"A gyógymód megtalálása • életek javítása"

Kiadta a Nemzetközi Myeloma Alapítvány (IMF)

Nemzetközi Myeloma Alapítvány
12650 Riverside Drive, Suite 206
North Hollywood, CA 91607-3421
Forródrót (az USA-ban és Kanadában): 800.452.CURE (2873)
Tel: 00 1 818.487.7455
Fax: 00 1 818.487.7454
Email: TheIMF@myeloma.org
Weboldal: www.myeloma.org

A myelomás betegek életminőség javításának szentelve, a megelőzés és a gyógymód irányába haladva.

Finding the Cure • Improving Lives

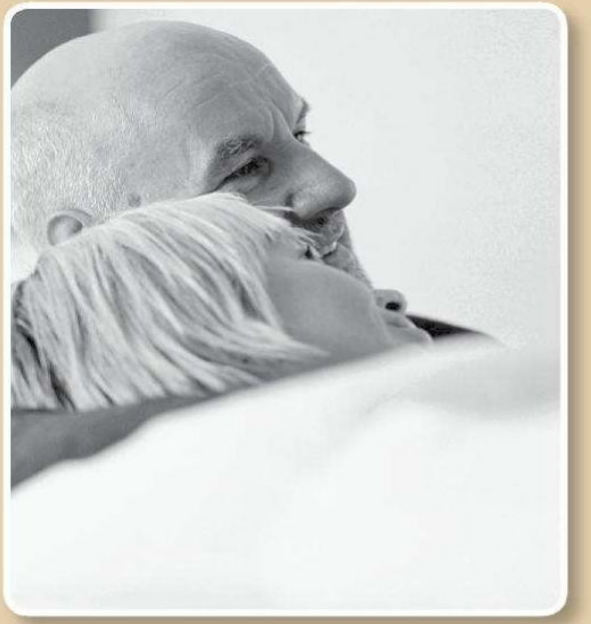
© 2010 International Myeloma Foundation

Finding the Cure • Improving Lives

Nemzetközi Myeloma Alapítvány

A myeloma multiplex

A csontvelő rákos megbetegedése



Betegek kézikönyve

Készítette dr Brian G.M. Durie

2010-2011-es kiadás

TARTALOMJEGYZÉK

ÁTTEKINTÉS 1

MI A MYELOMA? 2

ALAPVETŐ TÉNYEK A MYELOMÁRÓL 4

AZ OK, AMIÉRT A MYELOMÁT KEZELNI KELL 5

MI OKOZZA AZ EGÉSZSÉGÜGYI PROBLÉMÁKAT A MYELOMA ESETÉBEN? 6

A MYELOMA KÜLÖNBÖZŐ TÍPUSAI 8

A MYELOMA STÁDIUMAI 9

TESZTELÉS DIAGNÓZISKOR 12

A MYELOMA KEZELÉSE 14

KEZDETI VAGY ELSŐVONALBELI TERÁPIA 15

TÁMOGATÓ (SZUPPORTÍV) KEZELÉS 18

HA AZ ELSŐVONALBELI TERÁPIA NEM HATÉKONY 20

KÉRDÉSEK, MELYEKET KÉRDEZZEN MEG ORVOSÁTÓL 20

SZAKKIFEJEZÉSEK ÉS DEFINÍCIÓK 23

IMF KIADVÁNYOK LISTÁJA 40

ÁTTEKINTÉS

A myeloma multiplex a csontvelő rákos megbetegedése. A rendszeres médiafigyelem ellenére is alacsony a nagy nyilvánosság érdeklődése a myeloma iránt. Ennek a füzetnek az a szándéka, hogy alapvető információkat és javaslatokat nyújtson arra vonatkozóan, hogyan kell megbirkózni ezzel a betegséggel.

A Nemzetközi Myeloma Alapítvány (IMF) elkötelezett amellett, hogy oktatást és támogatást biztosítson a betegek és családjaik részére. Ez a kézikönyv olyan alapvető ismereteket ad a myeloma mulitplexről, mely elegendő lehet a betegek számára a kezelési lehetőségekkel kapcsolatban a megalapozottabb döntéshozatalhoz. A kézikönyv kiegészítésként szolgál az orvos által adott információhoz. A gondozók, a családtagok, és a barátok is hasznos információt találhatnak benne.

Bár jelenleg nem gyógyítható a myeloma, ez egy kiválóan kezelhető betegség. Sok beteg továbbra is teljes és produktív életet él évekig, akár évtizedekig is a diagnózis felállítása után. A folyamatosan zajló kutatások eredményeként a betegek általános kilátásai folyamatosan javulnak. A betegség jobb megismerése és annak megértése, hogy mit lehetne még tenni a segítség érdekében, mind csökkentik a szorongást és könnyebbé teszik a diagnózis elfogadását.

A myeloma egy nagyon egyedi betegség. A myeloma általában lassú lefolyású, de néha sokkal agresszívabb is lehet. Míg az orvos minden egyes helyzetet külön értékel és a legjobb megközelítést javasolja, a beteg központi szerepet tölt be abban, hogy segítsen az egyénre szabott terápiás döntések meghozatalában. Fontos, hogy a betegek és családjaik jól informáltak legyenek, kérdéseket tegyenek fel, és komolyan átgondolják az alternatív stratégiákat és opciókat. A Nemzetközi Myeloma Alapítvány kulcs fontosságú üzenete ez: „A tudás hatalom”. A betegség ismerete segít a legjobb döntés meghozatalában.

Egyéb információ a Nemzetközi Myeloma Alapítványról. Ez a füzet arra összpontosít, hogy mi a teendő, amikor a myelomát felfedezik. Egyéb részletek a további kezelésekről úgymint a transzplantációról, szupportív kezelésről, egyes gyógyszerekről, valamint arról, hogy mi a teendő visszaesés esetén, továbbá klinikai vizsgálatokról más füzetekben elérhető a

MI A MYELOMA?

www.myeloma.org oldalon. Bármilyen kérdéssel és problémával az IMF Forródrótja mindig elérhető az 1-800-452-CURE (2873) számon (angol nyelven).

A myeloma a szó szoros értelmében egy „oma”, vagyis daganat, magába foglalja a „myelo”-t, vagyis a vértermelő sejteket a csontvelőben. Az ebben érintett sejtek a plazmasejtek (egyfajta fehérvérsejtek), melyek az antitest- (immunglobulin-) termelő sejtjeink. A rosszindulatú vagy rákos plazmasejt a myeloma sejt. A myelomát többszörösnek, „multiplexnek” nevezzük, mivel gyakran többszörös foltok vagy területek vannak a csontban, ahol a daganatok vagy elváltozások kialakulnak. Egyetlen elváltozást szoliter plasmocytomának hívunk.

A myeloma azokat a területeket érinti, ahol a csontvelő normális esetben aktív egy felnőttben. Ez a velő a csontok üreges részében van, a gerinc, a koponya, a medence és a bordák, valamint a váll és a csípő körüli területeken. Azok a területek, amelyek általában nem érintettek, a végtagok, a kezek, a lábak, az alkar és a lábszár környéke. Ez nagyon fontos, mivel ezeknek a kritikus területeknek a funkciója általában teljesen megmarad.

A myelomát fel lehet fedezni a rákot megelező stádiumban *(lásd 1. Táblázat)*. Egyes esetekben a myelomás sejtek nagyon lassan alakulnak ki a csontvelőben. A legkorábbi stádiumot MGUS-nak nevezzük. Ez nem rákos elváltozás, hanem egy állapot, mely elnevezése bizonytalan jelentőségű monoklonális gammopathia (MGUS). Ebben az állapotban a myelomás sejtek kevesebb, mint 10%-át alkotják a csontvelősejteknek. Az átmenet kockázata az MGUS állapotból az aktív myeloma állapotába nagyon alacsony: az esélye csak 1% évente. Még akkor is, ha a myelomás sejtek a teljes csontvelő egy magasabb arányát, 10-30%-át teszik ki, a növekedési ütem nagyon lassú lehet és indolens/parázsló vagy aszimptomatikus myelomára utalhat. Mind a MGUS, mind pedig az indolens myeloma nagyon lassan változhat több év leforgása alatt és nem igényel aktív kezelést. Nagyon fontos a helyes diagnózis megállapítása, megkülönböztetve az MGUS és indolens myelomát az aktív vagy szimptomatikus myelomától, amely már aktív kezelést igényel.

1. TÁBLÁZAT: AZ MGUS ÉS A MYELOMA DEFINÍCIÓJA

RÉGI MEGNEVEZÉS	*ÚJ MEGNEVEZÉS*	*DEFINÍCIÓ*
MGUS (bizonytalan jelentőségű monoclonalis gammopathia)	**MGUS** (azaz, nincs változás az elnevezésben)	• Monoklonális fehérje van jelen. • Nincs alapbetegség állapot jelen.
PARÁZSLÓ vagy INDOLENS MYELOMA	**ASZIMPTOMATIKUS MYELOMA**	• A betegség az MGUS-nél egy magasabb szintje, de még nincsenek tünetek vagy szervi károsodás.*
MYELOMA	**SZIMPTOMATIKUS MYELOMA**	• Monoklonális fehérje van jelen, és • Egy vagy y több "*CRAB*" jellemzője a szervi károsodásnak.*

* A SZERVI ELVÁLTOZÁS BESOROLÁSA, ÚGY MINT "**CRAB**" vagy bármely más jelentős klinikai probléma, mely a myeloma progressziójához kapcsolódik, úgymint visszatérő fertőzések vagy neuropathia (a kezeléstől független)

C – kalciumszint emelkedése elevation (>10 mg/L)

R – renális diszfunkció (kreatinin >2 mg/dL)

A – anaemia (haemoglobin <10 g/dL or >2g/dL decrease)

B – bone disease (csontbetegség) (lyticus károsodás vagy csontritkulás)

EGY VAGY TÖBB "**CRAB**" jellemző vagy egyéb szignifikáns probléma szükséges a SZIMPTOMATIKUS MYELOMA diagnózishoz

ALAPVETŐ TÉNYEK A MYELOMÁRÓL

Bár számos dolog látszik a myeloma okozójának vagy kiváltójának, az összes részlet nem ismert. Tényezők, melyek összefüggésben állnak a myeloma fokozott kockázatával és az ezzel kapcsolatos betegségekkel, azok mérgező vegyi anyagok (például mezőgazdasági kemikáliák, a Vietnámban használt Agent Orange, valamint egy egész sor petrolkémiai vegyület, pl., oldószerek és tisztítószerek), a sugárzás (beleértve az nukleáris sugárzást), és számos vírus ideértve a humán immundeficiencia vírust (HIV), a hepatitis vírusokat, a humán herpeszvírus 8-at (HHV-8), a HHV-6-ot és másokat. Családi örökletesség is hajlamosít a myelomára: körülbelül a családtagok 5%-os fokozott myeloma kockázatnak vannak kitéve. A potenciális szűrést/korai tesztelést beszélje meg orvosával.

A myeloma felnőtteknél fordul elő. Az átlagos életkor a myeloma kezdetekor 60 év körüli. A betegeknek mindössze 5-10%-a 40 éves kor alatti. A myeloma gyakrabban fordul elő férfiaknál és bizonyos faji csoportoknál, úgymint az afroamerikaiaknál.

Hozzávetőlegesen 20.000 új eset fordul elő az Egyesült Államokban évente. Az előfordulási arány 100.000 ázsiai között ~0,5-től 1 főig terjed, olyan magas értéket, mint ~10-től 12 főig, 100.000 afroamerikai férfi között találunk. Egyidejűleg 100.000 myelomás beteg áll kezelés alatt az Egyesült Államokban. Magyarországon évente 400 új myelomás megbetegedést diagnosztizának, a kezelt betegek száma 1200 körül van.

AZ OK, AMIÉRT A MYELOMÁT KEZELNI KELL

A myeloma, ha nem kezelik, csontkárosodást, emelkedett vér kalciumszintet, rossz vérképet (főleg vérszegénységet), fertőzésre való hajlamot, és vesekárosodást okozhat. Mivel a csigolyacsontok gyakran érintettek és mivel a myelomás sejtek által termelt fehérjék károsíthatják az idegeket, gyakoriak a gerinc- és idegrendszeri problémák, melyek sürgős ellátást igényelnek.

A myeloma kezelése során fontos különbséget tenni olyan sürgős problémák, mint a csontkárosodás, fertőzés, vesekárosodás, vagy idegek nyomása között, melyek azonnali figyelmet igényelnek a betegség kezelésének átfogó tervezésével ellentétben. Néha a sürgős ellátást nem lehet és nem szabad halogatni. Mindamellett javasolt egy kezdeti konzultáció a myelomában jártas hematológussal/onkológussal. Példa lehet egy sürgősségi műtét kontra sugárkezelés lehetőségeinek megvitatása. Ugyanúgy fontos szempont arra is ügyelni, hogy az összes kezelési lehetőség nyitva maradjon a jövőre nézve.

