redan har testats i fas I-studier. I normalfallet behandlas 14 till 50 patienter med en typ av cancer för att se hur många som visar respons. Patienterna måste vanligtvis ha en långt framskriden cancer på vilken standardbehandlingarna inte har någon effekt. Dessutom måste de ha en mätbar sjukdom. Om resultaten från en fas II-studie är tillräckligt lovande kan behandlingen testas i en fas III-studie. Om resultaten är klart bättre än standardbehandlingen kan det hända att en fas III-studie inte behöver genomföras och behandlingen kan bli standard baserat på resultaten från fas II-studien.

• **Fas III-studie** – en studie avsedd att jämföra två eller fler behandlingar för ett givet cancerstadium. Slutpunkten för en fas III-studie är vanligtvis överlevnad eller sjukdomsfri överlevnad. Fas III-studier är vanligtvis randomiserade, vilket innebär att patienterna inte väljer vilken behandling de får. I normalfallet av fas III-studier deltar 50 till tusentals patienter. Vissa fas III-studier jämför en ny behandling som visat goda resultat i fas II-studier med en äldre, välkänd standardbehandling. Andra fas III-studier jämför behandlingar som redan är i allmänt bruk. Vissa behandlingar i fas III-studier kan vara tillgängliga utanför ramen för den kliniska studien.

• **Fas IV-studie** – även efter det att ett läkemedel har godkänts av United States Food and Drug Administration (FDA, USA:s livsmedels- och läkemedelsmyndighet) för användning i en specifik situation kan det vara nödvändigt att genomföra ytterligare studier. Kliniska fas IV-studier kan krävas av tillsynsmyndigheter eller utföras av det finansierande företaget av olika skäl. Till exempel är säkerhetskontrollen utformad för att upptäcka sällsynta eller långsiktiga biverkningar på en större patientpopulation och under längre tid än vad som var möjligt under de kliniska fas I–III-studierna.

Kreatinin: En liten kemisk sammansättning som vanligtvis utsöndras av njurarna och som hamnar i urinen. Om njurarna skadas ökar nivåerna av kreatinin i serum och nivåerna blir till slut för höga. Testet av kreatinin i serum används för att mäta njurfunktionen.

Kromosom: En sträng av DNA och proteiner i cellkärnan. Kromosomer innehåller gener och överför genetisk information. Normala mänskliga celler innehåller 46 kromosomer.

Kronisk: Som fortgår under en längre tidsperiod.

Läkemedelsresistens: Minskningen i effektivitet för ett visst läkemedel för att bota en sjukdom eller ett tillstånd. Under en cancerbehandling kan cancercellerna bli resistenta mot behandlingen med hjälp av olika verktyg som till exempel gener, proteiner och alternativa vägar för att garantera sin överlevnad.

Laktatdehydrogenas (LDH): Ett energiproducerande enzym som finns i nästan alla kroppens vävnader. LDH-nivåerna i blodomloppet ökar som respons på cellskador. LDH kan användas för att övervaka myelomaktivitet.

Lesion: Ett område med onormal vävnad. En knöl eller böld som kan vara orsakad av en skada eller en sjukdom som till exempel cancer. När det gäller myelom kan "lesion" syfta på ett plasmocytom eller ett hål i benet.

Leukocyter: Celler som hjälper kroppen att bekämpa infektioner och andra sjukdomar. Kallas även vita blodkroppar (WBC).

Lymfocyter: B-celler, T-celler och NK-celler (natural killer), som tillsammans utgör 30 % av de vita blodkropparna. B-lymfocyter och T-lymfocyter ansvarar för den adaptiva immunitetsreaktionen, vilket gör så att immunsystemets celler binds till specifika antigener på cellytan på infektiösa organismer, tumörer och andra främmande ämnen.

Lymfopeni: Låga nivåer av B-celler, T-celler och NK-celler (natural killer), som tillsammans utgör 30 % av de vita blodkropparna. B-lymfocyter och T-lymfocyter ansvarar för den adaptiva immunitetsreaktionen, vilket gör så att immunsystemets celler binds till specifika antigener på cellytan på infektiösa organismer, tumörer och andra främmande ämnen.

Lytiska lesioner: Det skadade område på benet som syns som en mörk prick på en röntgenbild när minst 30 % av det friska benet i något område har förtärts. Lytiska lesioner ser ut som hål i benet och är ett tecken på att benet har försvagats.

