

Onkologické a hematoonkologické ochorenia

Hematológia

Novartis vyvinul a stále vyvíja nové lieky na liečbu mnohých zhubných aj nezhubných ochorení krvi a krvotvorných orgánov, ktoré patria pod spoločný odborný názov „hematológia“.

Časť hematológie, ktorá sa venuje diagnostike a liečbe zhubných (nádorových) ochorení sa nazýva „hematoonkológia“.

Ochorenia, v liečbe ktorých sa na Slovensku naše lieky používajú, sú:

Myelofibróza (MF)

Myelofibróza je nádorové ochorenie kostnej drene, ktoré patrí medzi chronické myeloproliferatívne neoplázie (MPN). Je charakterizovaná tvorbou jazvovitého tkaniva (fibróza) v kostnej dreni, kedy kostná dreň nie je schopná produkovať dostatok krvných buniek (červených krviniek, bielych krviniek a krvných doštičiek).

Dôsledkom je presun krvotvorby do pečene a sleziny, a tým dochádza k ich zväčšovaniu. Pečeň a slezina však nie sú schopné v dostatočnom množstve tvoriť krvné bunky a postupne dochádza k poklesu všetkých krvných buniek. Myelofibróza sa považuje za zriedkavé ochorenie, celosvetovo postihuje menej ako 50 ľudí zo 100 000 za rok. Najčastejšie sa diagnostikuje u pacientov vo veku 60 až 70 rokov, postihuje mužov a ženy relatívne rovnako často.

Väčšina pacientov nemá pri diagnóze žiadne ťažkosti a často ide o náhodný nález abnormalít krvného obrazu. Klinické príznaky ochorenia sú obyčajne spôsobené až zväčšujúcou sa slezinou, najčastejšími príznakmi sú únava, nočné potenie, bolesti kostí, pocit skorého zasýtenia. Liečba vzhľadom na rôznorodosť príznakov, štádií vyžaduje stanovenie individuálneho liečebného plánu pre každého pacienta. V súčasnosti už existuje liečba, ktorá dokáže zmierniť príznaky ochorenia a zlepšiť kvalitu života.

Polycytémia vera (PV)

Polycytémia vera je nádorové ochorenie kostnej drene, ktoré patrí medzi chronické myeloproliferatívne neoplázie (MPN). Je charakterizovaná zvýšenou tvorbou krviniek, hlavne červených krviniek, ktorých nadbytok spôsobuje zahustenie krvi a spomaľuje jej prúdenie. Zahustenie krvi môže spôsobiť tvorbu krvných zrazenín – trombózu. Tá môže spôsobiť srdcový infarkt, cievnu mozgovú príhodu, pľúcnu embóliu alebo trombózu brušných ciev.

Polycytémia vera je ochorenie staršieho veku (výskyt 60 rokov), ale je naň dôležité myslieť aj u mladých pacientov, u ktorých je prvým prejavom ochorenia trombóza. Ochorenie sa vyskytuje u 2 zo 100 000 prípadov, pričom častejšie u mužov. Najčastejšími príznakmi sú únava, svrbenie kože, bolesti hlavy.

Cieľom liečby je zabrániť komplikáciám, ako je trombóza s možným rizikom úmrtia a tiež zabránenie rozvinutia PV do myelofibrózy alebo akútnej myeloblastovej leukémie. Štandardom liečby sú preto postupy, pomocou ktorých je možné zmierniť príznaky, a tak zlepšiť kvalitu života.

Imunologická reakcia štep proti hostiteľovi (GvHD, Graft versus host disease)

Imunologická reakcia štepu proti hostiteľovi (GvHD) je charakterizovaná zápalom v rôznych orgánoch. Je častým vedľajším účinkom alogénnej transplantácie kostnej drene alebo kmeňových buniek. U pacientov s GvHD imunitné bunky od darcu v darovanom tkanive (štepe) vnímajú telo príjemcu (hostiteľa) ako cudzie a napádajú jeho normálne bunky.

Vzniká po transplantácii u 50-60% pacientov. Choroba štepu proti hostiteľovi je rozdelená na akútnu a chronickú formu a je hodnotená alebo odstupňovaná na základe postihnutého tkaniva a závažnosti reakcie. Akútna GvHD vznikne väčšinou do 100 dní od transplantácie a najčastejšie postihuje kožu, črevá a pečeň. Chronická GvHD sa vyskytuje neskôr a často postihuje viacero oblastí tela. Okrem postihnutia kože, čriev a pečene môže postihovať oči, kĺby, svaly, pľúca a iné orgány. Chronické symptómy môžu mať dlhodobý negatívny vplyv na fyzickú pohodu a kvalitu života.

Liečba GvHD je zložitá, zahŕňa lieky na zastavenie poškodenia orgánov príjemcu transplantátu.