Miután a sürgős gondokat kezeltük, az átfogó terveket részletesen is meg lehet tárgyalni. Gyakorta lehetőség van második vélemény keresésére vagy konzultációra egy myeloma-specialista szakemberrel, annak biztosítása érdekében, hogy minden lehetőséget gondosan mérlegeljünk. Még ha az elgondolások egyértelműnek is tűnnek, ha vannak aggályok, kérdések, illetve kételyek, akkor jobb ezeket inkább előbb, mint később kimondani. Rendkívül fontos egy, az orvosával kölcsönösen egyeztetett terv megléte a folyamatos kezelés esetén.

MI OKOZZA AZ EGÉSZSÉGÜGYI PROBLÉMÁKAT A MYELOMA ESETÉBEN?

Az egészséges plazmasejtek immunglobulint termelnek, amelyek komplex fehérjék, úgynevezett „antitestek”. A myelomás sejtek nem termelnek normális működésű antitesteket, hanem ahelyett egyetlen klonális fehérjét vagy immunglobulint, melyet „monoklonális fehérjének” neveznek.

Az összes myelomához kapcsolódó egészségügyi problémát a myelomás sejtek elszaporodása okozza *(lásd 2. Táblázat).* Mindamellett más ráktípusokkal ellentétben a myeloma számos szokatlan szövődményt is okozhat a betegeknél, mivel a myelomás sejtek nemcsak daganatot hoznak létre, hanem számos fehérjét és egyéb vegyi anyagokat is kibocsátanak a csontvelő helyi mikrokörnyezetébe és közvetlenül a véráramba.

- **Hatásai a csontvelőben.** A csontvelőben történő hatások magukban foglalják a vérképzés csökkenését és a környező csont károsodását. Végeredményként a myeloma számos közös jellegzetességét kapjuk, úgymint a vérszegénységet, a fertőzésre való hajlamot, a csontfájdalmat és az emelkedett vér kalciumszintet.
- **Hatásai a csontvelőn kívül.** A csonvelőn kívüli hatások többnyire a myelomás sejtek által termelt monoklonális fehérjének köszönhetők. Amint a myelomás sejtek elszaporodnak a csontvelőben, az immunglobulin vagy antitest fehérje, amely a myelomára jellemző, a vérkeringésben felszaporodik.

Ez a myelomás sejtek által termelt egyedi immunglobulin fehérje vagy monoklonális fehérje okozhat szövetkárosodást távolabb eső területeken; például a vesekárosodás sem ritka. A fehérje gátolhatja a véralvadást és/vagy a keringést, és potenciálisan előidézheti más szerv vagy szövet károsodását is.

A myeloma kezelése csökkenti a tumor növekedését, valamint a myeloma fehérje és vegyi anyagok okozta különböző hatásokat.

2. TÁBLÁZAT: A MYELOMÁVAL ÖSSZEFÜGGŐ EGÉSZSÉGÜGYI PROBLÉMÁK

A MEGNÖVEKEDETT MYELOMA SEJTEK HATÁSA A CSONTVELŐBEN	*OK*	*HATÁSA A BETEGRE*
Emelkedés a vér kalciumszintben (C*)	Kalcium véráramba jutása a károsodott csontból	• Mentális zavarok • Kiszáradás • Székrekedés • Fáradtság • Gyengeség • Vesekárosodás **(R*)**
Renális problámák (R*) – vesekárosodás	A myelomás sejtek által termelt abnormális vagy monoklonális fehérjék a véráramba kerülnek és bejuthatnak a vizeletbe (ahol Bence-Jones fehérjének nevezik őket) és vesekárosodást okoznak. Magas vér kalciumszint, fertőzések és egyéb tényezők szintén okozhatnak vesekárosodást.	• Lassú keringés • Fáradtség • Mentális zavarok
Anaemia (A*)	A vörösvértesteket termelő sejtek számának és aktivitásának csökkenése, vérszegénység.	• Fáradtság • Gyengeség
Csontkárosodás (B*) • Ritkulás (osteoporosis) vagy • Súlyosabban károsodott területek okoznak **lítikus károsodást, törést, vagy egy csigolya összeroppanását**	A myelomás sejtek aktiválják az osteoclast (csontfaló) sejteket, melyek elpusztítják a csontgerendákat és blokkolják a csontképző sejteket, melyek normális esetben helyrehozzák a csontkárosodást.	• Csontfájdalom • Csont duzzanata • A csont törése vagy csont összeroppanása • Ideg- vagy gerincvelő sérülés

További szervi diszfunkció típusai

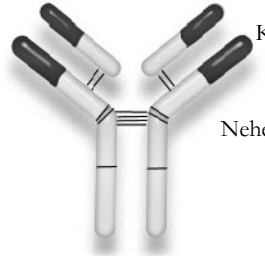
Immunrendszer kóros működése	A myelomás sejtek blokkolják a normális antitestek termelődését a fertőzések ellen.	• Fertőzésre való hajlam • Fertőzésből való lassú gyógyulás

***CRAB** kritériumok: **C** Kalcium; **R** Renális/vese; **A** Anaemia; **B** Bone/Csont

A MYELOMA KÜLÖNBÖZŐ TÍPUSAI

A myelomának különböző típusai és altípusai vannak. Ezek a myelomás sejtek által termelt immunglobulin típusán (M-fehérje) alapulnak. Általában a különböző immunglobulinoknak különböző funkciói vannak a szervezetben. Minden egyes immunglobulin fehérje két nehéz- és két könnyűláncból tevődik össze. *(lásd 1. Ábra).* Ötféle nehéz fehérje lánc van: G, A, D, E, és M. Kétféle könnyű fehérje lánc van: kappa (κ) és lambda (λ). A myeloma tipizálása (egy úgynevezett "immunfixációnak" [IFE]) nevezett vizsgálattal) azonosítja mind a nehéz-, mind pedig a könnyűláncokat. A legtöbb myelomában szenvedő betegnek, körülbelül 65%-nak IgG (G) típusú myelomája van κ és λ könnyűláncokkal. A következő leggyakoribb típus a IgA (A) típusú myeloma, szintén vagy κ vagy λ könnyűláncokkal. *(lásd 3. Táblázat).* Az IgM, IgD, és IgE myelomák igen ritkák.

1. ÁBRA: IMMUNGLOBULIN SZERKEZETE



A betegek megközelítőleg 30%-a mutat könnyűláncokat a vizeletben (pl. kappa könnyűláncok) egyidejűleg nehéz- és könnyűláncokat (pl., IgG kappa) a vérben. A betegek mintegy 10%-ánál a myelomás sejtek csak könnyűláncokat termelnek és nehézláncokat nem. Ezt „könnyűlánc" vagy „Bence-Jones" fehérjének nevezik. Ritkán (mintegy 1–2%-a a betegeknek) a myelomás sejtek nagyon kevés vagy semmilyen típusú monoklonális fehérjét sem termelnek. Ezt „non-szekretoros" myelomának hívják. Viszont a FreeliteTM teszt (serum free light chain assay, szérum szabad könnyűláncok meghatározása) képes lehet a könnyűláncok kis mennyiségét is észlelni a vérben e betegek többségénél.

3. TÁBLÁZAT: A MYELOMA TÍPUSAI

*NEHÉZLÁNC**	*KÖNNYŰLÁNC***	*MYELOMA TÍPUS*
IgG: (immunglobulin G)	kappa (κ) vagy lambda (λ vagy L)	IgGκ vagy IgGλ, immunglobulin G kappa vagy lambda könnyűláncokkal
IgA: (immunglobulin A)	kappa (κ) vagy lambda (λ or L)	IgAκ vagy IgAλ, immunglobulin A kappa vagy lambda könnyűláncokkal

**A ritkább típusok a IgD, IgE és IgM. Az IgM fehérjék általában egy rokon betegséggel társíthatóak, melyet Waldenström macroglobulinaemiának hívnak.*
***Csupán kétféle könnyűlánc típus létezik.*

Finom különbségek vannak a myeloma különböző típusainak viselkedésében. Az IgG típusú myeloma rendelkezik a szokásos sajátosságokkal. Az IgA típus néha jellemezhető csonton kívüli daganatokkal. Az IgD típust kísérheti plazmasejtes leukémia és gyakrabban okoz vesekárosodást. A könnyűlánc vagy Bence-Jones fehérjék okoznak a legnagyobb valószínűséggel vesekárosodást és/vagy vezetnek könnyűlánc lerakódáshoz a vesékben és/vagy az idegeken és egyéb szerveken. A könnyűlánc lerakódás jellegzetességétől függően ezt az állapotot vagy amyloidnak vagy könnyűlánc-lerakódásnak nevezzük.

A MYELOMA STÁDIUMAI

Amikor myelomát diagnosztizálnak, a myelomás sejtek mennyisége a szervezetben betegenként változó. Ezt a myeloma stádiumának nevezik. Az egyik leggyakrabban használt klinikai stádium besorolási rendszert a 4. táblázat mutatja, valamint bemutatja az összefüggést a myeloma kiterjedtségének mértéke és az általa okozott károsodás között, például a csontbetegség vagy a vérszegénység foka. A kilátások jobbak, ha a kezelést korán kezdik, így a kiterjedt csontbetegség vagy egyéb komplikációk megelőzhetőek. A ma leggyakrabban használt prognosztikai faktor alapú stádium besorolási rendszert az 5. táblázat mutatja, amely világszerte több, mint húsz kutatóintézet együttműködésének az eredménye.

4. TÁBLÁZAT: A DURIE ÉS SALMON FÉLE STÁDIUM BESOROLÁSI RENDSZER

STÁDIUM	*KRITÉRIUMOK*	*MÉRT MYELOMA SEJTTÖMEG (myeloma sejt milliárd/ m^2)**
I. STÁDIUM (alacsony sejttömeg)	*Az összes alábbi:* • Hemoglobin érték >10 g/dL • Szérum kalcium érték normális vagy <10.5 mg/dL • Csontröntgen, normális csontszerkezet (0. fokozat), vagy csak szoliter plasmacytoma • Alacsony M protein termelés IgG érték <5 g/dL; IgA érték <3 g/dL • Vizelet könnyűlánc M-protein elektroforézissel <4 g/24h	600 milliárd*
II. STÁDIUM (közepes sejttömeg)	*Sem az I. stádiumba, sem pedig a III. stádiumban nem illik*	600-tól 1.200 milliárdig* **myelomás sejtek az egész testben*
III. STÁDIUM (magas sejttömeg)	*Egy vagy több az alábbiak közül:* • Hemoglobin érték <8.5 g/dL • Szérum kalcium érték > 12 mg/dL • Előrehaladott lítikus csontkárosodás (3. fokozat) • Magas M-protein termelés IgG érték > 7 g/dL IgA érték >5 g/dL	>1.200 milliárd*
ALOSZTÁLYOZÁS (vagy A vagy B)	• A: viszonylag normál vesefunkció (szérum kreatinin érték) <2.0 mg/dL • B: abnormális vesefunkció (szérum kreatinin érték) >2.0 mg/dL *Példák: IA stádium (alacsony sejttömeg normális vesefunkcióval); IIIB stádium (magas sejttömeg abnormális vesefunkcióval)*	

5. TÁBLÁZAT: NEMZETKÖZI STÁDIUM BESOROLÁSI RENDSZER (ISS)
A multiplex myeloma stádium besorolása

STÁDIUM	*ÉRTÉKEK*
1. STÁDIUM	*β2M < 3;5* *ALB < 3;5*
2. STÁDIUM	*β2M < 3;5* *ALB < 3;5* *vagy* *β2M > 5;5*
3. STÁDIUM	*β2M > 5;5*

Megjegyzés: β2M = Serum β2 microglobulin mg/L
ALB = Serum albumin g/dL

Számos vizsgálat (az úgynevezett prognosztikai faktorok értékelése, a görög szó azt jelenti, hogy „előre tudni”) létezik annak felmérésére, hogy mennyire agresszív a myeloma az adott betegben. Általában a magasabb vagy abnormális vizsgálati eredmények aktívabb myelomát mutatnak és esetlegesen kisebb valószínűségét egy hosszabb idejű reakciónak a kezelésre *(6. táblázat)*.