M-proteiner (M-spike): Antikroppar eller delar av antikroppar som finns i ovanligt stora mängder i blodet eller urinen hos patienter med multipelt myelom. M-spike syftar på det skarpa mönster som inträffar på proteinelektrofores när ett M-protein förekommer. Synonymt med monoklonalt protein och myelomprotein. Se "**Monoklonal**".

Magnetisk resonanstomografi (MRT): Ett diagnostiskt bildåtergivningstest som använder magnetfält och radiovågor, inte joniserande strålning, för att framställa två- eller tredimensionella bilder av organ och strukturer inuti kroppen. MRT visar mjuka vävnader med mycket hög upplösning, särskilt när det gäller angrepp på ryggmärgen, men är mindre precis när det gäller benlesioner.

Maximalt tolererbar dos (MTD): Den största dos av en behandling som de flesta klarar av med bibehållen säkerhet.

Melanom: Cancer i de pigmentbildande cellerna i huden eller i ögats näthinna. Ej relaterad till myelom trots den snarlika benämningen.

Metastasera: Spridas från en del av kroppen till en annan. När cancerceller metastaseras och bildar sekundära tumörer liknar cellerna i den metastatiska tumören cellerna i den ursprungliga (primära) tumören. Termen används ofta för att beskriva en sjukdomsprocess i solida tumörer (i till exempel bröst eller prostata) och inte i myelom, som är en blodrelaterad cancertyp.

Molekyl: Den minsta partikel i ett ämne som besitter alla ämnets egenskaper och består av en eller flera atomer.

Monocyt: Ett slags vit blodkropp som finns i cirkulationen. Kallas även makrofag när den förekommer i vävnader.

Monoklonal: En klon eller kopia av en enskild cell. Myelom utvecklas från en enskild elakartad plasmacell (monoklon). Även typen av myelomprotein som produceras är monoklonal, dvs. i en enskild form snarare än i många olika former (polyklonal). En viktig praktisk aspekt av monoklonalt protein är att det visas som en skarp topp (M-spike) i testet av elektrofores i serum.

Monoklonal antikropp: En artificiellt tillverkad antikropp (skapad i ett laboratorium snarare än i kroppen) särskilt utformad för att hitta och binda sig till cancerceller och/eller immunsystemceller för diagnos eller behandling. Monoklonala antikroppar kan användas enskilt eller för att administrera läkemedel, toxiner eller radioaktivt material direkt i tumörcellerna.

Monoklonal gammopati av oklar signifikans (MGUS): Ett slags plasmacellsjukdom som kännetecknas av jämförelsevis låga nivåer av monoklonalt protein i blodet och/eller urinen. Låg nivå av plasmaceller i benmärgen (< 10 %). Inga myelomrelaterade symtom (dvs. anemi, njursvikt, hyperkalcemi och lytiska lesioner) förekommer.

Multiläkemedelsresistens (MDR, Multi-drug resistance): Resistens mot standardbehandling, vanligtvis associerad med resistens mot Adriamycin® (doxorubicin) och vinkristin som båda är läkemedel för cellgiftsbehandling. Resistensen orsakas av ansamlingen av P-glykoprotein i myelomcellernas yttre cellmembran. Resultatet av detta är att läkemedlen avvisas från myelomcellen i stället för att ansamlas och slutligen ta död på cellen.

Multipelt myelom: En cancer som uppstår från plasmacellerna i benmärgen. De cancerartade plasmacellerna kallas myelomceller.

Myeloid: Syftar på myelocyter, ett slags vita blodkroppar. Kallas även myelogen. Myelom är en icke-myeloid cancer.

Myelosuppression: En minskning i benmärgens produktion av röda blodkroppar, blodplättar och vissa vita blodkroppar.

Neoplasi: Onormal nytillväxt av celler.

Neoplasm: Onormal nytillväxt av vävnad eller celler som bildar en tumör.

Neutrofil: Ett slags vit blodkropp som behövs för att bekämpa bakterieinfektioner.

Neutropeni: Minskad nivå av neutrofiler. Neutrofilerna är ett slags vita blodkroppar som behövs för att bekämpa bakterieinfektioner.

Ödem: Svullnad – en onormal ansamling av vätska i en del av kroppen.

Onkogen: En gen eller DNA-sekvens som i normala fall styr celltillväxten, men som även kan främja eller tillåta okontrollerad cancertillväxt om den skadas (muterar) genom att exponeras för karcinogener, eller om den är skadad eller saknas på grund av en ärftlig defekt. En gen som kan orsaka att en normal cell blir cancerartad.

