

Danish edition



MDS – En vej med Håb.

Information til
Patienter og Pårørende
som **LEVER** med MDS

by Sandra Kurtin

Et globalt MDS Foundation patientstøtte initiativ, som giver et personligt uddannelsesprogram for patienter og pårørende som forberedelse til livet med MDS



Published by the Myelodysplastic Syndromes Foundation, Inc.

Copyright	© 2017 MDS Foundation
Original titel	MDS Building Blocks of Hope
Forfatter	Sandra Kurtin
Dansk titel	MDS - En vej med Håb
Oversættelse	Overlæge Klas Raaschou-Jensen, Odense Universitetshospital MDS Patient Niels Jensen, Lyle Patientforeningen for Lymfekræft, Leukæmia og MDS
Forlag	
Trykkeri	
	Første danske udgave 2019. Oplag 1000.

Du eller en du kender har fået diagnosen MDS. At høre ordene myelodysplastisk syndrom eller MDS kan være skræmmende. MDS diagnosen er ofte uventet og fyldt med både umiddelbare og langsigtede udfordringer. Du har sikkert mange spørgsmål. Vi er glade for, at du tager del i “MDS - En vej med Håb” informationsmaterialet. Materialet er designet til at hjælpe dig til de oplysninger, du søger, og tage aktivt del i dit liv med MDS.

Informationsmaterialet “MDS - En vej med Håb” består af følgende kapitler:

- **Kapitel 1** - Forstå MDS: En komplet beskrivelse af sygdommen MDS med svar på de hyppigste spørgsmål.
- **Kapitel 2** – Søg behandling: Behandlingen af din MDS kan variere afhængig af din MDS undertype og hvor alvorlig den er. Dette kapitel giver dig oplysninger om de forskellige behandlingsmuligheder.
- **Kapitel 3** – Lyn-Tips: Lyn-Tips giver informationer om hvordan du skal forholde dig, når du oplever forskellige symptomer på grund af din MDS og / eller den behandling, som du modtager.
- **Kapitel 4** – Jernophobning: Jernophobning forekommer når du regelmæssigt har modtaget transfusioner med røde blodlegemer. Dette kapitel besvarer almindelige spørgsmål om jernophobning, herunder hvordan jernophobning kan behandles.
- **Kapitel 5** – Mit liv med MDS: Forståelse af MDS diagnosen hjælper dig og dine pårørende med at tage aktiv del i din behandlingsplan. Denne del omfatter svar på ofte stillede spørgsmål, og tips til et sundt liv med MDS.
- **Kapitel 6** – MDS Ressourcer: Beskriver organisationer, som kan være til hjælp for MDS patienter og deres pårørende, MDS Foundation og MDS Alliance, samt mange andre organisationer herunder også medicinalindustriens hjælpeprogrammer. Her finder du også skemaer hvorpå du kan samle informationer om dit liv med MDS, som eksempelvis noter fra dine konsultationer. Der er også en ordliste og en liste med referencer til den original litteratur, som denne bog er baseret på.

Der er flere elementer i informationsmaterialet “MDS - En vej med Håb” (“MDS Building Blocks of Hope”). Du har modtaget den trykte udgave. Disse trykte materialer kan bruges sammen med digitalt materiale: videoer, korte pædagogiske præsentationer, links til online ressourcer og en række meget praktiske værktøjer, som findes online på MDS Foundation hjemmeside www.mds-foundation.org, til at give dig dybere indsigt i MDS. Du kan også læse hele den engelske udgave af “MDS Building Blocks of Hope” i et side-drejnings format på <http://buildingblocksofhope.com>. Denne online version indeholder en søgefunktion og miniaturer, der vil hjælpe dig med hurtigt at finde de oplysninger, du søger, samt nemt dele informationerne med familie, pårørende og venner. Online versionen opdateres løbende. Du kan besøge MDS Foundations hjemmeside eller kontakte MDS Foundation direkte for at lære mere og se efter de nyeste oplysninger (se kontaktoplysninger nedenfor).

Giv dig selv tid til at tilpasse dit liv til din MDS diagnose. Tag dig tid til at studere materialet i “MDS - En vej med Håb”. Vi ønsker dig alt det bedste i dit liv med MDS, og håber, at materialet “MDS - En vej med Håb” giver dig og dine pårørende værktøjer og strategier til at leve med din MDS.

Oversættelse af MDS Building Blocks of Hope til dansk er muliggjort ved et samarbejde mellem overlæge Klas Raaschou-Jensen fra Odense Universitetshospital og MDS patient Niels Jensen.

The MDS Foundation

Telefon: 1-609-298-1035*

Fax 1-609-298-0590

Hjemmeside: www.mds-foundation.org

Mail: patientliaison@mds-foundation.org

*Fra Danmark kan du ringe billigt med Skype eller gratis med Google Hangout.

Indholdsfortegnelse

Forord	3
Indholdsfortegnelse	4
Forstå MDS	6
Hvad er MDS?	7
Er MDS kræft?	7
Årsagen til MDS	8
Er MDS arvelig?	8
Knoglemarvens funktion.	9
Symptomerne på MDS	10
Knoglemarvsundersøgelse.	11
Knoglemarvsændringer hos MDS patienter.	13
Klassifikation af MDS	17
FAB Klassifikationssystemet	17
WHO Klassifikationssystemet	18
Hvor Alvorlig er min MDS?	20
Reviderede Internationale Prognostiske ScoringsSystem (IPSS-R)	21
Søg behandling.	22
Den første konsultation om behandling	23
MDS: Behandlingsprincipper	24
Observation	24
Understøttende behandling	25
Sygdomsmodificerende behandling	25
Hvor alvorlig er din MDS?	26
Understøttende behandlinger.	27
Transfusion af røde blodlegemer.	27
Blodpladetransfusion	28
Vækstfaktorer.	29
Sygdomsmodificerende behandling	32
Hypometylerende lægemidler	32
Immunmodulerende lægemidler	34
Immunundertrykkende lægemidler	35
Induktionskemoterapi	35
Palliativ pleje	36
Knoglemarvstransplantation	37
Knoglemarvstransplantationsproceduren	38
Kliniske forsøg	40
MDS og kliniske forsøg.	42
MDS hos børn	43
Årsagen til MDS hos børn.	43
Symptomerne på MDS hos børn	43
Hvordan behandles MDS hos børn?	45
Information om MDS og kræft hos børn	46

MDS Patienthistorier	47
Bob Weinbergs historie	48
William Pearsons historie	50
Janet Pearsons pårørende historie	52
Ryan Szantos historie	54
MDS Lyn-Tips	56
Almindelige tips	57
MDS og angst	58
MDS og anæmi	59
MDS og depression	61
MDS og diarré	62
MDS og feber	63
MDS og forstoppelse	64
MDS og hududslæt	65
MDS og injektionstedsreaktioner	66
MDS og kvalme / opkast	68
MDS og neutropeni	70
MDS og trombocytopeni	72
MDS og træthed	74
MDS og dine blodtal	75
MDS og hvornår skal jeg ringe til min læge.	76
Jernophobning	77
MDS, blodtransfusioner og jern	78
Hvad er jernophobning?	79
Diagnosticering af jernophobning	81
Behandling af jernophobning	82
Livet med jernophobning	86
Mit liv med MDS	88
Deltag aktivt i din MDS behandling.	89
Følg din behandling	90
Oftestillede spørgsmål.	91
Hvilke nye behandlinger er der i horisonten for patienter med MDS?	92
Lev sundt.	94
Medicin	97
MDS ressourcer	99
Organisationer	100
Skemaer	103
Ordliste	110
Referencer	124
Efterskrift	127

FORSTÅ MDS

Myelodysplastisk syndrom (MDS) er en gruppe af knoglemarvssygdomme. Der findes flere typer af MDS.

Hver type MDS har sin egen måde at vise sig på, prognose, behandlingsmuligheder, og risiko for at ende med leukæmi. Forstå MDS, det første kapitel af “MDS - En vej med Håb”, giver en beskrivelse af hvad der sker med knoglemarven når MDS udvikles, og hvilke symptomer du kan opleve som følge heraf.

Du finder også detaljer om hvorledes MDS diagnosticeres, og hvordan man bestemmer undertypen. Ved at forstå din MDS hjælpes du og dine pårørende med at tage aktivt del i beslutningerne omkring din individuelle behandlingsplan.

forfattere

John Bennett
Peter Greenberg
Rami Komrokji
Sandra Kurtin
Alan List

Definition: Myelodysplastisk syndrom (MDS) er en gruppe knoglemarvssygdomme. Sygdommen har en række undertyper med forskellig måde at vise sig på, prognose (forudsigelse af udvikling), og behandlingsmuligheder, samt risiko for at udvikle sig til leukæmi.

Hvad sker der?

Knoglemarven er en fabrik til fremstilling af blodceller, både røde blodlegemer, hvide blodlegemer og blodplader. Knoglemarven er et meget kompliceret organ fordelt i alle kroppens større knogler med mange arbejdende dele og processer (se: *Knoglemarvens Funktion*).

Ændringer i knoglemarven når man har MDS

Når du har MDS, laver knoglemarven ikke tilstrækkeligt med normale blodceller. Det skyldes en række potentielle problemer, heriblandt:

Dysplasi: unormal form og udseende (morfologi) af en celle

Kromosomforandringer: Også kendt som cytogenetiske abnormaliteter

Ændringer i knoglemarvens støtte system også kendt som **mikromiljøet**

Molekylære forandringer i cellerne eller mikromiljøet

Billederne i næste kolonne viser normal velfungerende knoglemarv øverst, og nedenunder unormal knoglemarv med dysplastiske blodceller og unormale kromosomer (Illustrationer af Kirk Moldoff). Resultatet af forandringerne er: Der er for få celler og dermed lave blodtal (cytopeni) og cellerne fungerer ikke ordentligt. De mest almindelige cytopenier er:

Anæmi: lavt antal røde blodlegemer (ilttransporterende celler)

Trombocytopeni: lavt antal blodplader (celler, der hjælper blodet med at størkne)

Leukopeni: lavt antal hvide blodlegemer (WBC) (celler, der hjælper med at bekæmpe infektion)

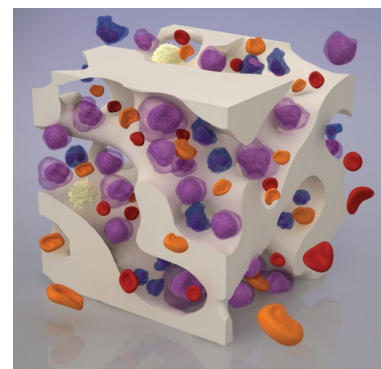
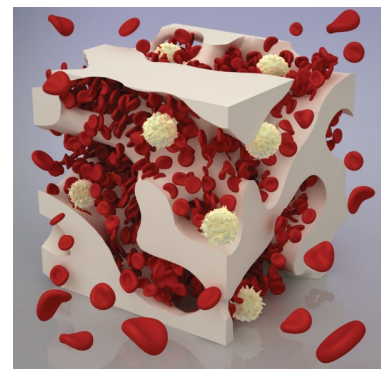
Neutropeni: lavt antal neutrofile granulocytter (vigtig type af hvide blodlegemer, som bekæmper infektioner)

Er MDS kræft?

