

Informasjon til pasienter med myelodysplastisk syndrom (MDS)

Informasjon om sykdommen

Du har sykdommen myelodysplastisk syndrom som vi gjerne forkorter til MDS.

"*Myelo*" betyr marg, i denne sammenheng benmarg. Benmarg finnes i kroppens store ben og er stedet der blodlegemene lages. De røde blodlegemene transporterer surstoff (oksygen) rundt i kroppen, og dette måles med hemoglobin (Hb). De hvite blodlegemene deltar i vårt forsvar mot infeksjoner. Blodplatene, som også kalles trombocytter, har til oppgave å stoppe blødninger.

"*Dysplasi*" betyr at cellene i benmargen ikke utvikles og modnes som de skal. Dette innebærer at benmargen ikke greier å lage nok av de ulike blodlegemene og at du således kan utvikle for få av en eller flere av disse.

"*Syndrom*" er et annet ord for "gruppe av sykdommer".

Symptomer ved MDS

Mangel på blodlegemer kan gi ulike symptomer.

De fleste pasienter med MDS har for få **røde blodlegemer**. Dette kalles anemi. Vi sier at pasienten er blodfattig, har lav Hb eller lav blodprosent. Hvis anemien er uttalt, kan tretthet og slapphet bli så betydelig at det kan bli problematisk å greie vanlige gjøremål. Anemien ved MDS skyldes ikke mangel på jern eller vitaminer, men i utredningen av sykdommen vil dette undersøkes. MDS pasienter har vanligvis for mye jern i kroppen og bør derfor ikke ta jerntabletter hvis ikke jernmangel er påvist. Anemien vil kunne medføre behov for blodtransfusjoner

Pasienter med MDS kan også ha for lavt antall **hvite blodlegemer**. Vanligvis er det de **neutrofile granulocytene**, som er svært viktige i forsvaret mot infeksjoner, som er lave. Hvis antallet bare er litt redusert, gir dette sjelden plager. Dersom antallet neutrofile granulocytter er svært lavt, vil det være økt risiko for infeksjoner. Det er derfor viktig at du som har MDS, kontakter din lege eller sykepleier dersom du får høy feber eller moderat temperaturforhøyelse som ikke går over i løpet av noen dager.

Pasienter med MDS kan også ha lavt antall **blodplater (trombocytter)**. Hvis antallet bare er litt redusert, er dette uten betydning. Ved moderat redusert blodplattetall er det ofte lettere å få blå flekker i huden og ev. blødning i tannkjøttet ved tannpuss. Risikoen for alvorlige indre blødninger er liten. En del pasienter med MDS får imidlertid betydelig redusert antall blodplater. Det kan da være aktuelt med blødningsforebyggende medisin eller transfusjon med blodplater. Det er viktig at du informerer om dine trombocyttdier hvis du for eksempel skal trekke en tann, skal opereres eller kommer ut for en ulykke.

MDS er en sykdom som kan arte seg svært forskjellig. Det finnes fra lettgradige typer som ikke gir noen symptomer, til alvorlige former. I tillegg til denne informasjonen er det derfor viktig at du får personlig informasjon av din lege om akkurat din form for MDS.

Utredning av MDS

Det er viktig at det gjøres en nøye utredning av sykdommen. Dette hjelper oss i å velge riktig behandling og gjør at vi kan gi deg informasjon om akkurat din form for MDS. Utredningen innebærer derfor av og til to benmargsprøver med et visst tidsintervall. Det er viktig at utredningen innbefatter en **kromosomanalyse**, dvs. en analyse av arveanlegg av MDS cellene i benmargen. Oftest vil det også være nødvendig å ta en benmargsbiopsi.