Onkolog: En läkare som specialiserar sig på cancerbehandling. Vissa onkologer specialiserar sig på en viss typ av cancer.

Osteoblast: En bencell associerad med produktionen av benvävnad. Osteoblaster producerar osteoid som mineraliseras med kalcium och bildar ny hård benvävnad.

Osteoid: Det protein som produceras av osteoblasterna, vilket mineraliseras med kalcium för att bilda hårt ben.

Osteokalcin i serum: Ett protein som produceras och utsöndras av osteoblaster när de tillverkar osteoid. En låg nivå indikerar aktivt myelom. En nivå över det normala indikerar ett mer stabilt myelom.

Osteoklast: En cell som finns i ben och benmärg där benet och benmärgen möts. Den tar hand om nedbrytningen eller metabolismen av gammal benvävnad. I myelom är osteoklasterna överstimulerade, samtidigt som osteoblasternas aktivitet är förhindrad. Kombinationen av accelererad benresorption och förhindrad bildning av ny benvävnad resulterar i lytiska lesioner.

Osteonekros i käken (ONJ, Osteonecrosis of the jaw): Ett problem i käken som observeras hos en liten andel av de patienter som tar bisfosfonater. Tillståndet resulterar i smärta, svullnad och skador i benen runt käkarnas tandhålor. Osteonekros, eller benförlust, inträffar och kan leda till lösa tänder, vassa kanter på blottade ben, benutskott och små lossnade benflisor eller död benvävnad. Ett fall definieras av ≥ 3 månader med blottat ben som inte läks. Symtomen kan vara otydliga till att börja med, eller kan inkludera smärta, svullnad, domning, en känsla av "tung käke", eller att en tand är lös.

Osteoporos: En progressiv skelettsjukdom som kännetecknas av en minskning i benets massa och täthet, vilket leder till ökad risk för frakturer. Diffus inblandning av ben med myelom producerar något som ser ut som osteoporos på röntgenbilder och i bentäthetsmätningar.

Palliativ behandling: En behandling som är utformad för att förhöja livskvaliteten genom att lindra smärta och andra sjukdomssymtom, men som inte är avsedd att påverka sjukdomens utveckling.

Patologi: Studiet av sjukdomar genom undersökning av vävnader och kroppsvätskor i mikroskop. En läkare som är specialiserad på patologi kallas patolog.

Patologisk fraktur: Ett benbrott vanligtvis orsakat av cancer eller ett sjukdomstillstånd. Inträffar i ben som försvagats av myelom och som inte klarar av normal vikt och påfrestning.

Placebo: Ett överksamt (inaktivt) ämne som ofta används i kliniska studier för jämförelse med ett experimentellt läkemedel. Ingen klinisk studie av cancerpatienter i USA kan av etiska och juridiska skäl randomisera patienter att administreras enbart placebo om de är i behov av behandling. I placebogruppen av en cancerbehandlingsstudie får patienterna en behandling som innehåller godkänd terapi plus placebo.

Plasma: Blodvätska som innehåller röda blodkroppar, vita blodkroppar och blodplättar.

Plasmaceller: Särskilda vita blodkroppar som producerar antikroppar (immunglobuliner). Myelom är en typ av cancer i plasmacellerna. Elakartade plasmaceller kallas myelomceller. Vid myelom producerar elakartade plasmaceller stora mängder onormala antikroppar som saknar förmågan att bekämpa infektioner. Dessa onormala antikroppar är det monoklonala protein, eller M-protein, som fungerar som tumörmarkör för myelom. Plasmaceller producerar även andra kemikalier som kan orsaka skador på vävnad och organ (dvs. anemi och skador på njurar och nerver).

Plasmaferes: Den process som avlägsnar vissa proteiner från blodet. Plasmaferes kan användas för avlägsnande av höga nivåer av monoklonalt myelomprotein från blodet hos myelompatienter.

Plasmocytom: Se "Extramedullärt plasmocytom" och "Solitärt plasmocytom i skelett (SPB, Solitary plasmacytoma of the bone)".

Port (implanterad): Kateter ansluten till en dosa stor som en enkrone som via kirurgi placeras precis under huden i bröstkorgen eller buken. Katetern förs in i en stor ven eller artär direkt i blodomloppet. Vätska, läkemedel eller blodprodukter kan administreras och blod kan tas genom en nål som förs in i dosan.