For positivt at diagnosticere MDS kræves en knoglemarvsprøve, som omfatter både knoglemarvsbiopsi og aspirat. Prøven analyseres af patologer, som er specialister i blodsygdomme (hæmatopatologer). Læs mere i afsnittet om *knoglemarvsundersøgelse*.

Diagnosen MDS kræver specifikke maligne (ondartede) forandringer såsom dysplasi eller cytogenetiske abnormaliteter i knoglemarvsprøven. Nyere forskning har identificeret molekulære abnormaliteter, der menes at spille en rolle i udviklingen af MDS. Som følge af de underliggende maligne ændringer i knoglemarven, der kræves for at stille diagnosen MDS, anses MDS for en blodkræftsygdom.

Unormal knoglemarv med dysplastiske blodceller og unormale kromosomer, svigt i knoglemarvens evne til at producere sunde modne celler er ikke noget, der sker pludseligt. Derfor er MDS ikke nødvendigvis en umiddelbart dødelig sygdom, men en kronisk sygdom. Nogle patienter bukker dog hurtigt under for de direkte virkninger af sygdommens svigt i knoglemarven og de deraf følgende cytopenier. Derudover, vil ca. 30% af de patienter, som får diagnosen MDS, have en type af knoglemarvssvigt, som udvikler sig til akut myeloid leukæmi (AML).



Årsagen til MDS er ukendt hos mere end 80% af de diagnosticerede patienter. Om tendenser hos patienter, som har fået stillet diagnosen MDS ved vi:

MDS er mere almindelig hos mænd (mænd / kvinde forholdet er 4,5:2 pr 100.000 indbyggere i USA)

Som ved mange typer af kræft, er alder en prædisponerende faktor. Gennemsnitsalderen for patienter, som får diagnosen MDS er 73 år, og 86% af patienterne med MDS er ældre end 60 år.

Udsættelse for visse kemikalier og toksiner kan øge risikoen for at udvikle MDS

Vedvarende udsættelse for benzen, andre opløsningsmidler, insekticider eller herbicider kan øge risikoen for MDS. For mere end 25 år siden, blev der rapporteret om MDS / AML i den petrokemiske industri som følge af udsættelse for benzen, men lignende tilfælde er ikke rapporteret i nyere tid.

Ingen fødevarer anses for at forårsage MDS.

Alkohol er ikke en kendt årsag til MDS, men daglig indtagelse af alkohol kan sænke antallet af røde blodlegemer og blodplader.

Tobaksrøg / rygning er blevet forbundet med udviklingen af MDS. Et af de skadelige stoffer i tobaksrøg er benzen. Benzen er et stærkt reguleret kræftfremkaldende stof. Benzen har i alle vestlige lande meget lave grænseværdier for industriel eksponering.

Patienter, som modtager visse typer kemoterapi eller strålebehandling for andre kræftformer har en risiko for at udvikle behandlingsrelateret MDS

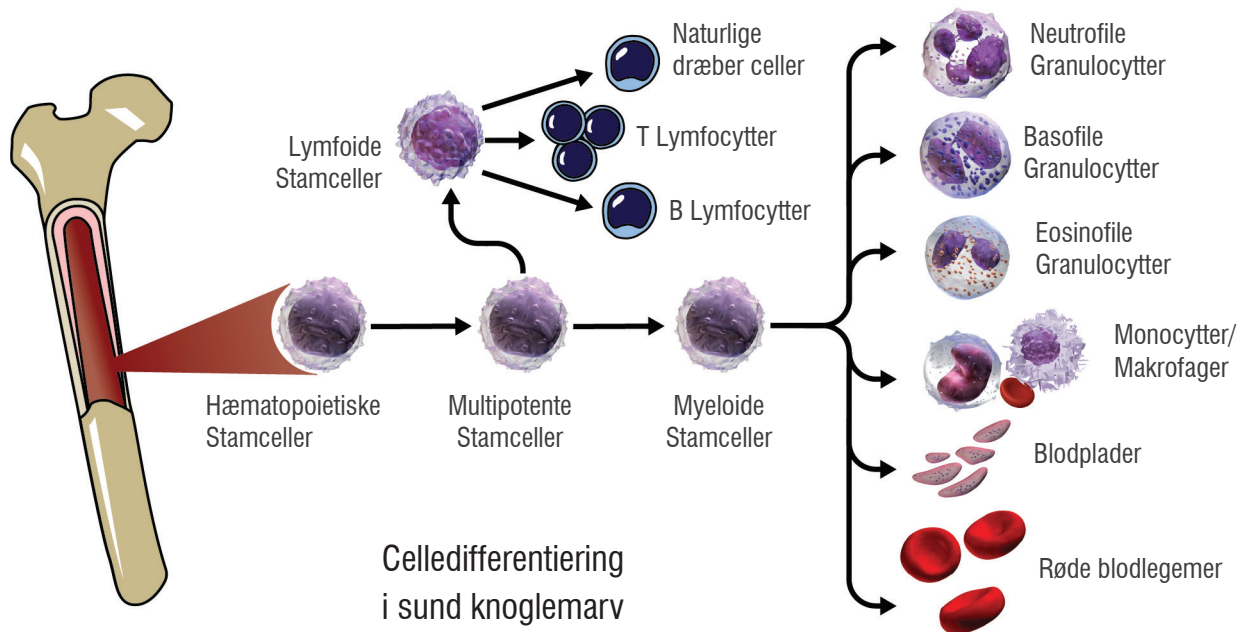
Patienter, som får kemoterapi eller strålebehandling for potentielt helbredelige kræftformer, såsom brystkræft eller testikelkræft, Hodgkins lymfom eller non-Hodgkins lymfom, har en risiko for at udvikle MDS i op til 10 år efter behandlingen. MDS der udvikles efter kemoterapi eller strålebehandling kaldes "sekundær MDS" og er normalt forbundet med multiple kromosomfejl i knoglemarvens celler. Denne type af MDS er vanskeligere at behandle og udvikler sig oftere til AML.

Er MDS arvelig?

Arvelige genetiske dispositioner for at udvikle MDS og medfødte abnormiteter er sjældne. Derfor er sandsynligheden for at give sin MDS videre til børn eller børnebørn yderst lille. Nyere forskning indikerer, at omkring 2% af alle MDS patienter har en MDS, som skyldes fejl i arvelige anlæg.

MDS er ikke smitsom. Patienter og deres familier er ofte bange for, at deres MDS kan være smitsom. Der findes ingen information som understøtter at MDS forårsages af en virus. Derfor, kan MDS ikke overføres til familiemedlemmer eller andre du kommer i kontakt med. (MDS patienter kan imidlertid få infektioner ved fysisk kontakt med familiemedlemmer og andre).

Alle blodceller begynder som hæmatopoietiske stamceller. Disse stamceller kaldes ofte fabriksceller. Hos raske personer, udvikles og modnes (differentiere) hæmatopoietiske stamceller sig i knoglemarven til de forskellige typer blodceller. I den indledende fase, danner de hæmatopoietiske stamceller multipotente stamceller, som har evnen til at danne nye blodceller. Se celle udviklingstræet i figuren nedenfor.



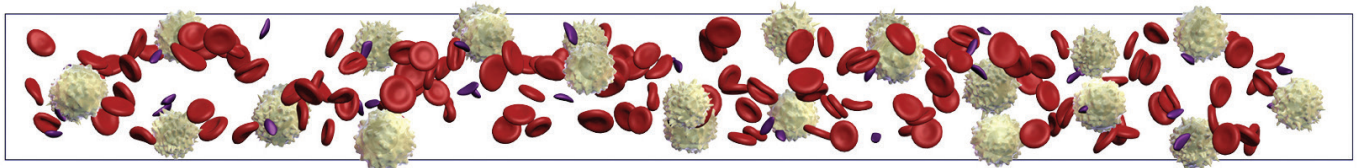
Den multipotente stamcelle udvikler sig til enten en lymfoid stamcelle eller en myeloid stamcelle. Disse celler har med sig evnen til at differentiere sig til flere forskellige celletyper efter behov - se figuren ovenfor (Illustration af Kirk Moldoff).

De myeloide stamceller udvikler sig til hvide blodlegemer, blodplader og røde blodlegemer

Hvide blodceller – (neutrofile, basofile og eosinofile, monocytter, makrofager) – hjælper med at bekæmpe infektioner

Blodplader – hjælper med at koagulerer blodet og standse blødninger

Røde blodceller – transporterer ilt til alle kroppens celler



De lymfoide stamceller udvikler sig til T-lymfocytter, B-lymfocytter og naturlige dræberceller. Disse celler udfører vigtige funktioner i immunsystemet, som at bekæmpe almindelige bakterielle- eller virale infektioner. Kræftsygdomme i de lymfoide progenitorceller og de celler de udvikler sig til kaldes lymfekræft. Der findes mere end 60 forskellige former for lymfekræft. Illustrationen ovenover viser blod med normale celler (illustration af Kirk Moldoff).

Mange patienter har ikke klare symptomer, når de får diagnosen MDS. De har måske blot fået taget en blodprøve hos deres læge i forbindelse med en rutinemæssig helbredsundersøgelse, og den kan vise lave blodtal. Andre patienter søger læge på grund af symptomer, der er oftest et resultat af lave blodtal. De mest almindelige symptomer hos disse patienter, der endnu ikke har fået diagnosen MDS, er ofte forbundet med cytopeni(eller cytopenier):

- **Lavt antal røde blodlegemer (anæmi):** træthed, åndenød, palpitationer (hjertet springer slag over)
- **Lavt antal hvide blodlegemer (neutropeni):** feber, tilbagevendende eller langvarige infektioner
- **Lavt antal blodplader (trombocytopeni):** blå mærker, petekkier, eller blødning. Petekkier er 1-3 mm store røde pletter i huden pga. blodudtrædning.

Prøver der anvendes ved diagnosticering af MDS

Unormale blodtal er det mest almindelige i forbindelse med mistanke om MDS. Lægen vil derefter bestille prøver for at bestemme årsagen til de unormale blodværdier. Hvis der ikke er umiddelbare forklaringer, vil det være nødvendigt at få lavet en knoglemarvsprøve for at undersøge stamcellerne, og derefter at kunne bekræfte eller afkræfte en MDS diagnose.

Laboratorieprøver, som anvendes til at undersøge unormale blodtal, bl.a. cytopenier

Laboratorieprøve	Hvad er man på udkig efter?
CBC ¹ , differentialtælling ² , og trombocytal, retikulocytal	Tilstedeværelsen af cytopenier, perifere umodne celler, morfologiske abnormiteter, og knoglemarvens reaktion på anæmi
Serum jern, ferritin ³ , folinsyre ⁴ , B12 vitamin	Jernmangel, B12-mangel, folinsyre mangel; kan også forårsage anæmi og i nogle tilfælde trombocytopeni
LDH ⁵ , haptoglobin ⁶ , retikulocytal, Coombs ⁷	Røde blodlegemer kan blive ødelagt af et overaktivt immunsystem. Disse blodprøver bruges til at lede efter hæmolyse (immun ødelæggelse af røde blodlegemer)
Serum erythropoietin (EPO)	Erythropoietin (EPO) er et hormon, der produceres i nyrerne, og er nødvendig for at lave normale røde blodlegemer. Nogle patienter med MDS har ikke tilstrækkeligt EPO.

