

Information til patienter med myelodysplastisk syndrom (MDS)

Information om sygdommen

Du har sygdommen myelodysplastisk syndrom, som vi plejer at forkorte "MDS".

"*Myelo*" betyder knoglemarv. Knoglemarven findes inde i alle kroppens store knogler, og her dannes tre forskellige slags blodlegemer. De røde blodlegemer transporterer ilt rundt i kroppen og måles ved hæmoglobinværdien "Hb", populært kaldet blodprocenten. De hvide blodlegemer (kaldet leukocytter) deltager i vores forsvar mod infektioner. Blodpladerne, som også kaldes trombocytter, er vigtige for organismens evne til at forhindre og stoppe blødninger.

"*Dysplasi*" betyder at cellerne i knoglemarven ikke udvikles og modner ud, som de skal. Dette indebærer, at knoglemarven ikke formår at danne tilstrækkeligt med blodlegemer, hvilket er grunden til, at du har mangel på en eller flere typer af blodlegemer.

"*Syndrom*" er et andet ord for "gruppe af sygdomme".

Symptomer ved MDS

Mangel på blodlegemer kan give symptomer på forskellige måder.

De fleste patienter med MDS har mangel på røde blodlegemer. Dette kaldes sædvanligvis blodmangel, lav Hb. eller anæmi. Hvis der er tale om svær blodmangel, kan man blive meget træt og få svært ved at klare de daglige gøremål. Man kan også blive svimmel og være generet af åndenød. Blodmangel ved MDS skyldes ikke mangel på jern eller vitaminer, men i udredningen af din sygdom kontrollerer man dette. Du skal ikke tage jerntabletter ved MDS, eftersom du ofte har for meget jern i kroppen, allerede når sygdommen konstateres. Blodmanglen kan føre til, at du har behov for at få blodtransfusioner.

Patienter med MDS kan også have mangel på hvide blodlegemer. Hvis der er tale om en let mangel, er der almindeligvis ikke symptomer herpå. Alvorlig mangel på hvide blodlegemer kan føre til en forøget infektionsrisiko. Det er derfor meget vigtigt, at du kontakter din læge eller sygeplejerske, hvis du har høj feber, eller lettere feber, som ikke går over i løbet af et par dage.

Patienter med MDS kan også have mangel på blodplader (trombocytter). Hvis der er tale om en let blodplademangel, vil det ikke give nogen symptomer. Hvis blodpladetallet er moderat nedsat vil eventuelle symptomer være en forøget tendens til blå mærker, næseblod eller evt. Tandkødsblødning ved tandbørstning. Risikoen for alvorlige blødninger er meget lille. En del MDS-patienter har svært nedsatte blodpladeværdier. I det tilfælde kan det være aktuelt at give dig blødningsforebyggende medicin eller give transfusioner med blodplader. Det er vigtigt, at du fortæller om din blodplademangel, hvis du fx skal have trukket en tand ud, skal have foretaget en operation eller kommer ud for en ulykke.

MDS er en sygdom, som kan vise sig på mange forskellige måder. Der findes meget lette former, som ikke giver symptomer, og også alvorligere former. Foruden dette informationspapir er det vigtigt, at du får personlig information af din læge om netop din form for MDS.

Udredning af MDS

Det er vigtigt, at man foretager en grundig udredning af sygdommen. Dette hjælper os med at vælge den rette behandling og gør, at vi kan give dig besked om netop din form for MDS. Udredningen indebærer oftest en knoglemarvsprøve, som i nogle tilfælde må gentages efter et vist tidsrum. Det er vigtigt, at udredningen inkluderer en såkaldt kromosomanalyse, der er en analyse af arveforholdene (generne) i de syge celler i knoglemarven.

Prognose ved MDS

MDS kan være en meget mild sygdom, som ikke påvirker almentilstanden og livslængden væsentligt, og som er stabil over en lang årrække. For en stor del af patienter med MDS er der dog en risiko for, at sygdommen udvikler sig over tid. Dette kan indebære, at manglen på blodlegemer bliver mere udtalt. Men også, at forekomsten i knoglemarven af umodne celler (såkaldte blaster) stiger så meget, at sygdommen i nogle tilfælde bliver til egentlig blodkræft, kaldet akut myeloid leukæmi (AML). Risikoen for udvikling af akut leukæmi varierer stærkt - fra knapt at være øget til at være relativt stor.