Positronemissionstomografi (PET): Ett diagnostiskt test som använder en avancerad kamera och dator för

att framställa bilder av kroppen. PET-skanning påvisar skillnaden mellan frisk och onormalt fungerande vävnader baserat på aktiva cancercellers upptagning av radioaktivt märkt socker.

Prognos: En sjukdoms förväntade resultat eller förlopp. Chanserna till återhämtning. Det kan även syfta på sannolik livslängd.

Progressionsfri överlevnad (PFS, Progression-free survival): En förlängning i överlevnaden för en patient som kan tillskrivas direkt till myelombehandlingen. Den tidsperiod under vilken patienten överlever utan att myelomet växer eller återkommer. Se "Progressiv sjukdom".

Progressiv sjukdom: Myelom som försämras eller återkommer enligt dokumenterade test. Definieras som en ökning på $\geq 25\%$ i nivån av myelomprotein och/eller ny evidens för sjukdomen.

Protokoll: En detaljerad behandlingsplan, inklusive dos och schemaläggning av läkemedel.

Radiolog: En läkare som är specialiserad på att framställa och tolka bilder av områden inuti kroppen. Bilderna framställs med röntgenstrålar, ljudvågor, magnetfält eller andra energityper.

Recidiv: En sjukdom som visar sig på nytt efter en tids remission.

Refraktär: Sjukdom som inte längre svarar på standardbehandlingar. Hos patienter med refraktärt myelom har sjukdomen varit progressiv under behandlingen eller inom 60 dagar efter behandlingen. De flesta kliniska studier för långt framskriden sjukdom är för patienter som har återfallit och/eller med refraktärt myelom.

Regression: En storleksminskning hos en cancer eller en tumör.

Respons eller remission: Cancersymtomen upphör helt eller delvis. Remission och respons är synonyma termer.

- **Stringent fullständig respons (sCR, Stringent complete response)** – sCR är CR (enligt definitionen nedan) plus normal andel fria lätta kedjor samt frånvaro av klonala celler i benmärgen genom immunhistokemi eller immunfluorescens.
- **Fullständig respons (CR, Complete response)** – för myelom innebär CR negativ immunfixering på serum (blod) och urin, att alla plasmocytom i mjuk vävnad försvinner samt $\leq 5\%$ plasmaceller i benmärgen. CR innebär inte att sjukdomen är botad.

- **Mycket god partiell respons (VGPR, Very good partial response)** – VGPR är mindre än CR. VGPR är M-protein i serum och urin som kan detekteras via immunfixering men inte på elektrofores, eller en minskning på minst 90 % i M-protein i serum samt en nivå av M-protein i urin på mindre än 100 mg per 24 timmar.

- **Partiell response (PR)** – PR är en responsnivå som innehåller en minskning av M-protein på minst 50 %, och en minskning i 24-timmars M-protein i urin på minst 90 % (eller till mindre än 200 mg per 24 timmar).

Ribonukleinsyra (RNA): En av flera nukleinsyror som är associerade med kontrollen av cellernas kemiska aktivitet. RNA är en av de två nukleinsyror som finns i alla celler – den andra är DNA (deoxiribonukleinsyra). RNA överför genetisk information från DNA till de proteiner som cellen producerar.

Röda blodkroppar (RBC, erythrocyter): Celler i blodet som innehåller hemoglobin och transporterar syre till och koldioxid från kroppens alla delar. Produktionen av röda blodkroppar stimuleras av ett hormon (erytropoietin) som bildas i njurarna. Myelompatienter med skador på njurarna producerar inte tillräckligt mycket erytropoietin, vilket kan resultera i anemi. Myelompatienter kan även drabbas av anemi på grund av myelomcellernas effekt på benmärgens förmåga att skapa nya röda blodkroppar.

Röntgen: Elektromagnetisk högenenergistrålning som används i små doser för diagnos av sjukdomar och i större doser för att behandla cancer.

Röntgenabsorptionsstudie (DXA, tidigare DEXA, Dual-energy x-ray absorptiometry): Används för att mäta skelettets densitet.

Sjukdomsfri överlevnad: Den tidsperiod en patient överlever utan märkbar cancer.

Skelettundersökning (metastasundersökning): En serie vanliga röntgenbilder av kranium, ryggrad, revben, bäcken och skelettets långa ben i sökandet efter lytiska lesioner och/eller osteoporos.

Skiktröntgen (DT eller CT): Ett test som använder datoriserade röntgenstrålar för att skapa tredimensionella bilder av organ och strukturer inuti kroppen. Det används för att detektera små områden med skelettskador eller om mjuk vävnad är inblandad.