Noter tabellen om laboratorieprøver:

1. CBC En komplet blodtælling er en rutinemæssig blodprøve, der undersøger størrelse, form og antal af celler i blodet og giver oplysninger om hæmoglobin og hæmatokrit i blodet
2. Differentialtælling er en undersøgelse af leukocytter, som måler procentdelen af hver af de forskellige typer af hvide blodlegemer, inklusive de umodne celler, der kan være i blodet.
3. Ferritin er et protein, som findes både i blod og væv, og som kan binde jern.
4. Folinsyre er et B-vitamin, også kendt som B9-vitamin eller M-vitamin
5. LDH er laktat-dehydrogenase, som er et enzym i kroppen, der producerer energi
6. Haptoglobin er et glykoprotein som produceres i leverceller og danner komplekser med frit hæmoglobin i plasma eller ekstracellulærvæsken
7. Coombs kaldes en antiglobulintest, og er en procedure, som analyserer blod for tilstedeværelse af antistoffer, som kan angribe normale røde blodlegemer.

Biopsi og Aspirat

Når din blodprøve viser lave blodtal (cytopeni), vil din læge sandsynligvis anbefale en knoglemarvsundersøgelse. En knoglemarvsundersøgelse kan afsløre abnormaliteter i stamcellerne i marven (fx dysplastiske celler) samt tillade undersøgelse af dine kromosomer (cytogenetik). Disse prøver giver yderligere oplysninger, der kan hjælpe med at fastslå din diagnose. Der er to dele i en knoglemarvsundersøgelse: aspirat og biopsi. Aspirat og biopsi prøver udtages under samme undersøgelse.

Knoglemarvaspiratet

Knoglemarvaspiratet er en prøve af den flydende del af knoglemarven. Det bruges til at lave flere udstrygninger som indeholder små benstykker (spicules) og bloddannende celler. Disse udstrygninger giver information om cellernes form (morfologi), cellernes modning (differentiering) og antallet af blaster (umodne celler) i knoglemarven. Aspiratet kan også anvendes til yderligere undersøgelser, der kan bidrage med at fastslå årsagen til de observerede cytopenier, såsom cytogenetik.

Knoglemarvsbiopsi

Knoglemarvsbiopsi er en lille kerne (form og størrelse som et stykke af stiften i en gammeldags blyant) af det svampede indre af knoglemarven. Knoglemarvskerneprøven er sædvanligvis 1,5-2,0 cm i længde. Den giver oplysninger om cellulariteten i knoglemarven (overfyldt = hypercellulær, tom = hypocellulær). Prøven kan også give nyttige oplysninger om jern i marven, ardannelse (fibrose), og tilstedeværelsen af andre unormale celler.

Behandling af prøven

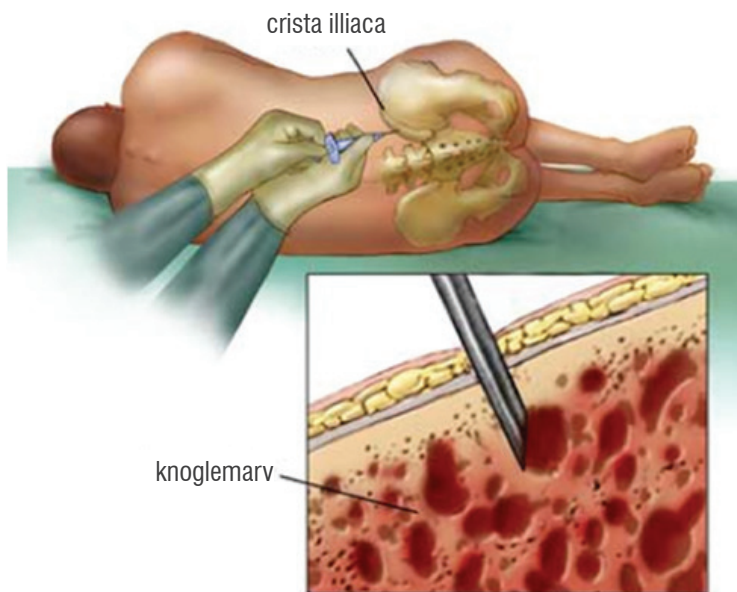
Knoglemarvsbiopsi og aspirat prøverne placeres på forskellige glasplader og i forskellige prøveglas. Disse sendes til en hæmatopatolog – en læge, som er specialuddannet til at vurdere blod- og knoglemarvsprøver i forbindelse med diagnosticering af sygdomme. Hæmatopatologen bruger et mikroskop for at undersøge cellerne i knoglemarvaspiratet og biopsiprøven. Resultaterne af en knoglemarvsbiopsi og aspirat foreligger normalt indenfor 2-4 dage. Cytogenetiske undersøgelser og andre særlige undersøgelser kan kræve op til 2 uger inden resultaterne foreligger.

Knoglemarvsprøveproceduren

En knoglemarvsundersøgelse udføres sædvanligvis ambulant og vare tyve til tredive minutter. Den udføres normalt med lokalbedøvelse, som i nogle tilfælde suppleres med milde beroligende midler og/eller smertelindring (analgesi).

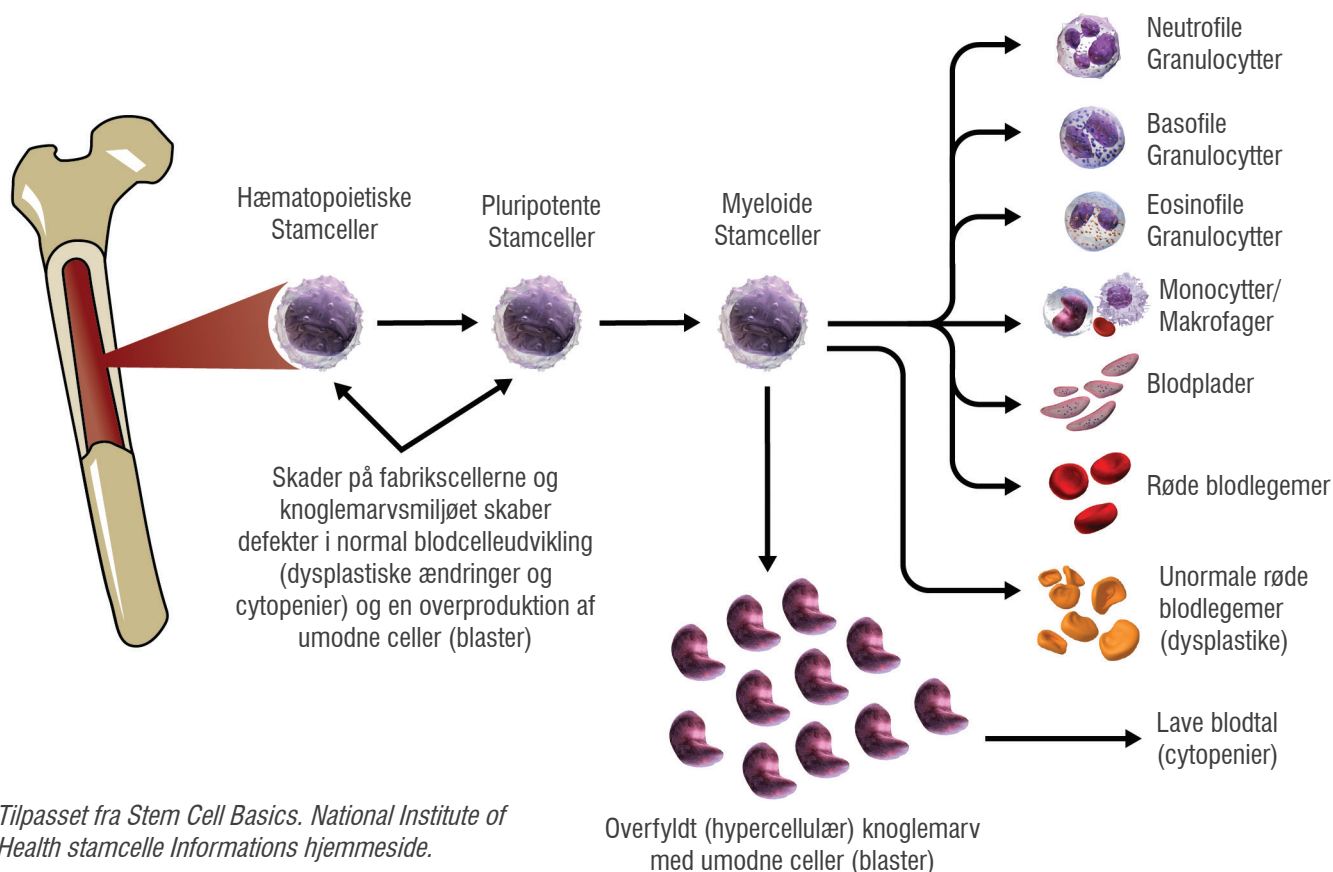
1. Patienten placeres i en hospitalsseng på højre eller venstre side. Forud for proceduren er det en god idé at tømme blæren ved et toiletbesøg. Det er vigtigt at trække vejret roligt under hele proceduren for at hjælpe musklerne med at slappe af.
2. Lægen, som udfører proceduren, vil forberede et sterilt område, og i den forbindelse desinficere et område over bagerste del af hoftebenskammen (posteriore crista iliaca), et knoklet fremspring på højre eller venstre bagside af hoften (nær hvor baglommen sidder på et par jeans).
3. Huden over stedet bliver bedøvet (skin bedøvelse) med en form for bedøvende medicin (lidocain). Man vil føle et prik fra nålen og et meget kort stik, når den bedøvende medicin sprøjtes ind.
4. En anden kanyler indsættes derefter for at bedøve overfladen af knoglen - benhinden (periosteum), hvor der er mange nerveender. Under denne del af procedure kan du opleve en kort stikkende fornemmelse under den første injektion, svarende til bedøvelse af tandkødet hos tandlægen.
5. Når hud og knogle er blevet bedøvet, laves et lille snit på overfladen af huden for at kunne indsætte knoglemarvsnålen. Ved denne procedure anvendes i dag en række forskellige nåle. De fleste tillader at der udtages både aspirat og biopsi gennem det samme ydre sted.
6. Den større knoglemarvs nål gør det muligt at komme gennem knoglens hårde ydre lag (cortical bone). Den er nogenlunde på størrelse med et kødtermometer, men med en hul kerne. Du vil føle trykket, når nålen presses gennem knoglens ydre lag. Nogle patienter har meget hårde knogler, som kræver et større tryk, når nålen skal trænge ind i knoglen. Lad din læge vide, hvis du oplever skarpe smerter på stedet eller smerte, der passerer ned gennem dit ben.

7. Når nålen når ind i den svampede knoglemarv (rød knoglemarv), fjernes den indre del af nålen, og aspiratet suges ud. Du kan opleve et kort (få sekunder) tryk i benet, næsten som lidt krampe, ved det første sug af knoglemarv. Det hjælper ofte at tage nogle langsomme dybe indåndinger, mens aspiratet suges ud. Hvor meget, der udtages afhænger af hvilke undersøgelser din læge har bestilt.
8. Den samme nål anvendes derefter til at udtage en knoglemarvsbiopsiprøve. Det indre af nålen fjernes efter knoglen er gennembrudt. En hul nål indsættes derefter i knoglemarven. Din læge vil vride og ryste nålen forsigtigt for at løsne en kerne af knoglemarven og hjælpe med at fjerne det i et stykke. Du vil føle kortvarige tryk og rystelser, og undertiden et stik når knoglestykket fjernes.