I den udredning, som du gennemgår, indgår også en vurdering af din prognose. Din læge bedømmer graden af mangel på blodlegemer, hvor stor en del af knoglemarvens celler, der er blaster (jo flere jo værre) samt hvordan dine kromosomer i MDS cellerne ser ud. Denne vurdering er vigtig i forhold til valg af behandling af din sygdom.

Regionale MDS centre i Danmark

Samtlige sygehusregioner i Danmark er repræsenteret i Nordisk MDS gruppens netværk af læger og sygeplejersker med speciel interesse i MDS. Disse læger og sygeplejersker mødes regelmæssigt. Nordisk MDS gruppe (NMDSG) har i løbet af de seneste 25 år arbejdet for at forbedre udredning og behandling af MDS og opdaterer regelmæssigt retningslinjer vedrørende dette. Man kan læse mere på www.nmds.org.

Forskning

MDS forskning er fremgangsrig i Norden. NMDSG bedriver hele tiden forskning vedrørende nye behandlinger af MDS gennem såkaldte kliniske protokoller/forsøg. Vor afdeling er medlem af NMDSG, og vil således ofte tilbyde behandling i et af disse kliniske forsøg. Hvis du ikke ønsker at deltage, vil du altid blive tilbudt den bedst mulige standardbehandling. I flere centre i Danmark foregår laboratoriebaseret forskning i MDS, der forsøger at finde årsagerne til sygdommen, samt hvordan forskellige behandlinger virker. I denne sammenhæng studeres blod og knoglemarv. Hvis forskere skulle ønske at undersøge dit blod eller din knoglemarv, vil du altid blive spurgt om tilladelse til dette.

Information om behandling

Behandling af myelodysplastisk syndrom (MDS)

MDS kan give forskellige symptomer af meget forskellig sværhedsgrad, og der findes derfor mange forskellige behandlinger ved MDS. Der findes mulighed for helbredelse af MDS, hvis man har en alder, hvor knoglemarvstransplantation er mulig at gennemføre. For andre patienter er sygdommen kronisk, forstået på den måde, at det ikke er muligt at behandle sygdommen helt væk. Derimod findes der forskellige måder til at bedre dine blodværdier og dermed at lindre dine symptomer.

Her følger kortfattede beskrivelser af de forskellige behandlinger, der kan blive aktuelle ved MDS. Din læge vil give dig mere detaljeret information om de behandlingsalternativer, der kan komme på tale hos dig.

Ingen behandling

Din MDS-sygdom kan være så let, at du ikke behøver blodtransfusioner eller anden behandling. Du kommer i så fald til at gå til regelmæssige kontroller og får taget blodprøver med jævne mellemrum og indimellem også knoglemarvsundersøgelser. Kontrollerne har til formål at opdage om sygdommen forværres. Det er også vigtigt, at du lader høre fra dig, hvis du begynder at få det værre.

Transfusionsbehandling

Det mest almindelige er, at du har behov for transfusioner med røde blodlegemer for at forbedre din hæmoglobinværdi (Hb. eller blodprocent) og dermed mindske den træthed som ofte er til stede ved blodmangel. De fleste patienter lærer sig med tiden, ved hvilket Hb-niveau de har det godt, og det er derfor vigtigt, at du i samråd med din læge og/eller sygeplejerske forsøger at finde det Hb-niveau, som er rigtigt for dig.

Man kan få blodtransfusioner i mange år, undertiden i flere årtier. Hver blodtransfusion tilfører dog ekstra jern til kroppen, hvilket fører til at kroppen ophober jern. Dine jernværdier vil blive målt regelmæssigt ved blodprøver, og det kan undertiden være nødvendigt at give dig medicin for at nedsætte jernmængden i din krop.

Knoglemarvsstimulerende hormoner/Vækstfaktorer

Knoglemarvshormoner/Vækstfaktorer dannes i din krop, men kan også fremstilles som medicin. Knoglemarvshormoner stimulerer dannelsen af blodlegemer, og de kan undertiden benyttes i behandlingen af MDS. Målet med denne behandling er, at give dig bedre og i bedste fald normale blodværdier. Erythropoietin (EPO) stimulerer dannelsen af røde blodlegemer og benyttes med henblik på at øge Hb-værdien. Granulocyt-CSF (G-CSF) stimulerer dannelsen af hvide blodlegemer, men kan nogle gange også stimulere dannelsen af røde blodlegemer. EPO med eller uden G-CSF kan i nogle tilfælde bruges ved behandling af blodmangel ved MDS. G-CSF kan i visse tilfælde bruges som behandling ved infektioner, som skyldes for lavt antal hvide blodlegemer.