6. TÁBLÁZAT: PROGNOSZTIKAI FAKTOROK

VIZSGÁLAT	*JELENTŐSÉGE*
• Szérum béta-2-mikroglobulin (S β2M)	Minél **magasabb** a szintje, annál előrehaladottabb a stádium
• Szérum albumin (S Alb)	Minél **alacsonyabb** a szintje, annál magasabb a stádium
• C-reaktív protein (CRP)	Aktív betegség stádiuma
• Szérum LDH (laktát-dehidrogenáz)	Aktív betegség stádiuma
• Kóros kromoszómák a csontvelő citogenetikáján és FISH (**F**luorescent **I**n **S**itu **H**ybridization)	Számos kromoszóma deléció vagy transzlokáció; rövidebb időtartamú remisszióval kapcsolható össze

TESZTELÉS DIAGNÓZISKOR

A 7. táblázat foglalja össze a diagnóziskor szükséges tipikus vizsgálatokat (standard vizsgálatok).

7. TÁBLÁZAT: STANDARD VIZSGÁLATOK

VIZSGÁLAT	*CÉL*
Csontvelő biopszia Speciális vizsgálat elvégzése a prognózis felállításához (pl., kromoszómák, immunitás típusai, amyloid specifikus immunfestés)	Ez az egyik legkritikusabb vizsgálata a myelomás sejtek jelenlétének és százalékának a megállapítására a csontvelőben. A betegség 1. stádiumában vagy a szoliter plasmacytománál közvetlenül a tumorból vett biopsziát végeznek. Kromoszóma analízis (citogenetikai vizsgálat) jól vagy rosszul működő kromoszóma funkciót fedhet fel a közvetlen (Giemsa festéssel) és/vagy FISH analízissel.
Vérvizsgálat	
1. Teljes vérkép	• Az anaemia jelenlétének/súlyosságának felmérése (alacsony hemoglobin) • Alacsony fehérvérsejtszám felmérése • Alacsony vérlemezkeszám felmérése
2. Kémiai vizsgálatok	• A vesefunkció felmérése (kreatinin és vér karbamid-nitrogén), májfunkciók, albumin, kalciumszint és LDH
3. Speciális fehérje meghatározása	Ez mutatja a monoklonális M-fehérje jelenlétét (“tüske” fehérje).
• Szérum protein elektroforézis	• Mutatja az M-fehérje mennyiségét.
• Immunfixáció	• Mutatja az M-fehérje típusát [pl., nehézlánc (G, A, D vagy E), könnyűlánc, kappa (κ), lambda (λ or L)].
• FREELITE® vizsgálat	• A szabad kappa és lambda láncok mennyiségének mérésére lehet használni, ha nem mutat rendellenességet a szérum- vagy vizeletfehérje elektroforézis.

7. TÁBLÁZAT: STANDARD VIZSGÁLATOK *FOLYTATÁSA*

VIZSGÁLAT	*CÉL*
Vizeletvizsgálat Speciális fehérje vizsgálata hasonló a fenti szérum vizsgálathoz: • Vizeletfehérje elektroforézis • Immunfixáció	A kóros M-fehérje jelenlétét, mennyiségét és típusát mutatja a vizeletben.
Csontrendszer vizsgálata	A csontkárosodás **meglétének, súlyosságának és elhelyezkedésének** felméréséhez.
Röntgen	A röntgen vizsgálat még mindig az aranystandardja a myeloma okozta csontkárosodás keresésének. A teljes csontrendszer vizsgálata egy sor röntgenfelvétellel, amely a csontvesztés vagy a csontok elvékonyodásának kimutatásához szükséges (csontpusztulás okozta oszteoporózis vagy oszteopénia), lítikus csontkárosodás, és/vagy bármilyen csonttörés vagy csontösszeomlás.
MRI	Akkor használják, amikor a röntgen negatív és/vagy bizonyos területek részletesebb vizsgálatához, például gerinc és/vagy agy. Felfedheti a betegség meglétét és elterjedését a csontvelőben, amikor a röntgen nem mutat csontkárosodást. A betegség csonton kívüli elterjedését is kimutathaja, a myelomás tumorok nyomhatják az idegeket és/vagy a gerincvelőt.
CT	Akkor használják, amikor a röntgen negatív és/vagy bizonyos területek részletesebb vizsgálatához. Különösen hasznos kicsi területek lehetséges csontkárosodásának vagy idegi nyomásának részletes kiértékeléséhez.
Csont scintigráfia	Rutin csontvizsgálat, mely egyéb rákos megbetegedéseknél használt. Nincs haszna a myelomában és nem is kell elvégezni.
FDG/PET vagy PET/CT vizsgálat	Egy sokkal érzékenyebb egésztest-szkennelési technika. A betegség megfigyelésére használják, különösen a non-szekretoros myelománál. A CT a PET-pozitív területek azonosításához használt.
Csontsűrűség vizsgálat	A diffúz csontvesztés súlyosságának felmérésére használatos és a sorozatos javulás felmérésére a biszfoszfonát terápiánál.

A MYELOMA KEZELÉSE

A kezelésről hozott döntés a legfontosabb kezdeti döntés. Amint azt már hangsúlyoztuk, a standard vizsgálatok, a stádiumba sorolás és a prognosztikai osztályozás létfontosságúak. Kezelés az aktív és szimptomatikus myelománál javasolt. A kezelés sürgőssége az adott beteg problémáitól függ.

8. TÁBLÁZAT: A MYELOMA KEZELÉS CÉLJAI

A KEZELÉS TÍPUSA	*CÉLKITŰZÉS*	*PÉLDÁK*	*DÖNTÉSRE SZÁNT IDŐ*
Stabilizálás	A szervezet kémiai feladatainak és immunrendszere életveszélyes zavarainak ellensúlyozása	• Plazmaferezis a vér hígítása és az agyvérzés elkerülése érdekében • Hemodialízis ha a veseműködés károsodott • Gyógyszerek a hiperkalcémia csökkentésére (lehetséges kemoterápia)	Órák vagy napok
Csillapítás	A rossz közérzet enyhítése és a beteg fizikai cselekvőképességének növelése	• Sugárzás a csontpusztulás megállítása érdekében • Vörösvértest-transzfúzió vagy eritropoetin az anaemia enyhítésére • Ortopéd sebészeti beavatkozás a csont helyreállítása és/vagy megerősítése érdekében	Napok vagy hónapok
Remisszió-indukáló	A tünetek enyhítése, a betegség lefolyásának lassítása vagy feltartóztatása	• A rosszindulató sejtek elpusztítására irányuló kezelés az egész testben. • A rosszindulatú sejtek elpusztítására irányuló sugárkezelés a tumor környékén	Hetek vagy hónapok
Kuratív (gyógyító)	Tartós remisszió*	• Csontvelő transzplantáció nagy dózisú kemoterápiával	Hetek vagy hónapok

**A gyógymód vagy az állandó remisszió legmegfelelőbb meghatározása felülvizsgálat alatt áll. A kezelésre adott teljes választ (beleértve a molekuláris szintű) visszaesés követheti, ezért hosszú nyomonkövetés szükséges.*

KEZDETI VAGY ELSŐVONALBELI TERÁPIA

Fontos a betegek számára, hogy sok idejük maradjon arra, hogy megvitassák a különböző opciókat a hematológusukkal vagy az onkológusukkal. A kezdeti vizsgálati eredményeken kívül ezeket is figyelembe kell venni:

FONTOS KEZDETI KÉRDÉSEK:

- **A napi tevékenység** – hatással van erre?
- **Munka** – szükség lesz-e bármilyen változtatásra vagy megszakításra?
- **Kor** – tényezőként szerepel a kezelés kiválasztásakor és a várt eredmény elérésekor?
- **A kezelés mellékhatásai** – milyen jelentősek lesznek ezek?
- **Egyéb egészségügyi problémák** – hatással lesznek-e a választott kezelésre és a kezelés tűrésére?
- **Transzplantáció** – javasolt-e a nagy dózisú kemoterápia a transzplantációval?
- **A kezelésre adott válasz gyorsasága** – milyen gyorsan hat a kezelés és hogyan lehet ezt értékelni?
- **Kezdeti és későbbi döntések** – mit kell eldönteni az első napon?

Általában az a legjobb, ha az őssejt transzplantáció lehetőségét nyitva tartja, ha úgy érzi ez egy jövőbeli opció lehet az Ön számára. Noha elsővonalbeli (a diagnózis utáni első kezelés) klinikai vizsgálatok is rendelkezésre állnak, Önnek teljes egészében el kell fogadnia azt, hogy véletlenszerűen osztják be az egyik kezeléshez egy másikkal szemben. Ugyanakkor kizárhatja magát a jövőbeli randomizációból és kezelésekből.. Bizonyosodjon meg arról, hogy megértette a protokoll teljes hatáskörét. A vizsgálati protokollokból bármikor indoklás nélkül kiléphet. **Amennyiben egy kezelés nem hat, ez nem jelenti azt, hogy egy másik kezelés nem válhat be nagyon jól és adhat kiváló remissziót.**

9A. TÁBLÁZAT: ELSŐVONALBELI TERÁPIÁS OPCIÓK – *Transzplantációra alkalmas*

ELSŐVONALBELI TERÁPIA	*MEGJEGYZÉSEK*	*ELŐNYÖK*	*HÁTRÁNYOK*
VELCADE®*	• kiváló és elfogadott opciója az első vonalbeli kezeléseknek • általában dexametazonnal használják	• figyelemre méltóan előnyös • számos kombinációja elérhető • veseelégtelenség/kóros genetikai tulajdonságok esetében preferált	• neuropathiát eredményez, amely részben vagy teljes egészében visszafordítható
VELCADE®* dexametazonnal	• a legegyszerűbb opció az elsővonalbeli terápiában	• kiváló kezelésre adott válaszarány • az FDA által jóváhagyott elsővonalbeli alternatíva az USA-ban	• intravénás • potenciális mellékhatások: perifériás neuropathia
VTD* (VELCADE®/ thalidomid/ dexametazon)	• rendkívül hatékony kombináció • a hatásosság és mellékhatások miatt orvosi megbeszélést igényel	• nagyon magas kezelésre adott válaszarány egy nem régi III-as fázisú klinikai vizsgálatban • kiváló posttranszplantációs eredmények	• intravénás kombináció • potenciális mellékhatások: perifériás neuropathia
Komplexebb VELCADE® kombinációk (Revlimid®-del, Doxil®-lal vagy egyéb szerekkel)	• számos rendkívül hatékony kombináció létezik • alapos orvosi egyeztetést igényel a szerek kombinálását illetően, szemben az egymást követő használattal	• kiváló kezelésre adott válaszarány • néhány kombináció megengedi a szteroidmentes kezelést	• intravénás kombináció • megnőhet a toxicitás, bizonytalan előnyökkel jár
Dexametazon thalidomiddal*	• az FDA által jóváhagyott elsővonalbeli opció az USA-ban • a jelentőségét és a mellékhatásait az RD-hez vagy Rd-hez hasonlítják *(lásd alul)*	• szájon át történő kezelés, a betegek 70%-ában remissziót eredményez • az FDA által jóváhagyott elsővonalbeli alternatíva	• lehetséges problémákat képezhet a neuropathia és a mélyvénás trombózis (vérrögök)
R vagy RD vagy Rd (RevloDex)* (Revlimid® egyedül, vagy dexametazonnal, vagy Revlimid® alacsony dózisú dexametazonnal)	• nagyon hatékony alternatívája a Thal/Dex-nek • gyakran preferált mind az orvos, mind pedig a betegek által	• kiváló kezelésre adott válaszarány • szájon át történő terápia • általában jól tolerálható és egyre népszerűbb	• a Revlimid® önmagában kevésbé hatékony választ eredményez • a vérrög problémák kockázata aszpirint vagy egyéb vérhígítót tesz szükségessé • csökkentett őssejt begyűjtés lehetséges
Dexametazon* egyedül	• egy egyszerű alternatívája a korai betegség kezelésének	• a dexametazon egyedül teszi ki jelentős szálazékát a teljes VAD terápia előnyeinek	• a dexametazon intenzív alkalmazás mellett rosszul tolerálható
VAD* (vincristin/ adriamycin/ dexametazon)	• az újabb szereket megelőzően volt alternatíva • mostanában mint "biztonsági tartalékot" használják	• a betegek 70%-ában remissziót eredményez • nem károsítja az egészséges őssejteket • alapja lehet az őssejt transzplantációnak	• az intravénás beadáshoz centrális katéter szükséges. A katéter fertőzést és vérrögöt idézhet elő. • A vincristin idegkárosodást okozhat • Újabb alternatívák érhetőek el, amelyek hatékonyabbak és kevésbé toxikusak

**Használható akár tervezett, akár nem az őssejtgyűjtés és a transzplantáció.*

A kezelési lehetőségekről további részletek egyéb IMF kiadványokban érhetőek el.