9. Efter proceduren, vil lægen lægge en kompression på stedet, hvor nålen trængte gennem huden, for at forhindre blødning. En trykforbinding med et tætsluttende plaster sættes over indstiksstedet.
10. Du må ikke tage brusebad de første 24 timer efter knoglemarvsprøven, og ikke gå i karbad, boblebad eller til svømning i 48-72 timer. Spørg din læge om andre instruktioner vedrørende pleje af knoglemarvsprøvestedet.
11. Nogle patienter kan udvikle et blåt mærke eller hævelse under huden, især patienter med et lavt antal blodplader eller patienter, der tager medicin for at fortynde blodet. Husk at fortælle din læge, hvis du tager aspirin eller andre medikamenter, som fortynder blodet.
12. Mild smerte eller ubehag kan opleves på knoglemarvsprøvestedet i to til tre dage efter knoglemarvsprøven.
13. Af sikkerhedsmæssige årsager, bør patienten have en ven, et familiemedlem eller pårørende til at ledsage sig på hjemrejsen. Patienten bør ikke køre bil.

Patienter med MDS, har nedsat udvikling og modning (differentiering) af stamceller i knoglemarven. Dette fører til en ophobning af umodne celler (blaster) i knoglemarven, og knoglemarvens manglende evne til at lave normale blodceller, der dannes ved differentiering af bloddannende stamceller, forårsager lave blodtal (cytopeni). De fleste patienter med MDS har en overfyldt knoglemarv, også kendt som en hypercellulær knoglemarv. Der er et lille antal patienter med MDS, som har et lavt antal celler i knoglemarven, kendt som hypocellulær knoglemarv.



Røde blodlegemer, hvide blodlegemer og blodplader kommer alle fra de samme bloddannende stamceller (progenitorceller). Det er de celler, som vi kan måle i det perifere blod. Når man har MDS, er der ofte et lavere antal af disse celler (cytopeni) og de fungerer ikke normalt.

Årsagerne til skaderne på de bloddannende stamceller menes at skyldes ændringer i cellens arvmasse (DNA mutationer) og ændringer i knoglemarvens miljø, kendt som mikromiljøet. De mest almindelige ændringer i de bloddannende stamceller, som menes at forårsage MDS er kromosomændringer og epigenetiske ændringer.

Ændringer i knoglemarvens mikromiljø

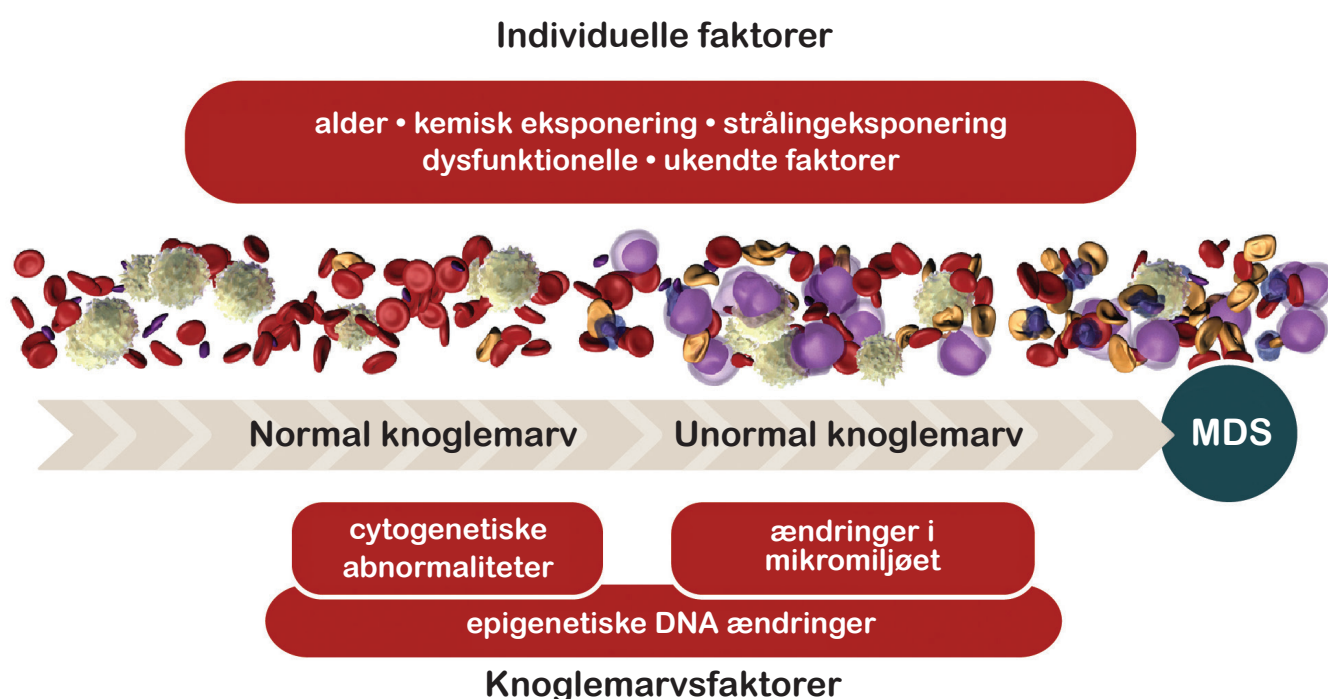
Der er flere ændringer i knoglemarvens mikromiljø, der menes at fremme udviklingen af MDS. Nogle af ændringerne i knoglemarvens mikromiljø bidrager også til at forklare den unormale eller ineffektive udvikling af komponenterne i blodet. Flere af de nuværende medikamenter, som anvendes ved behandling af MDS er rettet mod et eller flere af disse områder. I figuren til venstre illustreres den unormale udvikling af cellerne i knoglemarven.

Knoglemarvsændringer hos MDS patienter

Epigenetiske ændringer ved MDS

Gener indeholder "tegninger" til fremstilling af proteiner. Proteiner er vigtige stoffer i alle levende celler. De indeholder informationer, der er nødvendige for struktur, funktion og regulering af kroppens væv og organer. Når en celle har behov for et protein, aktiveres det tilsvarende gen. Oplysningerne i DNA'et oversættes til en kode, der derefter anvendes som støbeform til konstruktion af proteinet.

DNA'et i vores celler er viklet omkring komplekser af proteiner kaldet histoner (gruppe af basiske proteiner, der forekommer associeret med DNA i eukaryotiske celler), ligesom tråden omkring en spole; kombinationen af DNA og histon-protein er kendt som kromatin (det stof kromosomer består af).



Epigenetiske markører er kemiske grupper af forskellig art, der pryder histonerne og DNA - de kan tilføjes eller fjernes for at aktivere eller deaktivere et gen. På denne måde kan de enten være med til at overføre koden eller blokere den.

Når man har MDS, kan methyl forbindelser (kemiske komplekser) binde sig til gener, der er nødvendige for normal hæmatopoiese (udviklingen normale blodceller). Når alt for mange af disse forbindelser binder til genet, kaldes det hypermethylering. Hypermethylering slukker de gener, der er nødvendige for normal blodcelle udvikling. Hypermethylering er almindeligt hos patienter med MDS. Det er en tilstand, som udvikler sig under sygdommen, og er forbundet med progression af sygdommen, herunder udvikling af akut myeloid leukæmi. Nye forskningsresultater har vist, at unormale epigenetiske mekanismer er stort set sekundære til mutationer (ændringer) i adskillige gener i patientens celler. Nogle behandlinger af MDS, kendt som hypometylerende lægemidler, blokerer methylgrupper for at tillade overførsel af oplysninger til brug for normal blodcelle udvikling.

Knoglemarvsændringer hos MDS patienter

MDS og cytogenetiske / molekulære analyser

Cytogenetik er den gren af genetikken, som studerer cellens struktur og funktion, specielt kromosomerne. En knoglemarvsaspiratprøve er nødvendig at lave en cytogenetisk analyse ved MDS.

Celler er de grundlæggende arbejdende enheder i enhver levende organisme. Alle de nødvendige instruktioner for at styre deres aktiviteter findes i DNA'et. DNA'et - en kombination af proteiner - indeholder instruktioner ("tegninger") til at lave alle cellerne i den menneskelige krop. DNA findes i kernen i næsten enhver celle i kroppen (undtagelsen er røde blodlegemer, som ikke har nogen kerne). Inde i kernen i en celle, finder man lange kæder af DNA rullet på kromosomer.

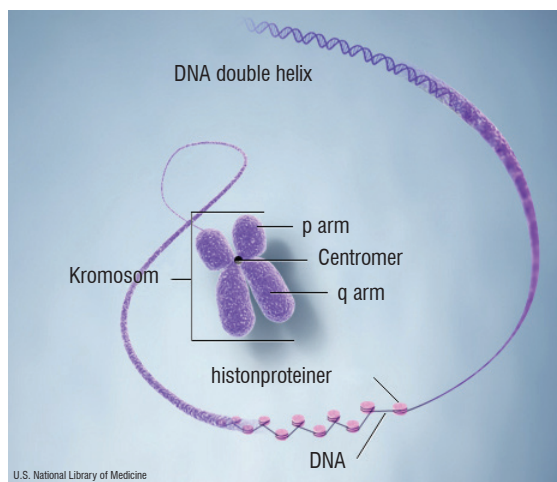
Det meste af, hvad forskerne ved om kromosomer har de lært ved at observere kromosomer under celledeling (metafase). En standard kromosomanalyse studerer 20 metafaser. Visse behandlinger for MDS, som de hypometylerende lægemidler Azacytidin (Vidaza®) og Decitabin (Dacogen®), fungerer bedst, når cellerne deler sig.

Antallet af kromosomer i menneskelige celler er 46 med 22 autosomale par (én af hver type fra moderen og en af hver type fra faderen) og 2 kønskromosomer - 2x kromosomer for kvinder (et fra mor og et fra far) eller en X og en Y-kromosom for mænd (X fra moderen og Y fra faderen).

Hvert kromosom har et lille centralt område kaldet centromeren, som deler kromosomet i to sektioner, eller "arme". Den korte arm af et kromosom kaldes "p arm". Den lange arm af et kromosom kaldes "q arm".

MDS og Genmutationer

Kromosomer indeholder flere tusinde gener. Gener er kortere sektioner af DNA. Hvert gen fungerer som en kode eller et sæt af instruktioner til fremstilling af et bestemt protein. Disse proteiner styrer cellens aktivitet - fortæller cellen, hvad den skal lave, hvilket giver organismen særlige egenskaber (såsom mand eller kvinde), og bestemmer hvorledes kroppen fungerer. Mange sygdomme, herunder MDS, har unormale proteiner som følge af ændringer i gener, kaldet mutationer. Nogle af disse gener menes at spille en rolle i udviklingen af MDS og, i nogle tilfælde, effekten ved behandling af MDS. Genmutationer kan påvises ved molekulær analyse, der kan supplere en cytogenetisk analyse ved MDS.



Hvordan anvendes cytogenetiske og molekulære resultater ved MDS? Resultatet af dine cytogenetiske analyser anvendes til at identificere den type MDS du har, og til at beregne din prognose kategori efter det Internationale Prognostiske ScoringsSystem (IPSS) og det reviderede IPSS (IPSS-R).