Solitärt plasmocytom i ben (SPB): En diskret, enskild samling monoklonala plasmaceller i ett ben. Diagnosen av SPB kräver en solitär benlesion, en biopsi av denna som påvisar infiltrering av plasmaceller, negativa bildåtergivningsresultat för andra benlesioner, frånvaro av klonala plasmaceller i ett slumpmässigt benmärgsprov samt inga evidens för anemi, hyperkalcemi eller renal inblandning som tyder på systemiskt myelom.

Stabil sjukdom: Beskriver patienter som har viss respons på behandling men vars proteinnivå visar en förbättring eller progression på mindre än 25 %. I sakta framskridande myelom kan en stabilisering pågå i många år.

Stadieindelning: Att ta reda på en cancers utsträckning i kroppen genom undersökningar och test.

Stadium: En cancers utsträckning i kroppen.

Stamceller (hematopoetiska stamceller): De omogna celler från vilka alla blodkroppar utvecklas. Normala stamceller ger upphov till normala blodkomponenter inklusive röda blodkroppar, vita blodkroppar och blodplättar. Stamceller finns vanligtvis i benmärgen och kan sköras för transplantation.

Steroid: Ett slags hormon. Myelompatienter får ofta steroider tillsammans med ett eller fler cancerbekämpande läkemedel och steroiderna förstärker i normalfallet fördelarna med myelombehandlingen.

Stödjande vård: En behandling som ges för att förhindra, kontrollera eller mildra komplikationer och biverkningar och för att förbättra patientens komfort och livskvalitet.

Strålbehandling: Behandling med röntgenstrålar, gammastrålar eller elektroner för att skada eller ta död på elakartade celler. Strålningen kan komma utifrån kroppen (extern strålning) eller från radioaktiva material som placeras direkt i tumören (inre strålning).

Systemisk behandling: Behandling med ämnen som färdas genom blodomloppet för att nå och angripa celler i hela kroppen.

Toxiner: Gifter producerade av vissa djur, växter eller bakterier.

Transfusion: Överföring av blod eller blodprodukter.

Transplantat-mot-värdsjukdom (GVHD, Graft-versus-host disease): En reaktion från donerade benmärgsceller mot mottagarens egen vävnad.

Transplantation: Det finns flera olika typer av transplantation.

- **Transplantation av stamceller från perifert blod (PBSC, Peripheral blood stem cell)** – läkare tar friska stamceller från en patients blodomlopp (inte från benmärgen) och lagrar dem innan patienten får cellgiftsbehandling i hög dos för att ta död på cancerceller. Stamcellerna återförs sedan till patienten där de kan producera nya blodkroppar som ersätter de celler som behandlingen har eliminerat. Användningen av PBSC för autolog transplantation gör det enklare och säkrare att hämta stamceller och återhämtningen efter transplantationen är snabbare än vid benmärgstransplantation.
- **Autolog transplantation** – en procedur där stamceller tas från en patients blod och sedan förs tillbaka till patienten efter en intensiv behandling.
- **Benmärgstransplantation** – hämtning av stamceller från benmärgen följt av infusion av dessa celler i en patient. Den här termen används numera mer sällan i fråga om myelom, eftersom stamceller nu hämtas från perifert eller cirkulerande blod.
- **Allogen (allograft) transplantation** – infusion av benmärg eller stamceller från en individ (donator) till en annan (mottagare). En patient får benmärg eller stamceller från en kompatibel, men inte nödvändigtvis genetiskt identisk, donator. Ett HLA-blodprov tas för att avgöra om patienten har en potentiell matchande donator. En donator kan vara en familjemedlem eller framtagen i ett donationsregister som till exempel National Marrow Donor Program (NMDP). I sällsynta fall kan donatorceller hämtas från en navelsträngsblodbank.
- **Allotransplantation med reducerad förbehandling (RIC, Reduced-intensity conditioning)** – en nyare och, för myelom, säkrare teknik än allogen transplantation. RIC är en icke-myeloablativ "mini-allotransplantation" med reducerad intensitet som utförs inom 180 dagar efter en vanlig autolog transplantation.
- **Tandemtransplantation** – två transplantationer. Det kan röra sig om två autologa transplantationer eller en autolog transplantation följt av en allogen transplantation (donatortransplantation). Tandemtransplantationer planeras vanligtvis med tre till sex månaders mellanrum.
- **Transplantation från matchad obesläktad donator (MUD, Matched unrelated donor)** – syftar på en stamcellstransplantation där stamcellerna matchar

patienten genetiskt men de kommer inte från en familjemedlem. Den här proceduren rekommenderas inte för myelompatienter eftersom den innebär en oacceptabelt hög risk för dödsfall.