Prognosen ved MDS

MDS kan være en fredelig sykdom som ikke nevneverdig påvirker allmentilstand eller livs-lengde. Den kan i så tilfelle være stabil over mange år. For de fleste pasienter foreligger det imidlertid en risiko for sykdomsforverring med tiden. Hb og de andre blodlegemene vil da bli lavere, og antallet umodne celler (**blaster**) i benmargen kan øke. For enkelte pasienter vil MDS utvikle seg til den langt mer alvorlige tilstanden akutt leukemi. Risikoen for utvikling til akutt leukemi varierer fra knapt å være økt, til å være relativt stor.

I den utredningen som gjøres i forbindelse med din diagnose av MDS, inngår også en vurdering av din prognose. Din lege bedømmer da: hvor lave dine blodlegemer er, andelen blaster i benmargen, hvordan kromosomene i benmargen ser ut, og tilstedeværelse av ev. tilleggsfaktorer. Denne vurderingen er viktig for hvordan din form for MDS skal behandles.

Behandling av MDS i Norge

Alle spesialister i blodsykdommer (hematologer) vil kunne ta seg av MDS pasienter. Ved de fleste regionsykehusene er det leger med særlig interesse for MDS og som inngår i den Nordiske MDS gruppens nettverk av leger og sykepleiere med spesiell interesse for sykdommen. Disse leger og sykepleiere treffes regelmessig. Den Nordiske MDS gruppen (NMDSG) har i løpet av de siste 25 årene arbeidet for å forbedre utredning og behandling av MDS. NMDSG oppdaterer regelmessig de Nordiske retningslinjene for utredning og behandling av MDS. Mer om dette kan finnes på nettsiden www.nmds.org

Informasjon om behandling

Informasjon om behandling av myelodysplastisk syndrom (MDS)

MDS kan gi ulike symptomer og ha forskjellig alvorlighetsgrad. Det foreligger derfor mange ulike typer behandling ved MDS. Stamcelletransplantasjon kan helbrede pasienter med MDS, men forutsetter en alder der dette er forsvarlig. For de øvrige pasientene er sykdommen kronisk. Imidlertid finnes ulike behandlinger som kan bedre dine blodverdier og kan gjøre at du vil føle deg kjekkere. Her følger korte beskrivelser av hvilke behandlinger som kan være aktuelle ved MDS. Du kommer til å få detaljert informasjon om de alternativ som kan være aktuelle for deg.

Ingen behandling

Din MDS-sykdom kan være så moderat at du ikke behøver behandling. Du kommer da til å gå til regelmessige kontroller, ta blodprøver med jevne mellomrom og benmargsprøve av og til. Kontrollene har til hensikt å oppdage tidlig om sykdommen forverres. Det er også viktig at du tar legekontakt hvis du føler deg dårligere.

Transfusjonsbehandling

Det vanligste er at du behøver transfusjoner med røde blodlegemer for å bedre blodprosenten (Hb) og redusere den trettheten som ofte ledsager lav Hb. De fleste pasienter finner med tiden ut hvilket Hb-nivå, akkurat de trenger, for å ha det bra. Det er derfor viktig at du i samråd med din lege og sykepleier kommer frem til den Hb som kjennes riktig for deg. Blodtransfusjoner kan mottas i mange år, av til i flere tiår, men vil føre til at kroppen lagrer for mye jern. Etter hvert kan jernmengden bli så høy at det ansees nødvendig å gi deg medisin for å redusere jernnivåene i kroppen. Dine jernverdier vil bli kontrollert regelmessig.

Vekststimulerende stoffer

Vekststimulerende stoffer lages i kroppen og kan fremstilles som medisin. De stimulerer dannelsen av blodlegemer og kan av og til brukes i behandling ved MDS. Målet med denne behandlingen er å gi deg bedre og i beste fall normale blodverdier. Erythropoietin (EPO) stimulerer dannelsen av røde blodlegemer og brukes for å øke Hb-nivåene. Granulocyt-CFS (G-CSF) stimulerer dannelsen av hvite blodlegemer (eg. granulocytene), men bidrar også til å øke dannelsen av de røde blodlegemene. EPO med eller uten G-CSF kan brukes som behandling ved lav Hb ved MDS. G-CSF kan i enkelte tilfeller brukes ved lavt antall granulocytter ledsaget av infeksjoner. I kliniske studier undersøkes nå stoffer som stimulerer dannelsen av blodplater.