Knoglemarvsændringer hos MDS patienter

Cytogenetiske abnormaliteter er til stede hos ca. 40% af alle patienter med primær MDS, og i de fleste tilfælde af sekundær MDS. De mest almindelige kromosomfejl i MDS er ændringer i kromosomerne 5, 7, 8 og 20. Ændringerne er beskrevet på grundlag af de faktiske strukturelle ændringer, som observeres ved undersøgelse af kromosomerne. Disse omfatter deletioner (mangler en del af et kromosom); tilføjelser (tilføjelse af dele af et kromosom), og translokation (udskiftning af dele af kromosomer).

Spørg din læge om resultatet af din cytogenetisk analyse. Rapporten vil beskrive antallet af celledelinger (normalt 20), antallet af normale kromosomer, og eventuelle kromosomer, der er unormale:

Normal mandlige kromosom profil (karyotype) = 46XY [20]

Normal kvindelige kromosom profil (karyotype) = 46XX [20]

Eksempel på abnorm cytogenetik i MDS: 46XX, del (5) (q13q33) [19], 46XX [1]

Denne patient har 19 metafaser med sletning af 5q- noteret som del (5) (q13q33), og en kvindelig metafase 46XX.

Antallet af celledelinger (metafaser) er repræsenteret i parentes []. Cytogenetik bruges til at beregne din score efter IPSS eller IPSS-R. Visse cytogenetiske ændringer kan anses for gunstige, mens andre betragtes som mindre gunstige. Nogle cytogenetiske abnormaliteter er forbundet med en mere favorabel effekt på visse behandlinger, såsom del(5q). MDS patienter med del (5q) har vist sig at reagere positivt på Lenalidomid (Revlimid®).

Molekylære undersøgelser har stigende betydning ved MDS, men de er i øjeblikket ikke så vigtige som cytogenetisk analyser (og bliver derfor ikke systematisk udført). Der kan registreres mutationer i MDS-celler hos de fleste MDS patienter, herunder genmutationer som fører til unormale epigenetiske mekanismer (herunder TET2 og ASXL1 gener) eller i andre gener (f.eks SF3B1, SRSF2 og TP53 generne, etc.). Men at kende disse genmutationer har i øjeblikket i de fleste tilfælde begrænset indflydelse på behandlingen, selv om foreløbige resultater tyder på, at, for eksempel en TET2 mutation kan være forbundet med forbedret effekt af behandling med azacytidin (Vidaza®).

Myelodysplastisk syndrom er en gruppe af myeloide maligniteter, som svinger meget i sygdomsforløb og prognose afhængig af typen af MDS og risikokategorien - en vurdering af hvor alvorlig sygdommen er hos den enkelte patient. Typen af MDS er baseret på knoglemarvsbiopsi og aspirat, cytogenetik, og resultaterne af CBC, differentieltælling og udstrygninger af det perifere blod.

Der er to primære klassifikationssystemer, som anvendes til at bestemme undertypen af MDS: World Health Organization (WHO) klassifikationssystemet og det Fransk-Amerikansk-Britiske (FAB) klassifikationssystem. Du kan se begge klassifikationssystemer nævnt i resultaterne fra din knoglemarvsundersøgelse.

Det mest almindeligt anvendte system til at estimere alvorligheden af MDS er International Prognostic Scoring System (IPSS), som i 2012 blev revideret og nu er kendt som IPSS-R.

FAB Klassifikationssystemet

FAB klassifikationen blev udviklet i begyndelsen af 1980'erne af en gruppe franske, amerikanske og britiske læger med ekspertise i at diagnosticere MDS. Da disse eksperter var fra Frankrig (F), Amerika (A), og Storbritannien (Britain, B) kaldes systemet FAB. Det centrale kriterium for klassificering i FAB-systemet var procentdelen af blastceller i knoglemarven. FAB klassifikation anerkendte fem MDS undertyper:

- refraktær anæmi (RA)
- refraktær anæmi med ringsideroblaster (RARS)
- refraktær anæmi med overskud af blaster (RAEB)
- refraktær anæmi med øget antal umodne celler (RAEB-t)
- Kronisk myelomonocyt leukæmi (CMML)

Såfremt din læge anvender FAB-klassifikationssystemet, så spørg til hvilken klassifikation din sygdom ville få under den nyeste version af WHO klassifikationssystemet.

WHO Klassifikationssystemet

Verdenssundhedsorganisationen (WHO) kom med et andet klassifikationssystem, som senest blev opdateret i 2016. Dette system stammer fra 2002 og blev første gang revideret i 2008. Da man som patient kan møde både WHO klassifikationerne fra 2008 og 2016, så beskrives her først den seneste revision, og dernæst revisionen fra 2008.

Følgende beskrivelse er baseret på Arber et.al's artikel i Blood (Se: *Referencer*). Efter denne revision anerkender WHO følgende ti undertyper af MDS

- MDS med enkelt linje dysplasi (MDS-SLD)
- MDS med ringsideroblaster (MDS-RS)
 - MDS-RS og enkelt linje dysplasi (MDS-RS-SLD)
 - MDS-RS og multilinje dysplasi (MDS-RS-MLD)
- MDS med multilinje dysplasi (MDS-MLD)
- MDS med overskud af blaster (MDS-EB)
 - MDS-EB-1
 - MDS-EB-2
- MDS med isoleret del(5q)
- MDS, uklassificerbar (MDS-U)
 - MDS-U 1% blaster i cirkulerende blod
 - MDS-U SLD og pancytopenia
 - MDS-U med genetisk forandring

Klassifikation af MDS

Undertype	Dysplasi	Cytopenier ¹	RS blaster	BM blaster	PB blaster	Cytogenetik
MDS-SLD	1	1 eller 2	< 15% <5% ²	< 5%	< 1%	
MDS-MLD	2 eller 3	1-3	< 15% <5% ²	< 5%	< 1%	
MDS-RS-S LD	1	1 eller 2	> 15% >5% ²	< 5%	< 1%	
MDS-RS- MLD	2 eller 3	1-3	> 15% >5% ²	< 5%	< 1%	
MDS del(5q)	1-3	1-2		< 5%	< 1%	del(5q)
MDS-EB-1	0-3	1-3		5%-9%	2%-4%	
MDS-EB-2	0-3	1-3		10%-19%	5%-19%	Auer rods
MDS-U 1%bl	1-3	1-3		< 5%	1% ³	
MDS-U SLD	1	3		< 5%	<1%	
MDS-U Kar.	0	1-3		< 5%	< 1%	MDS rel.unor.

¹ Cytopeni: hæmoglobin < 6,2 mol/l, blodpladetal < 100 x 10⁹ /L, ANC < 1,8 x 10⁹ /L

² Hvis SF3B1 mutationen er til stede.

³ En procent PB blaster skal observeres mindst to gange.

⁴ Tilfælde med > 15% RS blaster har pr definition betydelig erythroid dysplasi og klassificeres som MDS-RS-SLD.

Forkortelserne for undertyper er defineret i teksten før tabellen, bortset fra følgende: MDS-U 1%bl betyder, at der ved to målinger er fundet 1% blaster i det perifere blod. MDS-U Kar. betyder at en MDS relateret genetisk unormalitet er fundet.

Udtrykket “refraktær anæmi” er fuldstændig fjernet fra WHO klassifikationen grundet tvivl om de oprindelige videnskabelige arbejder, den opdaterede klassifikation tager udgangspunkt i dysplasier i knoglemarven. WHO 2016 klassifikationens kriterier for diagnose af de 10 forskellige undertyper er givet i tabellen på foregående side.

Følgende beskrivelser af WHO klassifikationen fra 2008 er baseret på Vardiman et.al’s artikel i Blood - se afsnittet Referencer. I 2008 revisionen blev følgende 10 undertyper af MDS anerkendt:

- Refraktær cytopeni med enkelt linje dysplasi (RCUD)
- Refraktær anæmi (RA)
- Refraktær neutropeni (RN)
- Refraktær trombocytopeni (RT)
- Refraktær anæmi med ringsideroblaster (RARS)
- Refraktær cytopeni med multilinje dysplasi (RCMD)
- Refraktær anæmi med overskud af blaster (RAEB-1, RAEB-2)
- Myelodysplastisk syndrom, uklassificerbart (MDS-U)
- Myelodysplastisk syndrom med isoleret del(5q)

WHO 2008 klassifikationens kriterier for diagnose af de forskellige undertyper er givet i følgende tabel:

Undertype	PB cytopeni	PB blaster	BM Dysplasi	BM blaster	RS blaster	Auer rods
RCUD	1 or 21	< 1% ²	1	< 5%	< 15%	
RA	1	< 1% ²	1	< 5%	< 15%	
RN	1	< 1% ²	1	< 5%	< 15%	
RT	1	< 1% ²	1	< 5%	< 15%	
RARS	1	Ingen	1	< 5%	> 15%	
RCMD	1-3	< 1% ²	2-3	< 5%		Ikke i PB eller BM
RAEB-1	1-3	< 5% ²	1-3	5-10% ²		Ikke i PB eller BM
RAEB-2		5-19% ³	1-3	10-19% ³		
MDS-U	1-3	< 1% ²	1-3	< 5%		i PB og BM
MDS 5q-	1	< 1%		< 5%		Ikke i BM

Noter til tabel over WHO 2008 MDS undertyper (herover):

PB - Perifere blod (cirkulerende blod)

BM - Knoglemarven

RS blaster - Ring sideroblaster.

¹ To cytopenier observeres sjældent. Tilfælde med pancytopeni bør klassificeres som MDS-U.

² Hvis BM blast procenten er <5%, men der er 2%-4% PB blaster, er den diagnostiske klassifikation RAEB-1. Tilfælde af RCUD og RCMD with 1% PB blaster bør klassificeres som MDS-U.

³ Tilfælde med Auer rods og <5% PB blaster og <10% BM blaster bør klassificeres som RAEB-2. Skønt tilstedeværelse af 5-19% PM blaster alene indikerer undertypen RAEB-2, findes tilfælde af RAEB-2 med <5% PM blaster såfremt Auer rods findes eller der er 10-19% BM blaster. Tilsvarende ses tilfælde af RAEB-2 med <10% BM blaster, undertypen indikeres af to andre observationer: Auer rods og/eller 5-19% PB blaster.

Myelodysplastisk syndrom er en gruppe af myeloide maligne sygdomme, som varierer meget i sygdomsforløb og prognosen er baseret på undertypen af MDS og risikokategorien (estimat af alvorlighed). Det mest almindeligt anvendte system til at estimere alvorligheden af MDS er det Internationale Prognostiske ScoringsSystem (IPSS). Dette system er i 2012 blevet revideret og er nu kendt som IPSS-R.

Internationale Prognostiske ScoringsSystem (IPSS)

Et system til klassificering af alvorligheden af MDS er Internationale Prognostiske ScoringsSystem (IPSS). Efter en patient evaluering (konklusioner fra fysiske undersøgelser og blodprøver), "scores" sygdommen i form af risiko for patienten, som den forventede levealder og chancerne for progression eller transformation af sygdommen til AML. Dette kaldes "prognose". IPSS scoren er baseret på de forskellige undersøgelsesresultater. Først, procentdelen af blaster i knoglemarven; dernæst, de cytogenetiske resultater (identifikation af kromosomafvigelse) fra knoglemarvprøver; og sidst, blodprøveresultater.