- **Syngen transplantation** – infusion av benmärg eller stamceller från patientens identiska tvilling.
- **Navelsträngstransplantat** – stamceller från nyföddas navelsträngar. Dessa fryses ned och lagras i en navelsträngsblodbank.

Trombocytopeni: Ett minskat antal blodplättar i blodet. Normalnivån varierar beroende på laboratorium. Normalnivån på Mayo-kliniken är 150 000–450 000. Om antalet blodplättar är lägre än 50 000 kan blödningsproblem uppstå. Kraftigt blödning sker oftast när antalet har minskat till mindre än 10 000.

Tumör: Onormal samling vävnad som uppstår genom för frekvent celledelning.

Tumörmarkör: Ett ämne i blod eller andra kroppsvätskor som påvisar att personen eventuellt har cancer.

Tumörnekrosfaktor (TNF): Ett slags biologisk responsmodifierare som kan förbättra kroppens naturliga respons på sjukdomar.

Underhållsbehandling: Läkemedel som ges till patienter vilkas tillstånd har förbättrats för att skjuta upp eller förhindra ett återfall.

Vaccin: Ett preparat av döda mikroorganismer, levande försvagade organismer eller levande fullt friska organismer som administreras för att skapa eller på artificiell väg öka immuniteten mot en viss sjukdom.

Virus: En liten levande partikel som kan infektera celler och förändra cellernas funktion. En virusinfektion kan leda till att en person utvecklar symtom. Vilken sjukdom och vilka symtom som uppstår beror på typen av virus och typen av infekterade celler.

Vita blodkroppar (WBC): Gemensamt ord för en serie celler som tar hand om bekämpningen av angripande mikrober, infektion och allergiframkallande ämnen. Cellerna skapas i benmärgen och färdas sedan till andra delar av kroppen. Exempel på vita blodkroppar är neutrofiler, granulocyter, lymfocyter och monocyter.

Waldenströms makroglobulinemi (WM): En sällsynt typ av indolent lymfom som drabbar plasmaceller. För stora mängder IgM-protein produceras. Inte en typ av myelom.



10 STEPS TO BETTER CARE®

ETT UNIKT VERKTYG FÖR DIAGNOS- OCH BEHANDLINGSINFORMATION

En av de svåraste sakerna med att bli diagnostiserad med multipelt myelom är att man snabbt måste ta in och förstå mängder av information om en främmande och ganska komplicerad sjukdom. 10 Steps to Better Care® (10 steg mot bättre vård) leder dig fram genom den resa som myelom innebär, hela vägen från diagnos till långsiktig överlevnad:

1. Var medveten om vad du har att göra med. Få rätt diagnos.
2. Test som du verkligen bör utföra.
3. Alternativ för inledande behandling.
4. Om stödjande vård och hur du får den.
5. Transplantation: Behöver du en?
6. Responsbedömning: Fungerar behandlingen?
7. Konsolidering och/eller underhåll.
8. Hålla sig informerad om myelomet: Övervakning utan hemligheter.
9. Återfall: Behöver du ändra på behandlingen?
10. Nya studier: Så här hittar du dem.

Besök **10steps.myeloma.org** för att få bättre förståelse för sjukdomen och diagnosen och gå igenom stegen för att få reda på vilka som är de bästa testen, behandlingarna, kliniska studierna och alternativen för stödjande vård som för närvarande finns tillgängliga.

Som alltid råder International Myeloma Foundation (IMF) dig att grundligt diskutera alla vårdärenden med din läkare. IMF finns här för att ge dig de verktyg du behöver för att förstå och på bästa sätt hantera ditt myelom. Besök IMF:s webbplats myeloma.org eller ring IMF:s InfoLine på +1 800-452-2873 eller +1 818-487-7455 och tala med våra utbildade informationsexperten om dina frågor och bekymmer. IMF finns här för att hjälpa dig.

Detta utbildningshäfte till för patienter
är godkänt av Blodcancerförbundet



www.blodcancerforbundet.se



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

Telefon:

+1 800-452-2873
(USA och Kanada)

+1 818-487-7455
(globalt)

Fax: +1 818-487-7454

TheIMF@myeloma.org

myeloma.org