Chronická myelocytová leukémia (CML)

Chronická myelocytová leukémia je zhubné ochorenie krvotvorných buniek, ktoré sa nachádzajú v kostnej dreni. Vzniká chybným premiestnením častí génov medzi 9. a 22. chromozómom, dôsledkom čoho vznikne zmenený tzv. Philadelphia chromozóm. Práve ten sa vyskytuje u viac ako 95 % pacientov s CML a považuje sa za príčinu tohto ochorenia. Vedie k abnormálnemu rozmnoženiu bielych krviniek, ktoré však nie sú schopné adekvátne plniť svoju funkciu.

Postihuje ľudí v produktívnom veku, častejšie mužov ako ženy. Incidencia predstavuje cca 1-2 prípady na 100 000 ľudí ročne a tvorí zhruba 15% zo všetkých leukémií. Klinické príznaky sú pomerne nenápadné – strata na hmotnosti, nebolestivé zväčšenie sleziny, zvýšené teploty.

Liečba CML je založená na podávaní liekov, ktoré vyradia z činnosti chybný enzým, zapríčiňujúci rast buniek a pacienti môžu viesť život bez obmedzení. Väčšina pacientov dosiahne kompletnú remisiu ochorenia – čiže úplné vymiznutie príznakov.

Primárna imunitná trombocytopénia (ITP)

Primárna imunitná trombocytopénia (ITP), nazývaná tiež idiopatická imunitná trombocytopénická purpura, je ochorenie, ktorého hlavnou charakteristikou je znížený počet trombocytov (krvných doštičiek). Trombocyty sú malé krvné bunky, ktoré sa podieľajú na zrážaní krvi (koagulácii). Pomáhajú zastaviť krvácanie tak, že prilnú na poranený povrch cievy, zhlukujú sa a zacelia poškodené miesto, na ktorom sa neskôr vytvorí pevná krvná zátka a stena cievy sa úplne zahojí. ITP je charakterizovaná tým, že imunitný systém vytvára protilátky proti vlastným trombocytom a detruuje ich alebo organizmus nevytvára dostatok trombocytov. Výsledkom je nedostatok trombocytov a pacienti sú ohrození rizikom krvácania.

ITP je zriedkavé ochorenie, trpia ňou približne deväti ľudia zo 100-tisíc, môže postihovať dospelých aj deti. ITP je idiopatické (príčina nie je známa), získané ochorenie. Vyskytuje sa 2- 3x častejšie u žien ako u mužov a najmä u detí sa ITP môže rozvinúť po prekonaní vírusového ochorenia, ako je mumps, osýpky alebo infekcie dýchacích ciest.

Cieľom liečby ITP zabrániť krvácaniu. Nízky počet krvných doštičiek sám osebe nespôsobuje krvácanie. Ak však dôjde k úrazu alebo poraneniu, nízky počet krvných doštičiek môže krvácanie z rany zhoršiť. Liečba môže spočívať v podávaní rôznych typov liekov a aj v chirurgickom odstránení sleziny (splenektómii).

Ťažká aplastická anémia (SAA)

Aplastická anémia je vzácne hematologické ochorenie charakterizované deštrukciou kostnej drene, kedy je

krvotvorné tkanivo v kostnej dreni nahradené tukom. V dôsledku toho dochádza k nedostatočnej tvorbe všetkých krvných elementov krvi - červených krviniek (erytrocytov), bielych krviniek (leukocytov) aj krvných doštičiek (trombocytov). Príčinami poškodenia môže byť kontakt s toxickými látkami, dlhodobá chemoterapia, a niektoré infekcie. U mnohých prípadov aplastickej anémie je príčina vzniku neznáma.

Príznaky aplastickej anémie z nedostatku erytrocytov sa prejavujú ako únava, svalová slabosť a nevoľnosť ako prejavy anémie. Pri nedostatku leukocytov dochádza k oslabeniu imunitného systému, preto dochádza k častým infekciám, ktoré majú komplikovaný a ťažký priebeh. Nedostatok trombocytov sa prejavuje ťažko zastaviteľným krvácaním. Chorý trpí na krvácanie z nosa, ľahko sa mu tvoria modriny, krv sa môže nachádzať v stolici alebo moči.

Liečba aplastickej anémie spočíva v podávaní krvných transfúzií, liekov podporujúcich imunitný systém a liekov, ktoré podporujú tvorbu krvných buniek. Infekcia sa lieči antibiotikami alebo antivirotikami. Ak liečba nezaberá, pristupuje sa k transplantácii kostnej drene.

Akútna myeloidná leukémia (AML)

Akútna myeloidná leukémia je zriedkavá agresívna rakovina krvi a kostnej drene. Pri AML dochádza k poruche dozrievania bielych krviniek, čo spôsobuje nahromadenie „blastov“, ktoré vytláčajú normálne krvné bunky.