Ezek megrendeléséhez, kérem lépjen kapcsolatba az IMF-vel a 00 1800-452-2873 telefonszámon vagy látogassa meg weboldalunkat: www.myeloma.org

9B. TÁBLÁZAT: ELSŐVONALBELI TERÁPIÁS OPCIÓK – *Transzplantációra nem alkalmas*

ELSŐVONALBELI TERÁPIA	*ELŐNYÖK*	*HÁTRÁNYOK*
MP (melfalán/ prednizolon)	• szájon át bevehető • jól tolerált • a betegek 60%-ánál eredményez kiváló remissziót • az orvosok jól ismerik az eljárást	• őssejt károsodást okozhat a csontvelőben és ezért csökkentheti az esélyeit egy sikeres őssejt transzplantációnak • a teljes előny lassan jelentkezik több hónap elteltével • nem ideális, ha gyors reakció szükséges és/ha őssejt transzplantációt terveznek
Dexametazon melfalánnal	• melfalánnal kombinálva gyorsabb előnyt ér el, mint az MP	• a melfalán károsítja az őssejteket • a dexametazon nehézséget okozhat idősebb betegeknél. Amennyiben használják, heti 1 nap javasolt.
MPT (MP + thalidomid)	• szájon át bevehető • jól tolerált • magasabb remissziós arány mint az MP-nél	• ugyanaz, mint az MP-nél • a thalidomid kockázatai a neuropathia és/vagy vérrögök okozta problémák
VMP (VELCADE® + MP)	• általában jól tolerált • nincs vérrög kockázata • magasabb remissziós arány, mint az MP-nél	• ugyanaz, mint az MP-nél • a VELCADE® intravénásan adandó • jelentős kockázata van a neuropathiának
MPR (MP + Revlimid®)	• szájon át bevehető • jól tolerált • magasabb remissziós arány, mint az MP-nél	• vérrög okozta problémák a Revlimid®-nél. Aszpirin vagy egyéb vérhígító szerek szükségesek.
Néha egyéb terápiák választéka használatos, például Cytoxan® (ciklofoszfamid) és Etoposide® (VP-16). A lehetséges kombinációk magában foglalják: • VBMCP (M2 protokoll) • VMCP/VBAP (SWOG protokoll) • ABCM (UK MRC protokoll)	• szükség esetén ezek kombinációja egy agresszívabb kezelést ad • az aktív betegség tüneteit gyorsabban lehet kontrollálni és az első remisszió minősége jobb lehet	• több mellékhatás, mint egyszerűbb protokolloknál • nincs hozzáadott hosszútávú előny • a mellékhatások csökkenthetik az életminőséget és veszélyeztethetik az új protokollok jogosultságát

A kezelési lehetőségekről további részletek egyéb IMF kiadványokban érhetőek el.
Ezek megrendeléséhez, kérem lépjen kapcsolatba az IMF-vel a 00 1800-452-2873 telefonszámon vagy látogassa meg weboldalunkat: www.myeloma.org

TÁMOGATÓ (SZUPPORTÍV) KEZELÉS

Olyan kezelések is rendelkezésre állnak, melyek enyhítik a betegség fizikai és érzelmi megrázkódtatásait. A támogató kezelés korai használata ugyanolyan fontos, mint elkezdeni az elsődleges terápiát.

10. TÁBLÁZAT: TÁMOGATÓ KEZELÉS

TÜNET	*KEZELÉS*	*MEGJEGYZÉS*
Fáradtság és vérszegénység okozta gyengeség	• vérátömlesztés (vörösvértesttel dúsított: fehérvérsejtre és vírusra szűrt) súlyos vérszegénység esetén • eritropoetin enyhe vagy közepes vérszegénység esetén	A kezelések egyszerűek, általában nagyon hasznosak és javítják a jó közérzetet.
Csontfájdalom	• biszfoszfonát (pl., Aredia® 90 mg intravénásan havonta 2-4 óra alatt; Zometa® 4 mg intravénásan havonta 15–45 perc alatt) • fájdalomcsillapító szükség szerint (pl., Tylenol®, orális morfin származékok, Fentanyl® "Pain Patch" fájdalomcsillapító tapasz)	A csontfájdalom enyhítése önmagában is fontos, de javítja a fizikai mozgást is, ami viszont előségíti a csont erősségét és gyógyulását, valamint javítja a jó közérzetet. Tartós biszfoszfonát kezelés eredményezhet károsodást a vesében és az állkapocsban, habár ritka. A tudatosság a megelőzés titka.
Láz és/vagy fertőzésre utaló jel	• megfelelő antibiotikumok • Neupogen® ha szükséges, hogy növeljék az alacsony fehérvérsejtszámot • intravénás gamma-globulin súlyos fertőzésekre • szükséges vizsgálatok elvégzése a fertőzés pontos típusának megállapítására (kivéve veszélyes biopsziák/mintavételeket)	Bár az antibiotikumokat körültekintően kell kiválasztani és használni, az viszont rendkívül fontos, hogy a fertőzéseket azonnal megfékezzük. Javasolt antibiotikum magunknál tartása sürgős esetre (különösen utazáskor).
Emésztőrendszeri mellékhatások	• megfelelő gyógyszer a hányinger, hányás, székrekedés, vagy hasmenés kezelésére • a megfelelő folyadékbevitel és táplálkozás fenntartása	A tüneteket beszélje meg orvosával, a súlyos tünetek kórházi ellátást igényelhetnek.
Vérrögök és tromboembóliás események	• a trombotikus események sürgős vészhelyzetek; a kezelés az esemény és a beteg rizikó faktorain alapul • Aszpirin vagy véralvadásgátló gyógyszer felírása javasolt	A kockázata mozgással, súlycsökkentéssel és a dohányzás elkerülésével csökkenthető.
Perifériás neuropathia	• fájdalomcsillapítók • a dózis beállítása • fizikoterápia, vitaminok és egyéb táplálékkiegészítők	A tüneteket beszélje meg orvosával. A korai beavatkozás megelőzheti a maradandó károsodást és lehetővé teszi a kezelés folytatását. Magától ne módosítsa a dózist.
Szteroid mellékhatásai	• Étkezés közben korán reggel kell bevenni. • Figyelni kell a fertőzésre utaló jelekre és tünetekre, a vércukorszint változására. • Gyógykezelés az övsömör és gombás fertőzések megelőzésére.	Jelentse a mellékhatásokat és tüneteket az orvosának. Magától ne hagyja abba vagy módosítsa a dózist.

Betegtájékoztató füzetek a vérrögök és tromboembóliás események megelőzéséről, a szteroid okozta mellékhatások kezeléséről, a myeloszuppresszió kezeléséről, a perifériás neutropathia megelőzéséről, és az emésztőrendszeri mellékhatások kezeléséről az IMF-nél elérhetőek.
Ezek megrendeléséhez, kérem lépjen kapcsolatba az IMF-vel vagy látogassa meg weboldalunkat: www.myeloma.org

Az adott tünetek kezelésén túl egy egész sor szupportív intézkedés megtétele is rendkívül fontos:

- **Fizikai aktivitás** – A betegeknek egyeztetniük kell az orvosukkal, hogy minden fizikai aktivitás kivitelezhető-e vagy hogy hozzá kell-e igazítani a csontok megbetegedéséhez vagy a csontok bizonyos területeinek károsodásához. Általában fizikai mozgás, például a séta vagy úszás, nyújtó és erősítő gyakorlatok, és/vagy személyre szabott jóga elvégezhető.
- **Étrend** – Nincs kidolgozott jellegzetes és hasznos étrend a myeloma multipexben szenvedő betegek részére. Ez egy folyamatban lévő kutatási terület. Rendszerint a más betegségekre vonatkozó „egészséges táplálkozási" tanácsok használhatóak, például a szívbetegségre és a rákra általában (pl. mellrák). Két dologban kell óvatosan eljárni:
  - **C-vitamin**– Magas dózisú C-vitamin (pl. >1000 mg/nap) kontraproduktív lehet a myelomában és növeli a vesekárosodás kockázatát.
  - **Gyógynövény étrendkiegészítők és vitaminok** – Beszéljen orvosával vagy gyógyszerészével a kemoterápia és egyéb gyógyszeres kezelés mellett használható étrendkiegészítőkről. A gyógyszerkölcsönhatások egészségügyi problémákat okozhatnak. A legtöbb gyógyszertár rendelkezik egy olyan rendszerrel, mely azonosítja a gyógyszerek mellett az étrendkiegészítőkkel lehetséges kölcsönhatásokat.
- **Mentális egészség** – Az Ön mentális egészsége nagyon fontos a tervezett kezelés előrehaladtával. Győződjön meg arról, hogy nincsenek kételyei a tervezett kezeléssel kapcsolatban. Kérjen időpontot egy mentális egészségügyi szakembertől, ha úgy érzi, hogy depressziós lehet, vagy mások aggódnak azért, mert Ön depressziós lehet.
- **Rendszeres alvás** – Ez nagyon fontos az immunrendszere szempontjából.
- **Alkalmazkodás** – Amennyire csak lehetséges, csökkentse vagy zárja ki a stresszt a munkájából, családjából vagy társas viszonyaiból. Kerülje az érintkezést iskolás korú gyerekekkel, tömeggel amennyire lehetséges és gyakran mosson kezet, mivel az immunrendszerét mind a betegség, mind pedig a kezelések veszélyeztetik. A myeloma kezelése az elsődleges a remisszióig és/vagy amíg stabil állapot nem érhető el.

HA AZ ELSŐVONALBELI TERÁPIA NEM HATÉKONY

Számos kezelési lehetőség létezik, ennek a bevezető kézikönyvnek az áttekintésén túl is. Új terápiák egyre nagyobb számban állnak rendelkezésre és jelentős hasznot hajtanak.
További információért és rendszeres frissítésért kérem látogasson el a Nemzetközi Myeloma Alapítvány weboldalára a www.myeloma.org címen.

KÉRDÉSEK, MELYEKET KÉRDEZZEN MEG ORVOSÁTÓL

A terápiával kapcsolatos döntések rendkívül fontosak a myelomás beteg túlélése és életminősége szempontjából. Ahhoz, hogy tájékozott döntést hozzon, a betegnek szüksége van a tények ismeretére. Néhány beteg meg akarja vitatni a helyzetének, kezelésének és kilátásainak valamennyi szempontját. Mások viszont csak azt akarják tudni, hogy mi a következő teendő. A legtöbb orvos fogékony erre és az alapján választja ki a megközelítését, amit a beteg kívánságából érzékel.
Mi bátorítjuk a betegeket, hogy határozottak legyenek azt illetően, hogy milyen mélyen akarnak a terápiával kapcsolatos döntések részleteiben elmerülni. Valamint attól függetlenül, hogy milyen jó viszonyt ápolnak az orvosukkal, az egy általában jól bevett gyakorlat, hogy egynél több véleményt szerezzenek be, mielőtt tovább haladnának.

1. Kapjon teljes képet a kezelési módról:

- **Pontosan mi a kezelés?**
- **Mik a kezelés célkitűzései?**
- **Milyen hosszú időn keresztül adják a kezelést?**
- **Mit tartalmaz?** Milyen gyakran kell a betegnek egy egészségügyi intézményt meglátogatnia? Kórházi kezelés szükséges vagy csak valószínűsíthető? Mi a valószínű hatása a beteg cselekvőképességére (pl., munka és kikapcsolódás)? Hogyan érzik magukat a betegek a kezelés előtt, alatt és utána? Hogyan néznek ki? Mi a felépülés tipikus időintervalluma?
- **Milyen nyomonkövetési vagy fenntartó kezelések szükségesek?**
- **Mennyibe kerül a kezelési eljárás?** Fedezi a társadalombiztosítás?

2. **Mennyire hatott jól ez a kezelés másoknak hasonló helyzetben?** A hatékonyság számos különféle módon mérhető:

- Mennyi tapasztalat van a kezeléssel kapcsolatban? Hány beteg kapta már meg? Mennyi ideig követték nyomon ezeket a betegeket a kezelés után?
- Mik az esélyei a teljes vagy a részleges remisszió elérésének? Milyen tényezők utalnak jobb vagy rosszabb esélyekre?
- Mennyi ideig tartott a beteg remissziója? Milyen tényezők viszonyulnak a hosszú vagy rövid remisszióhoz?
- Milyen opciók vannak visszaesés esetén? (ezek az opciók változhatnak időközben.)
- Mik az ésszerű elvárások a tünetek enyhítésére, például csontfájdalomra, patológiás törésre, vérszegénységre, fáradtságra, hiperkalcémiára? Melyek azok a tényezők, melyek előrejelzik, hogy ezek a kezelések mennyire hatnak jól a tünetekre?
- Milyen hosszú idejű a túlélés azoknál az embereknél, akik kezelést kaptak? Újabb kezelésekhez hányan vannak még életben a kezdeti betegcsoportból?