Bestemmelse af IPSS score

IPSS Scoren bestemmes ved at lægge de individuelle scoringer (værdier) scores fra procentdelen af blaster og fra de cytogenetiske resultater og fra blodprøve resultaterne sammen og anvende det til en prognose for MDS patienten. IPSS Scoren angiver hvilken af følgende risikogrupper man som patient falder i:

- **Lav-risiko gruppen:** IPSS Score af 0
- **Intermediær-1 Risikogruppe:** IPSS Score af 0,5 til 1,0
- **Intermediær-2 Risikogruppe:** IPSS Score af 1,5 til 2,0
- **Høj- risikogruppe:** IPSS score over 2,0

Bestemmelse af IPSS score

IPSS Score: Summen af individuelle værdier for blaster, cytogenetik og blodprøve resultater

Blaster i knoglemarven	Scoring (Værdi)
< 5 %	0,0
5-10 %	0,5
11-20 %	1,5
21-30 % ¹	2,0
Cytogenetik	
God ²	0,0
Middel ⁴	0,5
Dårlig ³	1,0
Blodprøve resultater	
0 eller 1 cytopenier (lave blodtal) ⁵	0,0
2 eller 3 cytopenier (lave blodtal)	0,5

Noter til tabellen "Bestemmelse af IPSS score":

¹ Patienter hvis knoglemarv indeholder mere end 20% blaster har akut myeloid leukæmi.

² "God" cytogenetik inkluderer: Normalt sæt af 23 par kromosomer, eller et sæt med kun delvist tab af den lange arm af kromosomerne #5 eller #20, eller tab af Y kromosomet.

³ "Dårlig" cytogenetik omfatter: Anormaliteter i #7 kromosomet, eller 3 eller flere abnormaliteter i alt.

⁴ "Middel" cytogenetik: Genetik, som ikke falder i de to andre kategorier.

⁵ Lave blodprøve resultater defineret som < 1800 neutrofiler per mikroliter, < 35% hæmatokrit (volumen af røde blodlegemer af det totale blodvolumen, < 100,000 blodplader per mikroliter)

Hvor Alvorlig er min MDS?

Reviderede Internationale Prognostiske ScoringsSystem (IPSS-R)

IPSS-R er udviklet af en gruppe af internationale MDS eksperter fra 11 lande baseret på information om 7,012 patienters MDS på diagnosetidspunktet. Disse data er blevet anvendt til at estimere den forventede levetid (overlevelse) for en nydiagnosticeret patient med MDS, som endnu ikke er sat i behandling samt risikoen for at denne patient vil udvikle akut myeloid leukæmi (AML). Risikokategorien (mål for sygdommens alvorlighed) estimeres ud fra prøveresultater fra knoglemarvsbiopsi og aspirat, cytogenetiske undersøgelser og blodprøver (CBC, differentialtælling og blodplader).

Cytogenetik spiller en meget vigtig rolle i at estimere prognosen for en patient med MDS. IPSS-R er baseret på en revideret gruppering af de cytogenetiske abnormaliteter. Læs om IPSS-R calculator på hjemmesiden

www.mds-foundation.org/ipss-r-calculator.

IPSS-R for MDS - Prognostisk risikoscore for forskellige egenskaber

Score: Attribut	0	0,5	1	1,5	2	3	4
Cytogenetik	Meget God		God		Intermediate	Dårlig	Meget dårlig
Blast (%)	<2%>		2%-<5%		5-10%>	10%	
Hæmoglobin (g/dl)	≥10		8-10	<8			
Blodplader	>100,000	50.000 - 100.000	<50,000				
ANC	≥0.8	<0.8					

IPSS-R definerer fem risikokategorier med estimeret overlevelse og median risikofor transformation til AML - se nedenstående tabel. Det er vigtigt at vide, at disse anvendes i forbindelse med valg af behandling og for at vejlede patient og pårørende. De repræsenterer ikke patienter, som modtager behandling, som kan forlænge overlevelsen.

Cytogenetiske Risikogrupper	Cytogenetiske forandringer	Estimeret Overlevelse (middel)
Meget god	del(11q), -Y	5.4 år
God	Normal, del(5q), del(12p), del(20q), dobbelt mutationer inklusive del(5q)	4.8 år
Middel	del(7q), +8, +19, i(17q), andre enkelt eller dobbelt uafhængige mutationer	2.7 år
Dårlig	-7, inv(3)/t(3q)/del(3q), dobbelte inklusive -7/del(7q) Komplex: 3 abnormaliteter	1.5 år
Meget dårlig	Komplex: >3 abnormaliteter	0.7 år

IPSS-R Score	≤1.5 Meget lav	>1.5-3 Lav	>3-4.5 Intermediær	>4.5-6 Høj	>6 Meget høj
Samlet overlevelse (middel)	8,8 år	5,3 år	3,0 år	1,6 år	0,8 år
25% har udviklet AML (middel)	Ikke nået	10,8 år	3,2 år	1,4 år	0,7 år

Søg behandling

Målene for behandling af MDS afhænger af hvilken type MDS du har, hvordan sygdommen påvirker dig, og hvilke behandlinger der er tilgængelige for dig. Der kan være store variationer fra patient til patient. Behandling af MDS kan deles i tre primære typer: Observation, understøttende behandling, og sygdomsmodificerende behandling. Knoglemarvstransplantation og deltagelse i kliniske forsøg kan være muligheder for dig. Forstå de behandlingstilbud din hæmatolog kommer med, hvordan vil de påvirke dig fra dag-til-dag, og hvad målene med behandlingen er, så du kan stille spørgsmål og træffe et informeret valg.

bidragydende forfattere

John Bennett	Rami Komrokji
Karen Campbell	Sandra Kurtin
Nicole Crisp	Alan List
Lenn Fechter	Cindy Murray
Peter Greenberg	Eric Padron
Emily Knight	Jean Ridgeway
	Jayshree Shaw

Når det er blevet fastslået, at du har sygdommen MDS, vil du mødes med din hæmatolog for at diskutere diagnose, prognose og tilgængelige behandlingsmuligheder, samt den behandling du anbefales, om nogen. Diagnosen MDS kan, som med enhver form for kræft, skabe en bred vifte af følelser, herunder frygt, usikkerhed, angst og sorg. Mængden og kompleksiteten af oplysninger, som du modtager under den diagnostiske proces og efter diagnosen, kan være overvældende. Der er en række strategier, som kan hjælpe dig med at organisere dine tanker, dine spørgsmål og dine bekymringer, så du kan diskutere dem med din læge og det øvrige sundhedspersonale, som du kommer i kontakt med. Forståelse af målene for en behandling, hvorfor behandlingen er valgt, og hvad effekten af behandlingen vil være for dig, vil hjælpe dig med at træffe beslutninger om din behandling, forberede dig på behandlingen, og planlægge dine daglige aktiviteter under behandlingen. At være forberedt giver dig mulighed for at bede om hjælp, når det er nødvendigt.

Hvad du bør gøre inden den første konsultation om behandling

1. Organiser alle de oplysninger, du har modtaget under de diagnostiske procedurer, du hidtil har haft, og medbring dem til din første konsultation. Lav en ekstra kopi, så du ikke afleverer din eneste kopi til hæmatologen.
2. Lav en liste over andre sundhedsproblemer du har haft, samt en liste over eventuelle operationer med årsag og datoer. Det er også vigtigt at fortælle om andre familiemedlemmer, som har haft kræft og/eller blodkræft.
3. Lav en liste over medicin du tager inklusiv håndkøbsmedicin (Se: "Skemaer" i kapitlet "Ressourcer").
4. Lav en liste over læger, du konsulterer af andre grunde med information om årsagen til at du konsulterer pågældende læge, lægens telefon- og faxnumre. Det kan være vigtigt for kommunikationen mellem dine læger (Se: "Skemaer" i kapitlet "Ressourcer").
5. Forbered spørgsmål til din første konsultation. Her er eksempler på spørgsmål du kunne stille din hæmatolog:
 - a. Hvilken type MDS har jeg, og hvad er min prognose?
 - b. Hvilken behandling vil du anbefale til min type MDS og hvad er målet med behandlingen?
 - c. Hvornår skal jeg starte behandlingen?
 - d. Hvordan gives behandlingen? Hvor ofte gives den? Hvor lang tid tager hver behandling?
 - e. Hvad ville der ske, hvis jeg ikke får behandling?
 - f. Er der kliniske forsøg, som kan være relevante for mig?
 - g. Hvad er mine muligheder for at få en knoglemarvstransplantation?

Det er nyttigt at skrive dine spørgsmål ned og at have en pårørende til at tage notater under besøget, så du kan koncentrere dig om, hvad hæmatologen siger. En forståelse af principperne for behandling af MDS vil hjælpe dig med at forberede dit første møde med hæmatologen. Spørg efter kopier af dine blodtal, rapporten fra din knoglemarvsprøve, og andre diagnostiske oplysninger, så du kan organisere oplysningerne i din egen MDS profil (se: "Skemaer" i kapitlet "Ressourcer").

Hvis du har spørgsmål om din diagnose eller behandlingsmuligheder, kan du også kontakte MDS Foundation eller et af MDS Foundations Centers of Excellence for yderligere information. (se: MDS Foundation i kapitlet "Ressourcer"). For at blive anerkendt som en Center of Excellence, skal en hæmatologisk klinik have:

- Et etableret uddannelsesprogram på universitetsniveau (eller tilsvarende)
- Anerkendt morfologisk ekspertise i MDS
- Ekspertise i cytogenetik og / eller molekylær genetik
- Igangværende forskning, herunder kliniske forsøg godkendt af et lokalt Institutional Review Board
- Dokumentation for peer-reviewed publikationer inden for området MDS

I Danmark er Rigshospitalet og Odense Universitetshospital registreret som MDS Centers of Excellence. Aarhus Universitetshospital har tidligere også været et Center of Excellence.

Myelodysplastisk syndrom (MDS) er en gruppe af knoglemarvssygdomme, som viser sig meget forskelligt, har meget forskellig prognose og behandlingsmuligheder, samt risiko for at udvikle sig til leukæmi (Se: "Hvad er MDS?", "Klassifikation af MDS" og "Hvor alvorlig er min MDS?" i kapitlet "Forstå MDS").

Hvordan vælges din behandling?

Den behandling, som vælges, og målene for behandlingen af din MDS er baseret på en række faktorer, heriblandt:

- Din generelle helbredstilstand, og din evne til at klare livets daglige aktiviteter
- Andre sygdomme du måtte have, og hvor godt du har det
- Dit aktuelle brug af medicin
- Din sociale og følelsesmæssige profil
- Dit valg med hensyn til at tage imod de anbefalede behandlingsmuligheder
- Din mulighed for at have en pårørende eller anden person hos dig
- Hvor tæt du bor på det behandlende hospital
- Hvordan den anbefalede behandling påvirker din livsstil og livskvalitet
- Din finansielle situation
- Karakteristika ved din MDS
- Din IPSS-R risikokategori (Se: "Hvor alvorlig er min MDS?" i kapitlet "Forstå MDS") lav-risiko vs Høj-risiko
- Dine genetiske markører. Eksempel sletning af kromosom 5q eller tilstedeværelse af TET2 mutationen (Se: "MDS og cytogenetiske / molekylære analyser i MDS" i kapitlet "Forstå MDS")
- Tilgængelige behandlingsmuligheder, herunder kliniske forsøg (disse kan afhænge af hvor du bor, eller din mulighed for at rejse til et behandlingssted)
- Din mulighed for en knoglemarvstransplantation

Hvad er målet med din behandling?