Azacytidin

Dette er en mildere cellegift som også virker ved å gjenopprette funksjonen av visse gener (arveanlegg) ved MDS. En annen benevnelse for dette er at medisinen virker "epigenetisk". Azacytidin ble registrert i 2009 i Europa, men har blitt brukt av NMDSG i flere år. Azacytidin gis ved de mer alvorlige typer av MDS og har til hensikt å bedre blodverdiene, utsette utviklingen til leukemi og forlenge overlevelsen. Denne behandlingen gis poliklinisk på sykehus og settes med sprøyte under huden (subkutant) i 5 påfølgende dager hver 4. uke. Behandlingstiden varierer fra 6 måneder til lengre perioder.

Cellegiftbehandling

Vanlig cellegift eller "cytostatika" kan være en bra behandling for visse pasienter med MDS. Dette gjelder spesielt for yngre pasienter med økt antall blaster i benmargen og der stamcelletransplantasjon planlegges. Cellegiftbehandling kan også være aktuelt for pasienter som allerede har utviklet leukemi. Et mål ved cellegiftbehandling er å redusere antallet umodne celler i benmargen og derved gi deg bedre og i beste fall normale blodverdier. Et annet mål er å gjøre forutsetningene for stamcelletransplantasjon så gode som mulig.

Cellegift kan av og til også gis i lave doser og da vanligvis poliklinisk. Denne behandlingen har til hensikt å bedre blodverdiene og lindre symptomer.

Stamcelletransplantasjon

Allogen stamcelletransplantasjon (med stamceller fra en annen person) kan helbrede pasienter med MDS og bør vurderes hos yngre pasienter med alvorlige former for MDS. Behandlingen er dog forbundet med så stor risiko at den ikke kan gjennomføres på eldre pasienter. Dersom allogen stamcelletransplantasjon er et alternativ for deg, vil du få spesiell informasjon om dette.

Immunhemmende behandling

Lavt antall blodlegemer ved spesielle og sjeldne typer MDS kan være forårsaket av unormal aktivering av pasientens immunsystem. Det kan i disse tilfeller være hensiktsmessig å prøve immunhemmende behandling. Mistanke om denne form for MDS oppnås ved utredning av sykdommen.

Ny behandling

Utviklingen går raskt, og det kommer med jevne mellomrom nye medisiner som utredes med tanke på behandling ved MDS. Din lege kan gi deg mer informasjon. Av og til registreres nye legemidler i USA før de godkjennes i Europa. Det finnes også medisiner som er godkjente i USA, men ikke i Europa. Vanligvis er det gode grunner for slike beslutninger. Ofte fortsetter forskning på slike medisiner innenfor rammen av kliniske studier i Europa, og av og til kan de brukes på lisens. Det er da svært viktig at behandlingen kontrolleres av lege med solid erfaring med MDS.

Forskning

MDS forskning er framgangsrik i Norden. NMDSG driver vedvarende forskning på behandling ved MDS ved et antall såkalte kliniske studier. Hvis du ikke ønsker å delta i en studie, vil du alltid få tilbud om den best mulige, etablerte behandling. "Karolinska Institutet" i Stockholm i Sverige har vært og er sentrum for den laboratorieforskningen som er gjort i regi av NMDSG. De studerer der blod og benmarg fra MDS pasienter i den hensikt å forstå mer av sykdommen og finne ut hvordan ulik behandling virker. Hvis vi ønsker å undersøke din benmarg, vil du alltid bli spurt om dette på forhånd.

Den Nordiske MDS Gruppen (NMDSG), mars 2010.

Informasjonen er laget av professor dr. med. Eva Hellström-Lindberg.

Norsk versjon ved overlege dr. med. Ingunn Dybedal, OUS, Rikshospitalet.
Nasjonal koordinator for NMDSG i Norge.