3. **Mellékhatások.** A legtöbb rákkezeléshez hasonlóan a myeloma kezelése általában erős, a rosszindulatú sejtek elpusztítását és/vagy a szervezet kémiai egyensúlya visszaállítását célzó gyógyszereket és más eszközöket használ. Általában vannak mellékhatásai. Néhányuk a kezelés során mutatkozik meg. Mások jóval a kezelés befejezése után bukkanhatnak fel.

- Milyen mellékhatásokat figyeltek meg a kezelésben részesülő betegeken? Általában mikor keletkeznek? A betegek hány százalékánál jelentkeznek? Mennyire súlyosak a mellékhatások? Ezek életveszélyesek? Fájdalmasak? Állandóak? Milyen hosszú ideig tartanak?
- Vannak kezelések a mellékhatásokra? A mellékhatások kezelésének vannak mellékhatásai?

4. **Mindig vannak alternatívák.** Fel kell tennie mindezeket a kérdéseket:

- Mik az alternatívái a javasolt kezelésnek?
- Mik a viszonylagos előnyei és hátrányai az alternatíváknak?
- Mik az előnyei és hátrányai az alternatív kezeléseknek a kezelés hiányával szemben?

Mivel a betegség ritka, a myelomára szakosodott orvosok és központok száma korlátozott. Nagyon gyakori, hogy egy myelomában szenvedő beteg második orvosi véleményt kér egy szakorvostól egy kutatóközpontban, míg továbbra is a helyi beutaló orvosra támaszkodik a kezelés felügyeletével és ellenőrzésével.

A kezeléssel kapcsolatos jó döntések meghozatala találékonyságot, gondos kikérdezést, komoly átgondolást és bátorságot igényel. Mindenekelőtt azonban azt kívánja meg, hogy a beteg és az őt támogató csoport átvegye az irányítást a folyamatban.

Mivel nincs ismert gyógymód, mivel nincsenek garanciák, mivel minden egyén különböző, a végső döntés a beteg preferenciáitól és prioritásaitól függ.

SZAKKIFEJEZÉSEK ÉS DEFINÍCIÓK

Akut: Hirtelen fellépő tünetek vagy betegség.

Albumin: Egyszerű, vízben oldódó fehérjék, melyek a vérszérumban, valamint számos egyéb állati és növényi szövetben találhatók.

Alkilező szerek: Kemoterápiás szerek, például a melfalán vagy a ciklofoszfamid. Az alkilezés arra a hatásmódra utal, mely szerint ezek a szerek keresztbe kapcsolják a myelomás sejtek DNS-ét és meggátolják a sejtosztódást.

Allogén: Lásd a "Transzplantációnál."

Amyloidosis: Egy állapot, amelyben a myeloma könnyűláncok (Bence-Jones fehérjék) lerakódnak a szövetekben és a szervekben testszerte. Ez gyakrabban fordul elő lambda Bence-Jones fehérjék esetében ellentétben a kappa Bence-Jones fehérjékkel. Amyloidosisban szenvedő betegeknél a könnyűlánc fehérjék bizonyos szövetekhez kötődnek, ilyen a szív, idegek és vese, ahelyett, hogy kiválasztódnának a szervezetből a veséken keresztül.

Anaemia (vérszegénység): A hemoglobin csökkenése, amely általában 10 g/dL alatti érték, több mint 12-14 g/dL feletti érték számít normálisnak. A myelomás sejtek gátolják a csontvelőben a vörösvértest-termelést, légzési nehézséget, gyengeséget és fáradtságot okozva.

Anaesthesia (érzéstelenítés): Az érzés vagy tudat elvesztése. A helyi érzéstelenítés egy testrészben okoz értéztelenítést. Az általános érzéstelenítés elaltatja az egyént.

Analgetikum: Bármilyen olyan gyógyszer, amely enyhíti a fájdalmat. Az aszpirin és az acetaminophen/paracetamol enyhe fájdalomcsillapítók.

Analóg: Egy kémiai vegyület, amely szerkezetileg hasonló egy másikhoz, de kissé különbözik az összetétele.

Angiogenesis (érképződés): Erek képződése, melyeket általában rosszindulatú szövetek növekedése kísér, ideértve a myelomát is.

Angiogenesis (érképződést) gátlók: Vegyületek, melyek megpróbálják elvágni a daganatok vérellátását.

Antibiotikum: Fertőzés kezelésére használt gyógyszerek.

Antiemeticus szer: Egy gyógyszer, amely megakadályozza és szabályozza a hányingert és hányást.

Antifungalis szer: Egy gyógyszer, amelyet gombás fertőzések kezelésére használnak.

Antigén: Bármilyen idegen anyag (például baktérium, vírus, méreganyag vagy daganat), amely amikor bejut vagy növekszik a szervezetbe, hatására az immunrendszer ellenanyagot termel.

Antineoplasticus szer: Egy gyógyszer, amely megakadályozza, elpusztítja vagy gátolja a rákos sejtek növekedését és terjedését.

Antitest: Bizonyos fehérvérsejtek (plazmasejtek) által termelt fehérje, melyek a fertőzések és betegségek leküzdésére szolgálnak, amelyek antigének formájában jelennek meg, ilyenek például a baktériumok, vírusok, méreganyagok és daganatok. Minden egyes antitest csak egy bizonyos antigént tud lekötni. Ennek a lekötésének az a célja, hogy segítsen elpusztítani az antigént. Az antitestek az antigén jellegétől függően különböző módon tudnak hatni. Egyes antitestek közvetlenül az antigént bénítják meg. Mások az antigént teszik sérülékenyebbé a fehérvérsejtek általi megsemmisítéshez.

Apoptózis (programozott sejthalál): Ez egy normális, a sejtekhez kötődő folyamat, amelyben egy genetikailag meghatározott eseménysorozat a sejt elhalásához vezet.

Appendikuláris csontváz (függesztő övek): A hosszú csontok (pl, karok és lábak), amelyek a gerinchez, a mellkashoz és a medencéhez kapcsolódnak.

Aspiráció (leszívás): Egy adott területről folyadék, vagy szövet, vagy mindkettő eltávolítása.

Aszimptomatikus myeloma: Olyan myeloma, mely nem mutatja a betegségre utaló jeleket vagy tüneteket. Más néven indolens, parázsló vagy korai myeloma.

Axiális csontváz: A koponya, a gerincoszlop és a medencei része a csontváznak.

Állkapocs-osteonecrosis: Egy korábban ritka állkapocs probléma, mely mostanában azon betegek kis százalékánál figyelhető meg, akik biofoszfonátot kapnak. Ez az állapot fájdalmat, duzzanatot és csontkárosodást okoz a fogtövek körül az állkapcsokban. Ekkor csontelhalás vagy csontvesztés lehet, ami laza fogakhoz, a kilátszódó csont éles széleihez, csontkinövésekhez, apró csont spikulák elszabadulásához, valamint elhalt csonthoz vezethet. Egy eset meghatározása: ≥3 hónap, nem gyógyuló, kilátszódó csonttal. A tünetek nem nyilvánvalóak elsőre, illetve tartozhat közéjük a fájdalom, duzzanat, zsibbadás avagy „nehéz állkapocs" érzése, valamint egy fog meglazulása.

Bazofil: A fehérvérsejtek egy típusa. A bazofil sejtek granulociták.

Bence Jones: Egy monoklonális fehérje jelenléte a vizeletben. A Bence-Jones fehérje mennyiségét gramm per 24 óra viszonylatában fejezik ki. Normális esetben nagyon kis mennyiségű fehérje (<0.1 g/24 h) lehet jelen a vizeletben, de ez is inkább albumin, mint Bence-Jones fehérje. A Bence-Jones fehérje jelenléte kóros.

Benignus (jóindulatú): Nem rákos, nem támad közeli szöveteket vagy nem terjed át a test egyéb részeire. Az MGUS egy jóindulatú állapot.

Betegségmentes túlélés: Annak az időnek a hosszúsága, amely alatt a beteg életben marad kimutatható rák nélkül.

Béta-2-mikroglobulin (β2M): A vérben található kis mennyiségű fehérje. Nagy mennyiségben az aktív myelomásban szenvedő betegeknél fordul elő. Alacsony vagy normál szintű fehérje a korai myelomában szenvedő betegeknél fordul elő és/vagy az inaktív stádiumban. Megközelítőleg a myelomában szenvedő betegek 10%-a nem termel béta-2-mikroglobulint. Visszaesés idején a béta-2-mikroglobulin megnövekedhet, mielőtt még bármely változás állna be az M-fehérje szintben. Olyan tényezők, mint a vírusos fertőzés, aktív immunválasz néha emelkedett szérum béta-2-mikroglobulin termelődést eredményezhet.

Biopszia: Egy szövetminta eltávolítása mikroszkópos vizsgálatra a diagnózis elősegítése céljából.

Biszfoszfonát: Egy olyan típusú gyógyszer, amely hozzákötődik a csont felszínéhez, ahol az felszívódik (vagy megsemmisül) és védelmet képez az osteoclast tevékenységgel szemben.

B-sejtek: Fehérvérsejtek, amelyek plazmasejtekké fejlődnek a csontvelőben és az antitestek forrása. Más néven B-limfociták.

Ciszta: Folyadék vagy félig szilárd anyag felgyülemlése egy tokban.

Citokin: Egy az immunrendszer sejtei által kiválasztott anyag, amely serkenti a növekedést/aktivitást egy bizonyos típusú sejtben. A citokinok helyileg termelődnek (pl., a csontvelőben) és a véráramban keringenek.

Csontátépülés: A csontgerendák életének normális koordinációja: az osteclast sejtek (amelyek felbontják vagy elpusztítják a csontot) és az osteoblast sejtek (amelyek új csontszövetet hoznak létre) egy kiegyensúlyozott állapotot tartanak fenn a csonttermelődés és pusztulás között.

Csontszerkezet vizsgálata (metasztázis felmérése): Egy sor egyszerű röntgenfelvétel a koponyáról, gerincről, bordákról, medencéről és a hosszú csontokról annak érdekében, hogy lítikus léziókat és/vagy csontritkulást keressenek.

Csontvelő: A puha, szivacsos szövet a csontok belsejében, mely fehérvérsejteket, vörösvértesteket és vérlemezkéket termel.

Csontvelő aspiráció: Folyadék- és sejtminta eltávolítása a csontvelőből egy tű segítségével mikroszkópos vizsgálat céljából.

Csontvelő biopszia: Szövetminta eltávolítása a csontból egy tű segítségével. A sejteket leellenőrzik, hogy rákosak-e. Amennyiben rákos plazmasejteket találnak, a patológus megállapítja, hogy a csontvelőnek mennyi része érintett. A csontvelő biopsziát általában a csontvelő aspirációval egyidőben végzik.

CT [komputer tomográfia]: Egy vizsgálat, amely röntgensugarakat és számítógépet használ háromdimenziós képek elkészítéséhez a szervekről és a testen belüli struktúrákról, kis területű csontkárosodás kimutatásáról vagy lágy szövetek bevonásáról.

DEXA (kettős energia röntgen abszorpciometria) vizsgálat: A csontvesztést méri, a legjobb mércéje a csontsűrűségnek.

Dexamethason: Egy erős kortikoszteroid, melyet önmagában vagy egyéb gyógyszerekkel adnak.

Diagnózis: A betegség azonosításának folyamata, az arra utaló jelei és tünetei alapján.

Dialízis: Amikor egy beteg veséje képtelen a vér szűrésére, a vért egy dializáló gépen keresztül vezetve tisztítják meg.

Dóziskorlátozó toxicitás (DLT): Olyan mellékhatások, amelyek elég súlyosak ahhoz, hogy megakadályozzák a további kezelés adását.

DNS: Egy örökítő anyag; egy nagy molekula, amely hordozza a genetikai információt, amely a sejtek szaporodásához és fehérjetermeléséhez kell.

Elektroforézis: Egy laboratóriumi vizsgálat, amelyben a beteg vér vagy vizelet molekuláit szétválasztják méretük és elektromos töltésük szerint. A myelomában szenvedő betegek részére a vér vagy a vizelet elektroforézise lehetővé teszi mind az M-fehérje mennyiségének kiszámítását, mind pedig az M-fehérje azonosítását az adott betegre. Az elektroforézis diagnosztikai és ellenőrző eszközként is használatos.