Približne 25% všetkých leukémií u dospelých celosvetovo pripadá na AML, pričom najvyšší výskyt je v USA, Európe a Austrálii. Priemerný vek v čase stanovenia diagnózy je 67 rokov. Odhaduje sa, že 5 rokov od stanovenia diagnózy sa dožije asi jedna štvrtina pacientov.

Prognóza sa u jednotlivých pacientov líši a závisí na množstve faktorov vrátane:

- veku
- osobnej anamnézy
- štádia choroby
- podtypu a genetických mutácií

Liečba AML je cieleňá individuálne podľa rizika v závislosti od genetických mutácií a podľa charakteristík pacienta, vrátane veku a iných chorôb pacienta. U pacientov s extrémne vysokým počtom bielych krviniek je potrebná neodkladná liečba.



Onkologické ochorenia

Melanóm

Melanóm patrí k najzhubnejším a najzákernejším nádorom pre svoju schopnosť rýchlej tvorby metastáz. Vyskytuje sa predovšetkým na koži, ale môže sa objaviť aj v oku alebo na slizniciach. Len tretina melanómov vzniká zo znamienka.

Melanóm vo väčšine prípadov býva na prvý pohľad iný ako okolité znamienka. Varovnými signálmi sú zmena zafarbenia a veľkosti, nepravidelnosť, náchylnosť ku krvácaniu, svrbenie či vytvorenie rany na povrchu. Výskyt melanómu v posledných rokoch výraznejšie narastá, v európskych krajinách každoročne o 5%.

Objavuje sa u čoraz mladších pacientov a zaberá významné miesto medzi chorobami ľudí v produktívnom veku. U ľudí mladších ako 40 rokov sa vyskytuje častejšie u žien ako u mužov, najmä vo veku 25 – 29 rokov. Po 65. roku života sa objavuje dvakrát častejšie u mužov ako u žien.



Melanóm je najčastejšia malignita u žien vo veku 25-29 rokov. Po 65. roku sa však objavuje dvakrát častejšie u mužov ako u žien.



V priebehu 30 rokov stúpol počet prípadov rakoviny kože štyrikrát. Rakovina kože celkovo (melanómová a nemelanómová) sa stala najčastejším druhom nádorového ochorenia.



Každý rok sa počet novozistených melanómov u obyvateľov väčšiny európskych krajín zvýši o cca 5%.



Melanóm je najčastejšia malignita u žien vo veku 25-29 rokov. Po 65. roku sa však objavuje dvakrát častejšie u mužov ako u žien.

Zdroj: <https://www.uvzs.sk/>, npz.sk, Onkológia 2016, J.Ferlay et al./European Journal of Cancer 103

Vznik ochorenia je ovplyvnený vzájomným ovplyvňovaním rôznych faktorov prostredia (napr. ultrafialové žiarenie, nepravidłné a nárazové opaľovanie, opakované spálenie citlivej kože, návšteva solárií, vystavenie ionizujúcemu žiareniu) a genetickou náchylnosťou. Prognóza nádoru závisí od štádia ochorenia, včasný

záchyt melanómu sa preto považuje za rozhodujúci faktor prežitia.

Liečba metastatického melanómu stagnovala desaťročia a donedávna prežívalo päť rokov iba 5 % pacientov. K výraznému zlepšeniu tejto situácie došlo až v priebehu posledného obdobia a my v Novartise svojou inovatívnou liečbou takisto prispievame k predĺženiu a zlepšeniu kvality života pacientov s týmto ochorením.

Karcinóm prsníka

Karcinómom prsníka sa zaoberáme už vyše 25 rokov a prispievame k riešeniu ochorenia, ktoré je v priebehu života diagnostikované jednej z ôsmich žien. Ide o v súčasnosti najčastejšie sa vyskytujúci zhubný nádor u žien, pričom u mužov ide o extrémne vzácne ochorenie. Toto ochorenie, roky považované za smrteľné, sa s príchodom nových inovatívnych možností liečby stáva chronickým.

Na Slovensku však ročne umierajú stovky žien na rakovinu prsníka, pretože prišli príliš neskoro. Každý rok pribudne okolo 3 300 novodiagnostikovaných pacientok, ich celkový odhadovaný počet je viac ako tridsaťtisíc. Pritom pri preventívnych prehliadkach by sa ochorenie zistilo vo včasnom štádiu a pravdepodobne by sme týmto prístupom zachránili život ročne až 300 ženám.

Source URL: <https://www.novartis.com/sk-sk/o-nas/innovative-medicines-na-slovensku/onkologicke-hematoonkologicke-ochorenia>

List of links present in page

- <https://www.novartis.com/sk-sk/sk-sk/o-nas/innovative-medicines-na-slovensku/onkologicke-hematoonkologicke-ochorenia>
- <https://www.uvzsr.sk/>