Der udføres aktuelt kliniske forsøg med midler, der kan stimulere dannelsen af blodplader hos patienter med MDS.

Azacitidine

Dette er en slags mildere cellegift, som også virker ved at reparere funktionen af visse defekte gener (arveanlæg) i MDS-cellerne. Et andet navn for denne effekt er, at det virker "epigenetisk". Azacitidine registreredes i Europa i 2009, men har været anvendt i Nordisk MDS gruppe (NMDSG) gennem flere år. Azacitidine anvendes ved alvorligere og mere fremskredne former for MDS - og vil i mange tilfælde forbedre blodværdierne, udsætte udviklingen af akut leukæmi samt forlænge overlevelsen. Behandlingen gives ambulant som indsprøjtninger i underhuden, og medicinen indgives i 5 på hinanden følgende hverdage. Behandlingen gentages hver 4. uge. Behandlingsvarigheden varierer fra 6 måneder til flere år.

Cellegifte/kemoterapi

Cellegifte, også kaldet cytostatika eller kemoterapi, kan være en god behandling af visse patienter med MDS. Det gælder specielt yngre patienter, med et forøget antal umodne celler i knoglemarven, eller før allogen stamcelle transplantation. Det kan også være aktuelt hos yngre patienter, som allerede har udviklet leukæmi. Målet med behandlingen er, at forbedre -og i nogle tilfælde - at normalisere blodværdierne. Et andet formål er, at gøre forudsætningerne for en efterfølgende allogen stamcelletransplantation så gunstige som muligt.

Undertiden er det mest hensigtsmæssige at give lave doser af kemoterapi, som kan holde sygdommen i ave og som vil kunne gives ambulant. Målet er at forbedre blodværdierne og at reducere generende almensymptomer.

Stamcelletransplantation

For yngre patienter med MDS kan det være aktuelt at diskutere stamcelletransplantation. Allogen transplantation (med stamceller fra donor) kan være en helbredende behandling ved MDS. Behandlingen er dog forbundet med så tilpas store risici, at det ikke kan gennemføres hos ældre patienter. Såfremt allogen transplantation er en behandlingsmulighed i dit tilfælde vil du få specifik information herom af din læge.

Immunhæmmende eller immunmodulerende behandling

Den nedsatte knoglemarvsfunktion og manglen på blodlegemer kan - i specielle tilfælde af MDS - være forårsaget af, at patientens eget immunsystem er blevet aktiveret på en uhensigtsmæssig måde. Der kan i sådanne tilfælde være grund til at forsøge immunhæmmende behandling. Mistanke om en MDS tilstand, der kan behandles med immunsvækkende behandling, fås ved grundudredningen af din sygdom.

Forskning

MDS forskning er fremgangsrig i Norden. NMDSG bedriver hele tiden forskning vedrørende ny behandling af MDS gennem såkaldte kliniske protokoller/forsøg. Danske afdelinger er medlem af NMDSG og vil således ofte tilbyde behandling i et af disse kliniske forsøg. Hvis du ikke ønsker at deltage, vil du altid blive tilbudt den bedst mulige standardbehandling. I flere centre i Danmark foregår laboratoriebaseret forskning i MDS, der forsøger at finde årsagerne til sygdommen, samt hvordan forskellige behandlinger virker. I denne sammenhæng studeres blod og knoglemarv. Hvis forskere skulle ønske at undersøge dit blod eller din knoglemarv, vil du altid blive spurgt om tilladelse til dette.

Nordisk MDS gruppe, januar 2010

Informationen er udfærdiget af professor. dr. med. Eva Hellström-Lindberg, Karolinska Sygehus, formand for Nordisk MDS Gruppe

Oversat til dansk af klinikchef, dr. med. Lars Kjeldsen, Rigshospitalet, national koordinator for Nordisk MDS gruppe i Danmark