Elhatárolás: A betegek besorolási folyamata egy klinikai esettanulmányba (vizsgálatba), vagy a betegek száma, akik már be vannak osztva egy vizsgálatba vagy várhatóan be lesznek osztva egy vizsgálatba.

Enzim: Egy anyag, mely befolyásolja annak a sebességét, amellyel a kémiai változások végbemennek a szervezetben.

Eritrociták: Vörösvértestek. A vörösvértestek szállítják az oxigént a sejtekhez és viszik el a szén-dioxidot a sejtekből.

Eritropoetin (vörösvértestképző hormon): Egy a vesék által termelt hormon. A myelomában szenvedő betegek károsodott veséje nem termel elég eritropoetint és ezért vérszegénnyé válhatnak. Szintetikus eritropoetin injekciók segíthetnek ebben. A vérátömlesztés egy másik alternatíva lehet, különösen sürgős esetben. Szintetikus eritropoetint támogató kezelésként is használnak a myeloma elleni terápia során, hogy elkerüljék a vérszegénységet.

Fehérvérsejtek: Általános kifejezés a különböző sejtekre, melyek felelősek a baktériumok, fertőzések és allergiát okozó szerek elleni küzdelemért. Ezek a sejtek a fejlődésüket a csontvelőben kezdik és aztán a test egyéb részeibe vándorolnak. Jellegzetes fehérvérsejtek a neurofilek, granulociták, limfociták és monociták.

Fenntartó terápia: A betegeknek remisszió idején adott gyógyszerek a visszaesés késleltetésére vagy megakadályozására.

Genetikai: Örökölt; olyan információhoz van köze, melyet a szülők adnak tovább a gyerekeiknek a DNS-en keresztül a génekben.

Gén: A DNS vagy RNS egy egyedi sorrendje; az örökítő anyag biológiai egysége, mely a kromoszóma egy jellemző helyén található és a szervezet valamennyi sejtjében jelen van. Gének hiánya vagy károsodása rákhoz vezethet.

Génterápia: Egy kezelés, amely megváltoztatja a géneket. Géneket használnak az immunrendszer serkentésére. A rák elleni génterápiás tanulmányokban a kutatók megpróbálják a szervezet természetes ellenállóképességét javítani, hogy harcolni tudjon a betegséggel és hogy a daganatot fogékonnyá tegye más típusú terápiával szemben. A kezelés arra összpontosít, hogy a sérült vagy hiányzó géneket egészséges példányokkal helyettesítse.

Graft-versus-host betegség (GVHD): Az átültetett csontvelő reakciója a befogadó saját szövetével szemben.

Granulocita: A fehérvérsejtek egy típusa, amelyek elpusztítják a baktériumokat. A granulociták lehetnek neutrofil, eozinofil és bazofil sejtek.

Gyógyszer-rezisztencia: A sejtek azon képességének eredménye, amely ellenáll egy adott gyógyszer hatékonyságának.

Hatásosság: Az erő, mely hatást ér el; a rákkutatásban a 'hatásosság' arra utal, hogy vajon a kezelés hatékony-e.

Hematokrit (Hct): A vörösvértestek százalékos aránya a vérben. Az alacsony hematokrit érték vérszegénységre utal.

Hematológiai: A vérből eredő, vagy a keringéssel, valamint a vérárammal terjedő.

Hematológus: Egy orvos, aki a vérrel és csontvelővel kapcsolatos problémákra szakosodott.

Hemoglobin: Egy fehérje a vörösvértestekben, melyek az oxigént szállítják a vérben.

Herpes simplex: Egy gyakori vírus, mely gyakran okoz sebeket a száj körül, köznapi elnevezése ajakherpesz.

Herpes zoster: Egy vírus, amely egyes idegek köré rendeződik olyan betegben, akinek korábban bárányhimlő fertőzése volt hólyagokat, duzzanatot és fájdalmat okozva. Ezt az állapotot övsömörnek is nevezik.

Hiperkalcémia: A normálisnál magasabb kalciumszint a vérben. Ez az állapot számos tünetet okozhat, idesorolva az étvágy elvesztését, hányingert, szomjúságot, fáradtságot, izomgyengeséget, nyugtalanságot és zavartságot. Gyakori a myelomában szenvedő betegeknél és általában a csontlebomlás eredménye, amikor a kalcium a véráramba kerül. Gyakran társul csökkent vesefunkcióval, mivel a magas kalcium mérgező lehet a veséknek. Ebből az okból gyakorta a hiperkalcémiát sürgősségi alapon kezelik, gyógyszerekkel kombinált intravénás folyadékot használva a myeloma közvetlen kezelésével együtt, azért hogy csökkentsék a csontpusztulást.

Hormonok: A test különböző mirigyei által termelt kémiai anyagok, amelyek bizonyos sejtek vagy szervek működését szabályozzák.

Humán leukocita antigén (HLA) vizsgálat: Egy vérvizsgálat, melyet arra használnak, hogy egy véradóval vagy csontvelődonorral megfelelő befogadót találjanak transzfúzióhoz vagy transzplantációhoz.

IgD, IgE: A myeloma két típusa, melyek ritkábban fordulnak elő.

IgG, IgA: A két leggyakoribb típusa a myelomának. A G és az A betűk a myelomás sejt által termelt fehérje típusára utalnak. Az M-fehérje, amely egy immunglobulin két nehézláncból (például egy G típusúból) és két könnyűláncból áll, mely lehet akár kappa akár lambda. Következésképpen a myeloma két leggyakoribb altípusa azonos nehézlánccal rendelkezik (pl. IgG kappa és IgG lambda). A könnyű és nehéz kifejezések a fehérje méretére és molekulatömegére utalnak, tehát a nehézláncok nagyobbak, mint a könnyűláncok. Mivel a könnyűláncok kisebbek, nagyobb valószínűséggel szivárognak ki a vizeletbe Bence-Jones fehérjét eredményezve a vizeletben.

IgM: Általában a Waldenström macroglobulinaemiával hozható összefüggésbe. Ritka esetekben lehet egyfajta myeloma.

Immundeficiencia: A szervezet azon képességének a csökkenése, amely leküzdi a fertőzést és a betegséget.

Immunfixáció: A vér vagy vizelet immunológiai vizsgálata, mely a vérben a fehérjék azonosítására szolgál. A myelomában szenvedő betegeknél lehetővé teszi az orvos számára az M-fehérje típusának azonosítását (IgG, IgA, kappa vagy lambda). A legérzékenyebb rutin immunkémiai módszer, mely azonosítja az M-fehérje pontos nehéz- és könnyűlánc típusát.

Immunglobulin (Ig): A plazmasejtek által termelt fehérje; létfontosságú része a szervezet immunrendszerének. Az immunglobulinok hozzákötődnek az idegen anyagokhoz (antigénekhez) és segítenek elpusztítani azokat. Az immunoglobulinok osztályozása IgA, IgG, IgM, IgD, és IgE.

Immunrendszer: A szervek és sejtek bonyolult csoportja, mely antitesteket termelnek a szervezet védelmére az idegen anyagokkal szemben, mint például baktériumok, vírusok, méreganyagok és rákos megbetegedések.

Immunszuppresszió: Az immunrendszer gyengülése, mely csökkent ellenállóképességet okoz annak a fertőzéssel és betegséggel vívott harcában. Az immunszuppresszió lehet szándékos, például csontvelő átültetés előkészítésekor, azért hogy megakadályozzák a donor szövet kilökődését a befogadó által, vagy lehet esetleges, például a kemoterápia gyakori következménye a rák gyógyításában.

Immunterápia: Egy kezelés, mely serkenti a szervezet természetes ellenállóképességét a rák leküzdésében. Más néven biológiai terápia.

Incidencia: Az évente diagnosztizált új esetek száma egy betegségre.

Infúzió: Folyadék vagy gyógyszer juttatása a véráramba egy adott időn belül.

Infúziós pumpa: Egy eszköz, mely kimért mennyiségű folyadékot vagy gyógyszert juttat a véráramba egy adott időn belül.

Inhibitor: Valami leállításához, feltartóztatásához.

Injekció: Gyógyszer beadása a testbe egy fecskendő és tű használatával.

Interferon: A szervezet által kibocsátott, természetesen termelődött hormon (citokin) fertőzésre vagy betegségre adott válaszul, amely bizonyos betegséggel harcoló vérsejtek szaporodását serkenti az immunrendszerben. Az interferon mesterséges úton is előállítható géntechnológiai eljárással és egyfajta immunterápiaként használatos, elsősorban a kezelés fenntartó szakaszában, hogy megakadályozza a myeloma kiújulását és így késleltesse vagy gátolja a visszaesést.

Interleukin: A szervezet által kibocsátott, természetes úton termelődő kémiai anyag vagy olyan anyag, melyet a biológiai terápiában használnak. Az interleukinok serkentik bizonyos fajtájú fehérvérsejtek növekedését és aktivitását. Az interleukin-2 (IL-2) egyfajta biológiai válaszmódosító szer, mely serkenti bizonyos vérsejtek növekedését az immunrendszerben, amelyek bizonyos típusú rák ellen harcolhatnak. Az interleukin-6 (IL-6) egy citokin, mely erős ingerként szolgál az osteoclast és plazmasejtek aktivitásában.

Kalcium: Egy ásvány, amely főleg a csont kemény részében található vagy hidroxiapatit.

Karcinogén (rákkeltő): Bármely anyag vagy szer, amely létrehozza vagy serkenti a rák növekedését.

Katéter: Egy cső, amelyet a vérerekbe helyeznek, azért hogy utat biztosítsanak a gyógyszereknek és tápanyagoknak. A centrális vénás katéter egy speciális cső, amelyet műtéti úton helyeznek be egy nagy vénába a szív közelében és a mellkasfalon keresztül vezetik ki. A katéter lehetővé teszi gyógyszerek, folyadékok vagy vérkészítmények adását és vérminták levételét.

Kemoterápia: A rák gyógyszeres kezelése, amely minden gyorsan osztódó sejtet elpusztít.

- ***Kombinált kemoterápia*** – Egyszerre több mint egy gyógyszer használata a kemoterápiában a rák kezelése foyamán.

Kezdeti terápia: Az elsődleges kezelés, amely a remisszió elérése érdekében használatos egy újonnan diagnosztizált myelomában szenvedő betegnél.

Klinikai: Magában foglalja a beteg közvetlen megfigyelését.

Klinikai vizsgálat: Egy új kezelés kutatási tanulmánya, amely ebbe betegeket von be. Minden egyes tanulmányt úgy terveznek, hogy jobb módszereket találjanak a rák megelőzésére, észlelésére, diagnosztizálására vagy kezelésére és tudományos kérdések megválaszolására.

- ***Kontrollcsoport*** – A randomizált klinikai vizsgálat azon ága, aki a standard kezelést kapja.
- ***Végpont*** – Az, amit a klinikai vizsgálat mérni vagy kideríteni próbál; a vizsgálat célja. Tipikus végpontok tartalmaznak toxicitás méréseket, válaszadási arányt és túlélést.
- ***Kísérleti csoport*** – A randomizált klinikai vizsgálat azon ága, aki az új kezelést kapja.
- ***Randomizált klinikai vizsgálat*** – Egy kutatási tanulmány, amelyben az alanyok véletlenszerűen vannak hozzárendelve ahhoz, hogy bizonyos kezelésben részesüljenek.