Målet med behandling af din MDS er baseret på den specifikke type MDS du har, hvordan sygdommen påvirker dig, og hvilke behandlingsmuligheder du har. Det er vigtigt at forstå den behandling din hæmatolog anbefaler - og hvorfor, målet med behandlingen, og hvordan den vil påvirke dig fra dag til dag, så du kan foretage et informeret behandlingsvalg.

De generelle mål med behandlingen varierer afhængig af din MDS undertype (lav risiko vs høj risiko) og typen af behandling. Der kan også være variationer i den måde MDS behandles på grundet unikke forhold hos den enkelte patient. Behandling af MDS kan inddeles i tre primære typer: Observation, understøttende pleje, og sygdomsmodificerende behandling.

Observation

Observation omfatter fortsat overvågning af dine blodtal og dine symptomer. Hyppigheden af konsultationer for en patient under observation vil variere baseret på individuelle tendenser og eventuelle ændringer i blodtal eller symptomer. Observation er normalt forbeholdt til patienter med lav risiko MDS, som ikke har behov for blodtransfusioner, eller som kræver dem meget sjældent.

Understøttende behandling

Understøttende behandling omfatter blodtransfusioner, vækstfaktorer og andre behandlinger med det formål at forbedre symptomer, såsom antibiotika mod infektion, ernæringsmæssig vejledning, samt behandling af transfusionsrelateret jernophobning plus åndelig og følelsesmæssig støtte. Støttende behandling er meningsfuld for de fleste patienter med sygdommen MDS. Visse typer af støttende pleje gives baseret på særlige kriterier. Fordelene ved støttende behandling er normalt midlertidige, da disse ikke påvirker den underliggende sygdom - MDS.

Almindelige former for understøttende behandling til forbedring af blodtal	
Blodtransfusion	Transfusion af pakkede røde blodlegemer eller blodplader. Regler for brug af disse produkter varierer fra område til område.
Rød blodlegeme vækstfaktorer	Godkendt til patienter med lav risiko MDS i Nordiske lande, Europa, Storbritannien og Canada. Anvendes i USA under APPRISE REMS programmet.
Hvid blodlegeme vækstfaktorer	Godkendt til brug i Nordiske lande. Anvendes off-label eller under særlige forhold i USA.

Almindelige understøttende behandlinger af transfusion-relateret jernophobning.	
Deferasirox (Exjade®)	Godkendt til behandling af jernophobning i USA og Nordiske lande. Godkendt i Europa til patienter, som ikke tolererer deferoxamin eller ikke har effekt af deferoxamin. Godkendt i Canada til patienter med retinopati eller som er allergiske for deferoxamin.
Deferoxamin (Desferal®)	Godkendt til behandling af jernophobning i USA, Canada, Japan, Europa, Storbritannien og Nordiske lande.

Sygdomsmodificerende behandling

Beslutningen om at starte sygdomsmodificerende behandling er ofte baseret på ændringer i blodtal, ændringer i symptomer, eller at du har en høj risiko MDS. "Behandlingsudløser" omfatter: dårligere blodtal (progressive cytopenier: anæmi, trombocytopeni, eller neutropeni), stigende blasttal, eller øget behov for blodtransfusioner. Alle disse tyder på en MDS er under forandring og med begrænset normal knoglemarvsfunktion (Se: "Ændringer i knoglemarven ved MDS" i kapitlet "Forstå MDS"). Sygdomsmodificerende behandlinger har evnen til at ændre en eller flere af de unormale elementer i MDS.

Almindelige sygdomsmodificerende behandlinger af MDS	
Antithymocyt globulin, Cyclosporin	Off-label brug til lav-risiko og hypocellular MDS i Canada, Europa, Japan, de Nordiske lande og USA.
Azacitidin (Vidaza®)	Godkendt til behandling af højere risiko MDS i Europa, de Nordiske lande og USA
Decitabin (Dacogen®)	Godkendt til behandling af IPSS høj-risiko eller lav-risiko MDS med trombocytopeni eller neutropeni i USA
Lenalidomid (Revlimid®)	Godkendt til behandling af lav risiko MDS med del (5q) i USA, Canada og Europa

Lav risiko MDS

En MDS med lav IPSS score og ingen eller gunstige genetiske mutationer klassificeres som lav-risiko MDS.

Mål for behandling af lav risiko MDS

- Forbedre hæmatopoiese (produktion af blodets komponenter).
- Reducer antallet af blodtransfusioner og optimalt fjerne behovet for transfusioner helt (transfusionsuafhængighed).
- Forbedre livskvaliteten.
- Forbedre overlevelse.

Høj risiko MDS

En MDS med høj IPSS eller høj/meget høj IPSS-R score og/eller udvalgte højrisiko genetiske mutationer klassificeres som høj-risiko MDS.

Mål for behandling for højrisiko MDS

- Forsinkelse af transformation til akut leukæmi
- Forbedre livskvaliteten ved at forbedre symptomer og mindske behandlingsbyrde.
- Forbedre overlevelse.

Lav risiko MDS			Høj risiko MDS		
IPSS	Lav risiko	Score 0	IPSS	Intermediær-2 risiko	Score 1,5 - 2,0
	Intermediær-1 risiko	Score 0,5 - 1,0		Høj risiko	Score > 2,0
IPSS-R	Meget lav risiko	Score < 1,5	IPSS-R	Høj risiko	Score > 4,5 - 6,0
	Lav risiko	Score > 1,5 - 3,0		Meget høj risiko	Score > 6,0
	Intermediær risiko	Score > 3,0 - 4,5			

Transfusion af røde blodlegemer

Transfusioner af røde blodlegemer er intravenøs (IV, igennem en vene) infusion af røde blodlegemer. Helblod opsamles fra donorer og adskilles derefter i de forskellige blodkomponenter. Røde blodlegemer (RBC) eller pakkede røde blodceller (PRBCs) er en del af fuldblod.

Hvorfor gives røde blodlegemer?

Røde blodlegeme transfusioner er en almindelig måde hvorpå man midlertidigt kan lindre symptomerne på anæmi i forbindelse med MDS. Næsten 90% af alle patienter med MDS får transfusioner af røde blodlegemer på et tidspunkt i deres liv med MDS.

Hvordan gives røde blodlegemer?

Røde blodlegemer gives intravenøst (IV) via et kateter i armen, et centralt indsat perifert kateter i overarmen (PICC linje) eller et implanteret centralt kateter i brystet (port-a-cath eller Hickman kateter).

Hvordan ved jeg, om jeg har brug for en blodtransfusion?

De fleste MDS patienter får taget regelmæssige blodprøver for at overvåge deres sygdom. Din hæmatolog vil fortælle dig, når dit hæmoglobin er faldet til et niveau, der kræver en rød blodlegeme transfusion. Beslutningen om at give en transfusion vil være baseret på dine symptomer samt dine blodtal. Måske bemærker du også selv symptomer på forværret anæmi såsom øget træthed, et blegt teint, åndenød ved mindste anstrengelse, eller en hurtigere puls. Disse symptomer bør du rapportere til din hæmatolog eller kontaktsygeplejerske. Læs mere i afsnittet “MDS og anæmi” i kapitlet “Lyn-Tips”.

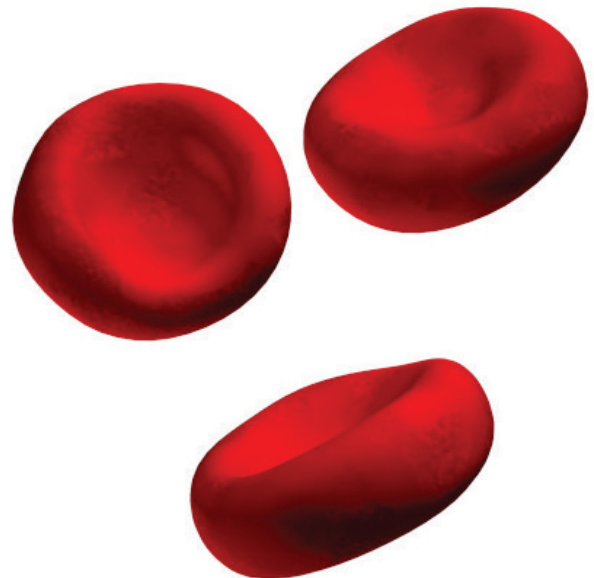
Hvad er proceduren ved transfusion af røde blodlegemer?

Når beslutningen om at transfundere er taget, skal du have taget en blodprøve for at “krydsmatche” dit blod med de portioner blod, der er til rådighed i nærmeste blodbank. Denne blodprøve er nødvendig for at sikre at de transfunderede donorceller er kompatible med dine blodceller. Blodprøven bruges til at bestemme din blodtype, og om du har antistoffer i blodet.

Blodprøven sendes til den blodbank hvorfra blodet vil komme. Blodbanken vil søge blandt de tilgængelige enheder for blod, der matcher din blodtype og eventuelle antistoffer, du måtte have. Dette kan tage fra et par timer til flere dage afhængig af tilgængelighed af blod og din blod profil.

Hvad kan jeg forvente den dag, jeg modtager en transfusion?

Proceduren med at finde matchende røde blodlegemer og få dem infuseret kan tage mere end én dag. Hvert hospital eller klinik har deres egen politik omkring transfusion af røde blodlegemer. Oftest gives 1 til 2 enheder (poser) blod baseret på patientens hæmoglobinniveau og andre symptomer. Hver enhed af røde blodlegemer gives over 2-4 timer. Infusionen bør aldrig tage mere end 4 timer grundet risikoen for bakterievækst i blodproduktet. Du skal have et IV kateter monteret før transfusionen, medmindre du har en eksisterende intravenøs tilgang. Transfusion af 2 enheder røde blodlegemer kan tage 4-5 timer, når blodet er leveret til afdelingen / klinikken.



Understøttende behandlinger

Hvilke risici er forbundet med transfusion af røde blodlegemer?

Der er flere potentielle risici forbundet med transfusion af røde blodlegemer. De fleste bivirkninger er milde og kan let håndteres med medicin. Mere alvorlige reaktioner kan forekomme, men er sjældne. Bivirkningerne kan opdeles i to tidsrammer: kortsigtede risici og langsigtede risici.

Kortsigtede risici ved blodtransfusioner

- Feber, udslæt, kløe, og / eller nældefeber er almindelige bivirkninger, som du kan opleve. De er normalt milde.
- En alvorlig allergisk reaktion kan forekomme, men er sjælden.
- Åndedrætsbesvær er ikke almindeligt, men kan forekomme i forbindelse alvorlige allergiske reaktioner eller en ophobning af væske i lungerne.
- Sygeplejersker vil overvåge dig under hele transfusionen for at identificere eventuelle bivirkninger hurtigt.