- ***I-es fázisú klinikai vizsgálat*** – Egy vizsgálat, amelyet arra terveztek, hogy meghatározza a maximálisan tolerálható dózisát az új gyógyszernek vagy a gyógyszerek új kombinációjának, amelyeket még soha nem próbáltak embereknél. Általában ez az első humán tesztelése az új kezelésnek, habár I-es fázisú kombinált terápiás vizsgálatokban az egyéni elemek már jól le vannak tesztelve. Az I-es fázisú vizsgálatok betegeinek olyan előrehaladott rákos megbetegedéssel kell rendelkeznie, amely ellenáll bármilyen standard kezelésnek. Egy tipikus I-es fázisú vizsgálatban a betegek 3-tól 6 fős, egymást követő csoportjai („kohorszok") kapnak kezelést. Egy kohorsz minden betege ugyanazt a dózist kapja. Az első kohorsz jellemzően egy nagyon alacsony dózist kap, majd növelik a dózist minden ezt követő kohorszban addig, amíg egy meghatározott számú beteg nem tapasztal dóziskorlátozó toxicitást. Az előző kohorsznál használt dózisszintet veszik ekkor a maximálisan tolerálható dózisként. Aztán ez a dózis használatos a II-es fázisú vizsgálatban.
- ***II-es fázisú klinikai vizsgálat*** – Egy vizsgálat, melyet arra terveztek, hogy meghatározza annak az új terápiának a válaszarányát, melyet már az I-es fázisú vizsgálatban teszteltek. Jellemzően 14-től 50 beteget egy típusú rákkal kezelnek, hogy lássák hányan reagálnak. A betegeknek általában kötelező előrehaladott rákkal rendelkeznie, amely ellenáll bármilyen standard kezelésnek, továbbá mérhető betegségnek kell lennie. Amennyiben a II-es fázisú vizsgálat eredményei reménytkeltőek, abban az esetben a kezelést lehet a III-as fázisban tesztelni. Ha az eredmények nyilvánvalóan sokkal jobbak, mint a standard kezelésé, akkor lehetséges, hogy nem szükséges III-as fázisú vizsgálatot csinálni és a kezelés standard kezeléssé válhat a II-es fázisú vizsgálat eredményeire alapozva.
- ***III-as fázisú klinikai vizsgálat*** – Egy vizsgálat, melyet arra terveztek, hogy összehasonlítson két vagy több kezelést egy adott típusú vagy stádiumú rákra. A végpontja egy III-as fázisú vizsgálatnak általában a túlélés vagy a betegségtől mentes túlélés. A III-as fázisú vizsgálatok általában randomizáltak, tehát a betegek nem választják ki, hogy melyik kezelést kapják.. Egy tipikus III-as fázisú vizsgálatnak 50-től 1000 betege van. Néhány III-as fázisú vizsgálat összehasonlít egy új kezelést, amelynek jó eredményei voltak a II-es fázisú vizsgálatban, egy régebbi, jól ismert standard kezeléssel. Egyéb III-as fázisú vizsgálatok olyan kezeléseket hasonlítanak össze, amelyek már használatban vannak. Néhány kezelést a III-as fázisú vizsgálatokban igénybe lehet venni a klinikai vizsgálati felálláson kívül is.

KN (Karbamid nitrogén): A vérben a karbamid szint mérése. A karbamid a vesén keresztül ürül. A KN egy laboratóriumi vizsgálat annak a mérésére, hogy a vese mennyire jól működik. Megbetegedések, mint például a myeloma, amely veszélyezteti a veseműködést, gyakorta megnövekedett szintű karbamid nitrogénszinthez vezet.

Kreatinin: Egy izmok által termelt kicsi kémiai vegyület, normális esetben a vesék választják ki. Ha a vesék károsodnak, a kreatinin szérum szintje emelkedik, megnövekedett szérum kreatinin értéket eredményezve. A szérum kreatinin vizsgálat a vesefunkció mérésére használatos.

Kromoszóma: Egy DNS szál és pakolására szolgáló fehérjék a sejt magjában. A kromoszómák hordozzák a géneket és genetikai információ továbbítását látják el. Normális esetben az emberi sejtek 46 kromoszómát tartalmaznak.

Krónikus: Hosszú ideig tartó.

LDH: A laktát-dehidrogenáz egy enzim, mely a myelomás aktivitás megfigyelésére szolgál.

Leukociták: Sejtek, melyek segítik a szervezetet a fertőzések és egyéb betegségek elleni harcban. Más néven fehérvérsejtek.

Leukopénia: Alacsony fehérvérsejtszám.

Lézió: Egy terület kóros szöveti elváltozása. Egy dudor vagy tályog, melyet sérülés vagy betegség, olyan mint a rák, okozott. A myelomában a „lézió" utalhat plasmacytómára vagy egy lyukra a csontban.

Limfociták: Fehérvérsejtek, melyek a fertőzés és betegség ellen harcolnak.

Lítikus léziók: A csont károsodott területe, mely sötét foltként mutatkozik a röntgenen, mikor az egészséges csont egy elég nagy területe lett elpusztítva. A lítikus léziók úgy néznek ki, mint lyukak a csonton és bizonyítékai annak, hogy a csont meggyengült.

Malignus: Rákos; közeli szöveteket képes megtámadni vagy átterjedni a test egyéb részeire.

Maximálisan tolerálható dózis (MTD): A legmagasabb dózisa a kezelésnek, melyet még a legtöbb ember biztonságosan elvisel.

MDR (multidrug rezisztencia): Rezisztencia a szokásos kezeléssel szemben, tipikusan társítható az adriamycinhez és vincristinhez, mindkettő kemoterápiás gyógyszer. A rezisztenciát a P-glikoprotein beépülése okozza a myelomás sejtek külső sejtmembránjába. Ez azt eredményezi, hogy a gyógyszereket kipumpálja a myeloma sejt ahelyett, hogy beépülne és végül is elpusztítaná azt.

Melanoma: A bőr pigmentképző sejteinek vagy a szem retinájának rákos megbetegedése. Nem társítható a myelomával, a hasonló hangzású elnevezés ellenére sem.

Mellékhatások: Problémák, melyek a betegség kezelésére adott gyógyszerek használatának köszönhetően lépnek fel. A rák elleni kemoterápia gyakori mellékhatásai a fáradtság, hányinger, hányás, csökkent vérsejtszám, a haj elvesztése és szájfekélyek.

Metasztázis: A test egyik részéből a másikba terjed. Mikor a rákos sejtek áttéteket képeznek és másodlagos daganatot alakítanak ki, a másodlagos tumor sejtei hasonlóak az elsődleges tumor sejteihez. Ezt a kifejezést általában a betegség folyamatának a leírására használják a szolid tumoroknál (pl., emlő, prosztata) és nem a myelománál, amely a vérrel összefüggő rák.

M-fehérje: Antitestek vagy az antitestek részei, melyek általában nagy mennyiségben találhatóak a myeloma multiplexben szenvedő betegek vérében vagy vizeletében. Az M-fehérje éles mintázatra utal, mely a fehérje elektroforézis során keletkezik, amikor az M-fehérje jelen van. Rokon értelmű a monoklonális fehérjével. (Lásd lentebb "monoklonális")

MGUS (bizonytalan jelentőségű monoklonális gammopátia): Egy jóindulató állapot, amelyben az M-fehérje jelen van, de nincs jelen a myeloma vagy limfóma alapbetegség.

Molekula: Egy adott anyag legkisebb részecskéje, mely megőrzi az anyagnak az összes tulajdonságát, több atomból áll.

Monocita: Egyfajta fehérvérsejt, falósejtekké képes alakulni.

Monoklonális: Egy egyedül álló sejt klónja vagy másolata. A myeloma egyetlen rosszindulatú plazmasejtből fejlődik ki (monoklón). A termelődött myeloma fehérje típusa szintén monoklonális; egyes alakú inkább, mint több alakú (poliklonális). Fontos gyakorlati szempontja a monoklonális fehérjének, hogy úgy jelenik meg, mint egy éles tüske a szérum elektroforézis vizsgálatban.

Monoklonális antitestek: Mesterségesen előállított antitestek kifejezetten azzal a szándékkal, hogy megtalálják és hozzátapadjanak a rákos sejtekhez diagnosztikai vagy kezelési célból. Használhatóak egyedül vagy gyógyszerek, toxinok, valamint radioaktív anyagok szállítására a daganatos sejtekhez.

MRI (mágneses rezonancia képalkotás): Egy diagnosztikai vizsgálat, mely mágneses energiát használ inkább, mint röntgen sugarakat annak érdekében, hogy részletes, két- vagy háromdimenziós képeket készítsen a szervekről és struktúrákról a testen belül. Nagyon finom felbontású képet ad a lágy szövetekről, különösen a gerincvelő sérüléseiről, de kevésbé pontos a csont léziókhoz.

Myelodiszpláziás szindróma: Egy olyan állapot, melyben a csontvelő nem működik normálisan és nem termel elég vérsejtet. Ez az állapot előrehaladhat és akut leukémiává válhat.

Myeloid: A mielocitákra utal, egyfajta fehérvérsejt. Más néven myeloid. A myeloma multiplex egy nem-myeloid típusú rák.

Myeloszuppresszió: A vörösvértestek, vérlemezkék és némely fehérvérsejt csontvelő általi termelődésének csökkenése.

Neoplasia: Új sejtek kóros növekedése.

Neoplasma: Új szövet vagy sejtek kóros növekedése; egy daganat, mely lehet jó- vagy rosszindulatú.

Neutrofil: Egyfajta fehérvérsejt, mely szükséges a bakteriális fertőzés elleni küzdelemben.

Neutropénia: Csökkent neutrofilszint. Citotoxikus kemoterápia hajlamos neutropéniát indukálni. Ezzel szemben a limfocitákat, melyek sokkal fontosabbak a vírusos fertőzéseknél általában nem befolyásolja a citotoxikus kezelés. A neutropénia megelőzhető vagy csökkenthető egy szintetikus hormon, a G-CSF által (pl. Neupogen).

Onkogén: Egy gén vagy DNS szál, mely normális esetben irányítja a sejtnövekedést, viszont amely elősegítheti vagy hagyhatja a rák szabályozatlan növekedését, ha megsérül (mutál) rákkeltő anyagokkal való környezeti expozíció miatt, valamint ha megsérül vagy hiányzik öröklött defektus miatt. Egy gén, melyben megvan a lehetőség, hogy egy normális sejtet rákossá változtasson.

Onkológus: Egy orvos, aki a rák kezelésére szakosodik. Néhány onkológus egy adott típusú rák kezelésére szakosodik.

Osteoblast: A sejt, mely osteoidot állít elő és kalciummal tölti fel, hogy egy új, kemény csontot formáljon.

Osteoid: Az osteoblast-sejt fehérje terméke, mely kalcimmal telik meg és kemény csontokat formál.

Osteoklaszt: Egy sejt, mely a csontvelőben található a csontvelő és a csont összekapcsolódási pontjánál és feloldja vagy felbontja az elöregedett csontot. A myelomában az osteoklasztok túlságosan nagy arányban vannak stimulálva, míg az osteoblast tevékenység blokkolva van. A felgyorsult csontfelszívódás és a blokkolt új csontképződés kombinációja eredményezi a lítikus léziót.

Oszteoporózis: A csontsűrűség csökkenése, tipikusan az idős korhoz köthető. A csontok kiterjedt myelomás károsodása olyan állapotot idéz elő, ami úgy néz ki, mint a csontritkulás a röntgenen.

Ödéma: Duzzanat; egy kóros folyadékgyülem a test egy részén.

Övsömör: Lásd "Herpes zoster."

Őssejtek: Éretlen sejtek, melyekből fejlődik ki az összes vérsejt. A normális őssejtek keltik életre a vér összetevőit, beleértve a vörösvértesteket, fehérvérsejteket és vérlemezkéket. Az őssejtek normális esetben a csontvelőben találhatóak és begyűjthetőek transzplantációhoz.

Palliatív (csillapító) kezelés: Célja, hogy javítsa az életminőséget a fájdalom és a tünetek csillapításával, de nem szándékozik megváltoztatni annak lefolyását.

Patológiás törés: Egy csont törése, amit általában a rák vagy más betegség okoz. A myeloma által meggyengített csontokban fordul elő, melyek nem bírják el a normál terhelést vagy stresszt.

Patológia: A betegség tanulmányozása a szövetek vagy testnedvek mikroszkópos vizsgálata által. Az orvost, aki a patológiára szakosodott, patológusnak nevezik.

PET (pozitron emissziós tomográfia) felvétel: Egy diagnosztikai vizsgálat, ami egy kifinomult kamerát és számítógépet használ, hogy felvételeket készítsen a testről. A PET felvételek mutatják a különbséget az egészségesen és kórosan működő szövetek között.

Placebo: Egy inert (inaktív) anyag, melyet gyakran a klinikai vizsgálatokban használnak a kísérleti gyógyszerrel való összehasonlításban.

Plasmacytoma: Felgyülemlett plazmasejtek, melyek egy helyen találhatóak inkább, mint szétszórtan a csontvelőben, lágy szövetben vagy csontban.

Plazma: A vér folyékony része, ahol a vörösvértestek, fehérvérsejtek és vérlemezkék szuszpenziót alkotnak.

Plazmaferezis: Bizonyos fehérjék eltávolításának a folyamata a vérből. A plazmaferezis használható a monoklonális fehérje vérből való eltávolítására multiplex myelomában szenvedő betegeknél.

Plazmasejtek: Különleges fehérvérsejtek, melyek antitesteket termelnek. A rosszindulató sejt a myelomában. A normális plazmasejtek antitesteket termelnek, melyek a fertőzés ellen harcolnak. A myelomában rosszindulató plazmasejtek termelnek nagy mennyiségű kóros antitestet, melyek nem rendelkeznek a fertőzés leküzdésének képességével. A kóros antitestek monoklonális fehérjék, vagy M-fehérjék. A plazmasejtek egyéb kémiai anyagokat is termelnek, melyek szervi és szövetkárosodást okoznak (pl., vérszegénységet, vese-elégtelenséget és idegkárosodást).

Port katéter beültetés: Egy százforintos méretű lemezhez kapcsolt katéter, melyet műtéti úton a bőr alá helyeznek a mellkasfalon vagy a hasfalon. A katétert egy nagy vénába vagy artériába szúrják közvetlenül a véráramba. Folyadékot, gyógyszereket vagy vérkészítményeket lehet beadni és vért lehet levenni a tűn keresztül, ami a lemezbe van szúrva.

Prékancerózis: Egy kifejezés, amit egy állapot leírására használnak, amelynél lehetséges vagy valószínű, hogy rákká fog változni.

Prognózis: A tervezett eredmény vagy egy betegség lefolyása; a felépülés esélye; a várható élettartam.

Progresszióméntes túlélés: Az az időtartam, amelyet a beteg túlél és a rák nem rosszabbodik. A beteg javuló túlélése, amely közvetlenül tulajdonítható a myelomára adott kezelésnek. Ez a kifejezés azokat a myelomában szenvedő betegeket azonosítja, akik a teljes remisszió állapotában vannak, azokkal ellentétben, akiknek volt egy visszaeső vagy progresszív szakasza.

Progresszív betegség: Betegség, mely rosszabbra fordul, amit vizsgálatokkal igazolnak.

Protokoll: A kezelés egy részletes terve, mely tartalmazza valamennyi használatos gyógyszer dózisát és bevételét.

Radiológus: Egy orvos, aki a test belsejéről felvételek létrehozására és értékelésére szakosodott. A felvételeket készíthetik röntgennel, ultrahanggal, mágneses mezővel vagy egyéb energiaforrással.

Rák: Egy kifejezés olyan betegségekre, amelyeknél rosszindulató sejtek osztódnak szabályozás nélkül. A rákos sejtek megtámadhatják a közeli szöveteket és elterjedhetnek a véráramon és nyirokrendszeren keresztül a test más részeibe.

Refrakter: Betegség, ami nem reagál a standard kezelésekre.

Regresszió: A rákos növekedés összezsugorodása.

Rekurencia: Egy betegség újra történő megjelenése a remisszió egy szakasza után.

Relapszus (visszaesés): Egy betegségre utaló jeleknek és tüneteknek újra történő megjelenése egy javuló időszak után.

Remisszió vagy válasz: Teljes vagy részelges eltűnése a rákra utaló jeleknek és tüneteknek. A remisszió és válasz szinonímaként használható.

- ***Teljes remisszió*** – A teljes remisszió (CR) a rutin vizsgálattal megállapított M-fehérje hiánya a vérből és/vagy vizeletből; a myelomás sejtek hiánya a csontvelőből és/vagy egyéb myelomával érintett területekről; klinikai remisszió és egyéb laboreredmények javulása. A teljes remisszió nem ugyanaz, mint a teljes gyógyulás.
- ***Nagyon jó, részleges remisszió*** – A nagyon jó, részleges remisszió (VGPR) csak egy kicsit kevesebb, mint a teljes remisszió, azaz amikor az M-fehérje szintje 90% alá csökken vagy majdnem teljesen eltűnik.
- ***Részleges remisszió*** – A részleges remisszió (PR) egy olyan szintű a betegség kezelésére adott válasz, ami kevesebb, mint a teljes remisszió. A SWOG klinikai vizsgálatokban ez 50%-nál több és 75%-nál kevesebb választ jelentett. Más vizsgálatokban 50%-nál jobb választ jelentett.

RNA (ribonukleinsav): Bármely különböző nukleinsav, mely a sejtek kémiai tevékenységének szabályozásához köthető. Az RNS egyike a két nukleinsavnak, mely az összes sejtben megtalálható – a másik a DNS (dezoxiribonukleinsas). Az RNS szállítja a genetikai információt a DNS-től a sejt által termelt fehérjékig.

Röntgen: Nagyenergiájú elektromágneses sugárzás, amit kis dózisban betegségek diagnosztizálásában, míg nagy dózisban a rák kezelésére használnak.

Sejt: Az élő szervezet alapvető egysége.

Sejtek differenciálódása: A folyamat, amely során fiatal, éretlen (nem specializálódott) sejtek felvesznek egyedi jellegzetességeket és elérik az érett (specializált) formájukat és funkciójukat.

Sejtproliferáció: A sejtek számának növekedése a sejtek növekedésének és osztódásának eredményeként.

Stabil betegség: Ez jellemzi azokat a betegeket, akik ugyan reagálnak a kezelésre, de csak<50%-os a csökkenése az M-fehérje szintjének. A stabil betegség nem szükségszerűen rossz vagy szuboptimális (összevetve a teljes vagy részleges remisszióval) feltéve, hogy a myeloma stabilizálódott és nem halad előre. A lassan előrehaladó myeloma, stabilizáció számos évig tarthat.

Stádium: A rák előrehaladottsági foka a szervezetben.

Staging (stádiumba sorolás): Vizsgálatok és tesztek elvégzése annak érdekében, hogy megtudják milyen fokú a rák a szervezetben.

Sugárterápia: Röntgensugarakkal, gammasugarakkal, vagy elektronokkal történő kezelés a rosszindulató sejtek károsítására vagy elpusztítására. A sugárzás jöhet a testen kívülről (külső besugárzás) vagy radioaktív anyagokból, melyeket közvetlenül a daganatba helyeznek (beültetett sugárforrás).

Szabad könnyűláncok: A monoklonális fehérje egy kis molekulasúlyú részegysége, amely egy érzékeny vizsgálattal, a Freelite® teszttel mérhető.

Szérum oszteokalcin: Egy, az osbeoblastok által termelt és kiválasztott fehérje osteoid termelésekor. Ennek az alacsony szintje aktív myelomát mutat. A normálisnál magasabb szint stabil myelomára utal.

Szisztémás terápia: Kezelés, ami olyan anyagokat használ, melyek a véráramon keresztül eljutva elérik és hatnak a rákos sejtekre az egész szervezeten belül.

Szteroid: Egyfajta hormon. Szteroidokat gyakran adnak a betegeknek egy vagy több rák elleni gyógyszerrel együtt és úgy tűnik, hogy segít a betegség a szervezetre gyakorolt hatásainak szabályozásában.

Szupportív (támogató) kezelés: Kezelés, amit a komplikációk és mellékhatások megelőzése, ellenőrzése vagy enyhítése, továbbá a beteg komfort, valamint életminősége javítása érdekében adnak.

Tájékoztatáson alapuló beleegyezés: A folyamat, mely elvárja az orvostól, hogy elegendő információt nyújtson a betegnek a javasolt eljárásról, azért hogy a beteg tájékozott döntést tudjon hozni arról, hogy aláveti-e magát vagy sem. Az orvosnak továbbá kötelessége elmagyaráznia az egész eljárást, beszélnie a kockázatokról, előnyökről, alternatívákról és lehetséges költségekről.

TNF (tumornekrózis faktor): Egyfajta biológiai válaszmódosító szer, mely javíthatja a szervezet természetes reakcióját a betegségre.

Toxinok: Mérgek, melyeket bizonyos állatok, növények vagy baktériumok termelnek.

Transzfúzió: Vér vagy vérkészítmények átadása.

Transzplantáció: Számos különféle típusa létezik a transzplantációnak.

- ***Csontvelő transzplantáció*** – Ez a kifejezés a csontvelőből az őssejtek kinyerésének a folyamatára és a betegbe való beadására utal. Ezt a kifejezést manapság ritkábban használják a myelomával összefüggésben, mivel az őssejteket perifériás, azaz keringő vérből gyűjtik össze.
- ***Perifériás vér-őssejt transzplantáció*** – Az orvosok egészséges őssejteket nyernek ki a beteg vérkeringéséből (nem a csontvelőből) és tárolják őket, míg a beteg nagy dózisú kemoterápiát kap a rákos sejtek elpusztítására. Az őssejteket aztán visszajuttatják a betegbe, ahol új vérsejteket termelhetnek a kezelés által elpusztított sejtek helyettesítésére.
- ***Allogén*** – Csontvelő vagy őssejtek infúziója egy személytől (donor) egy másikba (befogadó). A beteg, aki csontvelőt vagy őssejteket kap egy kompatilibis, bár genetikailag nem egyező donortól.
- ***Autológ*** – Egy eljárás, amelyben őssejteket távolítanak el a beteg véréből és aztán az intenzív kezelést követően adják vissza neki.
- ***Nem rokon donoros transzplantáció (MUD)*** – Őssejt transzplantációs eljárásokra utal, ahol a beteget és az őssejteket genetikailag párosítják össze, de nem családtagok. Ez az eljárás nem javasolt myelomában szenvedő betegeknek, mivel elfogadhatatlanul magas halálozási aránnyal jár.
- ***Szingén*** – Csontvelő vagy őssejtek infúziója egy egypetéjű iker egyikéből a másikba.

Trombociták: Lásd "Vérlemezkék."

Trombocitopénia: Csökkent vérlemezkeszám a vérben. A normális szint 150.000- 250.000. Ha a vérlemezkeszám kevesebb, mint 50.000 akkor vérzési problémák adódhatnak. Súlyos vérzési probléma általában a kevesebb, mint 10.000 alá csökkenéshez köthető.

Tumor: Egy kóros szövetcsomó, amely túlzott sejtosztódás eredménye. A daganatok a szervezet működésében semmilyen funkciót nem látnak el. Ezek lehetnek jó- vagy rosszindulatúak.

Tumor marker: A vérben vagy egyéb testnedvekben lévő anyag, mely arra utal, hogy az adott személynek rákja van.

Vakcina: Elpusztított mikroorganizmusok, attenuált élő organizmusok vagy teljesen virulens organizmusok készítménye, melyeket azért adnak be, hogy védettséget adjanak vagy mesterségesen növeljék a védettséget bizonyos betegség ellen.

Vérkép: A vörösvértestek, a fehérvérsejtek és a vérlemezkék száma a vérben.

Vérlemezke: Egyike a vér három fő elemének, a többi a vörösvértestek és fehérvérsejtek. A vérlemezkék betömítik az erek falán lévő réseket és olyan anyagot bocsátanak ki, ami serkenti a vérrögképződést. A vérlemezkék biztosítják a legfontosabb védelmet a vérzés ellen. Más néven trombociták.

Vérsejtek: Parányi struktúrák a csontvelőben; magában foglalják a vörösvértesteket, fehérvérsejteket és vérlemezkéket.

Vírus: Egy apró élő részecske, ami megfertőzheti a sejteket és megváltoztathatja azok működését. A vírusfertőzés tünetek kialakulását okozhatja egy embernél. A betegség és az okozott tünetek a vírus típusától függenek és attól, hogy milyen sejteket fertőztek meg.

Vörösvértestek (eritrociták): Sejtek a vérben, melyek hemoglobint tartalmaznak és oxigént szállítanak a sejtekhez, valamint szén-dioxidot visznek el a test minden részéből. A vörösvértest termelést egy, a vesék által termelt hormon (eritropoetin) serkenti. A károsodott veséjű myelomában szenvedő betegek nem termelnek elég eritropoetint és vérszegénnyé válthatnak. Szintetikus eritropoetin injekciók a segítségükre lehetnek. A vérátömlesztés egy másik alternatíva lehet, különösen sürgős esetben. A szintetikus eritropoetin egy támogató kezelés, melyet a myeloma elleni kezelésben használnak a vérszegénység elkerülésére.

Waldenström macroglobulinaemia: Az indolens nyirokszervi betegségek egy ritka típusa, ami a plazmasejteket is érinti. Túlzott mennyiségű IgM fehérje termelődik. Nem a myeloma típusa.

IMF KIADVÁNYOK

Betegek kézikönyve

A betegség és a kezelési lehetőségek rövid áttekintése

A megérteni sorozatból:

- Vérszegénység és fáradtság
- Balloon Kyphoplasty és myeloma által indukált csigolya kompressziós törés
- Bisfosfonát kezelés
- A dexametazon és egyéb szteroidok
- Revlimid® (lenalidomide)
- Serum Free Light Chain Assays
- Őssejt transzplantáció
- A talidomid
- VELCADE® (bortezomib) injekció

ASCO Highlights for Patients / Physicians

ASH Highlights for Patients / Physicians

Citings: Freelite/Hevylite

Citings: Novel Therapies

Myeloma Today (IMF Quarterly Newsletter)

Myeloma Minute (IMF e-newsletter)

Publications of the International Myeloma Working Group

Publications of the IMF Nurse Leadership Board