Langsigtede risici ved blodtransfusioner

Risikoen for overførsel af en infektion (såsom HIV eller hepatitis) ved en blodtransfusion er meget lav. Selvom blodprodukter testes for sygdomme, vil det aldrig være muligt at garantere, at en transfusion ikke overfører en infektion. Efter mange blodtransfusioner, kan du udvikle antistoffer mod donorblodet, som vil gøre det vanskeligere for blodbanken at "matche" dit blod. Jern overbelastning kan opstå, hvis du har modtaget mere end 20 enheder blod.



En anden betænkelighed i forbindelse med transfusion af røde blodlegemer er risikoen for at akkumulere overskydende væske, som kan forårsage eller forværre åndenød. Heldigvis kan en væske akkumulering normalt håndteres med et diuretikum som furosemid (Lasix®).

Transmission af virus ved blodtransfusioner er en anden risici. Men screeningstests, der kan afsløre virus i donorblod bruges til at gøre blodforsyningen så sikker som muligt. Risikoen for infektion af vira, såsom HIV, hepatitis B virus og hepatitis C, er meget lav. På trods af disse problemer og risici har understøttende behandling med regelmæssige transfusioner af røde blodlegemer vist sig at forbedre livskvaliteten for patienter med symptomatisk anæmi.

Blodpladetransfusion

En trombocyt infusion eller blodplade infusion er en intravenøs (IV, igennem en vene) infusion af blodplader. Helblod opsamles fra donorer og adskilles derefter i de forskellige blodkomponenter. Blodplader eller trombocytter er en komponent af fuldblod.

Hvorfor gives blodplader?

Blodpladetransfusioner er en almindelig måde hvorpå symptomerne på trombocytopeni lindres i forbindelse med MDS eller behandling af MDS. De gives oftest, når risikoen for blødninger er forøget.

Blodpladetransfusioner gives langt mindre hyppigt end røde blodlegeme transfusioner til patienter med MDS.

Understøttende behandlinger

Hvordan administreres blodplader?

Blodplader gives via et intravenøst (IV) kateter i armen, en perifert indsat centralt kateter i overarmen (PICC linje) eller en implanteret centralt kateter i brystet (port-a-cath eller Hickman kateter).

Hvordan ved jeg, om jeg har brug for en blodpladetransfusion?

De fleste MDS patienter får taget regelmæssige blodprøver for at overvåge deres sygdom og særligt deres blodtal. Din hæmatolog vil give dig besked, såfremt trombocytallet er på et niveau, der kræver en blodpladetransfusion (trombocytttransfusion). Du vil muligvis også selv bemærke forværrede symptomer på trombocytopeni (lavt blodpladetetal) såsom flere blå mærker, petekkier, eller tendens til blødning. Sådanne symptomer bør rapporteres til din læge eller kontaktsygeplejerske. Læs mere i afsnittet "MDS og trombocytopeni" i kapitlet "Lyn-Tips". Beslutningen om at give blodpladetransfusion vil være baseret på dine blodtal og andre symptomer.

Hvad er proceduren for en blodpladetransfusion?

Når beslutningen om at give blodpladetransfusion er taget, skal du have taget en blodprøve for at "krydsmatche" dit blod med de enheder af blodplader, som findes i nærmeste blodbank. Dette kan tage fra et par timer til flere dage afhængig af tilgængeligheden af blod og din blod profil.

Hvad kan jeg forvente den dag, jeg modtager blodpladetransfusion?

Proceduren omkring fremskaffelse af blodplader og infusion kan tage mere end én dag. Hvert hospital eller klinik har deres egen politik for blodpladetransfusioner. Blodpladerne kan være enten tilfældige donor enheder (trombocyt komponent fra flere portioner fuldblod) eller enkelt donor-enheder (én donor donerer en enkelt enhed af blodplader). Oftest gives 1 enhed af enkelt-donor blodplader eller 4-6 enheder af tilfældige donor blodplader baseret på patientens symptomer og blodpladetetal. Blodplader infunderes i løbet af 15-30 minutter pr enhed. Du skal have et IV kateter indsat inden transfusionen, medmindre du har en eksisterende intravenøs adgang. Effekten af transfunderede blodplader er ikke lang (fra nogle timer til et par dage). Hyppigheden af transfusioner vil afhænge af hvor god din knoglemarv er til at producere blodplader, dit blodpladetetal og dine symptomer.

Hvilke risici er forbundet med blodpladetransfusion?

Der er potentielle risici forbundet med trombocytttransfusion - også kaldet blodpladetransfusion. De fleste bivirkninger er milde og håndteres let med medicin. Mere alvorlige reaktioner kan forekomme, men er sjældne.

Kortsigtede risici ved blodpladetransfusioner

- Feber, udslæt, kløe, og / eller nældefeber er almindelige bivirkninger, som du kan opleve. De er normalt milde.
- En alvorlig allergisk reaktion kan forekomme, men er sjælden.
- Åndedrætsbesvær er ikke almindeligt, men kan forekomme ved alvorlige allergiske reaktioner.
- Sygeplejersker vil overvåge dig under hele transfusionen for at identificere eventuelle bivirkninger hurtigt.

Langsigtede risici ved blodpladetransfusioner

- Udvikling af antistoffer i dit blod vil gøre det vanskeligere at finde egnede donor enheder.
- Transmission af en infektion (som HIV eller hepatitis) ved en trombocyt infusion er med en meget lille risiko.

Vækstfaktorer

Vækstfaktorer er syntetisk fremstillede proteiner, som efterligner de normale proteiner, som bruges ved hæmatopoiese (udvikling af blodlegemer). Der er vækstfaktorer, som stimulerer produktionen af røde blodceller, granulocytter (en type hvide blodlegemer) og blodplader. Disse vækstfaktorer betragtes som en form for understøttende behandling.

Understøttende behandlinger

Røde blodlegeme vækstfaktorer

Røde blodlegeme vækstfaktorer, som også kaldes erythropoietin stimulerende midler eller ESAs, kan forbedre anæmi ved at forbedre produktionen af røde blodlegemer. Røde blodlegeme vækstfaktorer indeholder proteinet erythropoietin. Erythropoietin (EPO) er et naturligt forekommende hormon, som produceres af nyrerne og hjælper røde blodlegemer med at udvikle sig fuldt ud, så de kan transportere ilt. Niveaue af erythropoietin i blodet kan måles. Patienter med et serum erythropoietin niveau <500 IU/L, og som har behov for mindre end to enheder pakkede røde blodlegemer hver 4. uge har vist sig at have størst fordel af at få erythropoietin stimulerende midler.

Tilgængelige ESA lægemidler

Erythropoietin (EPO) (Procrit®) er en syntetisk form for EPO. Det gives subkutant (under huden) én gang ugentligt til lav-risiko MDS patienter for at forbedre produktionen af røde blodlegemer. Dosis er baseret på individuel effekt og regionale retningslinjer for anvendelse.

Darbepoetin (Aranesp®) er en anden syntetisk form for EPO med en længere halveringstid i kroppen. Det gives subkutant (under huden) hver anden til tredje uge til lav-risiko MDS patienter for at forbedre produktionen af røde blodlegemer. Dosis er baseret på individuel effekt og regionale retningslinjer for anvendelse.

I USA gives ESA'er under APPRISE sikkerhedsprogrammet, også er kendt som REMS programmet.

Hvid blodlegeme vækstfaktorer

MDS patienter har ofte cytopenier, som resulterer i lave neutrofilantal og en øget risiko for infektioner. Hvid blodcelle vækstfaktorer er syntetiske proteiner, der anvendes til at stimulere knoglemarven til at producere flere neutrofiler for at bekæmpe infektioner hos patienter med knoglemarvssygdomme eller kemoterapi.

Tilgængelige lægemidler

- **Filgrastim (Neupogen®)** korttidsvirkende syntetisk form af granulocyt kolonistimulerende faktor (G-CSF).
- **Pegfilgrastim (Neulasta®)** langtidsvirkende syntetisk form af G-CSF (PEGyleret).
- **Sagramostim (Leukine®)** rekombinant granulocyt makrofag koloni stimulerende faktor, som øger produktionen af hvide

Blodplade vækstfaktorer

Blodplade vækstfaktorer fremmer produktionen af blodplader (trombopoiese) for at forhindre trombocytopeni og blødning. Disse medikamenter er i øjeblikket ikke godkendt til brug ved MDS. Det betyder, at disse kun må anvendes til MDS patienter i kliniske forsøg.

Tilgængelige lægemidler (i øjeblikket ikke godkendt til brug ved MDS)

Eltrombopag (Promacta®) anvendes i øjeblikket i kliniske forsøg, og hører til en klassen lægemidler kendt som trombopoietin-receptor-agonister (blodpropopløsende), der arbejder ved at stimulere receptorer på megakaryocytter for at øge blodpladetallet. Stoffet ser ud til at give betydelig forbedring blodpladetallet hos patienter med alvorlig trombocytopeni. Eltrombopag gives oralt som en tablet én gang dagligt, og er i øjeblikket i fase III kliniske forsøg til behandling af patienter med kronisk ITP.

Oprelvekin (Neumega®), et rekombinant trombocyt vækstfaktor, som er godkendt til behandling af patienter med alvorlig trombocytopeni. Oprelvekin øger produktion af blodplader ved at stimulere væksten af umodne blodplader i knoglemarven. Oprelvekin har begrænset effekt hos nogle MDS patienter. I et fase II studie med 32 MDS patienter, som fik Oprelvekin i en dosis på 10 mikrogram/kilogram/dag, havde 9 patienter (28%) stigninger i deres blodpladetallet, men kun 5 af disse var klinisk betydningsfulde. Stigningen i blodpladetallet varede gennemsnitligt 9 måneder. Brug af Oprelvekin har en række bivirkninger. De mere almindelige er ødem, utilpashed, og lav temperatur feber, hvilket er problematisk for MDS patienter med symptomatisk anæmi.

Understøttende behandlinger

Romiplostim (Nplate™) er FDA godkendelse til behandling af trombocytopeni hos patienter med kronisk immun trombocytopeni purpura, en lidelse karakteriseret ved forøget blodplade ødelæggelse eller utilstrækkelig produktion af blodplader. Romiplostim er et rekombinant protein, der gives subkutant ugentligt. Det tilhører en klasse af lægemidler kendt som thrombopoietin-receptor-agonister, og virker ved at stimulere disse receptorer placeret på specifikke celler i knoglemarven kaldet megakaryocytter, hvilket fører til øget blodpladetal. I en undersøgelse af lav-risiko MDS patienter med trombocytopeni, gav romiplostim en varig trombocyt effekt hos 18 (41%) af patienterne, og den varede i gennemsnit 23 uger. Adskillige igangværende fase II studier med MDS patienter undersøger brugen af romiplostim ved trombocytopeni. På nuværende tidspunkt kan det ikke anbefales til patienter med blodkræft, som MDS.

Sygdomsmodificerende lægemidler er behandling med potentiale til at påvirke de underliggende abnormiteter, som forårsager MDS. De har potentialet til at ændre sygdommens naturlige udvikling og forlænge overlevelsen. Beslutningen om at starte behandling med sygdomsmodificerende midler baseres almindeligvis på tilstande som transfusionsafhængighed, stigende blasttal, høj risiko MDS, og progressive eller symptomatiske cytopenier.

I sommeren 2017 var der 3 lægemidler, som er FDA godkendte til sygdomsmodificerende behandling af MDS. Det lægemiddel, som først blev godkendt var azacytidin, og derefter fulgte relativt hurtigt to andre: decitabin og lenalidomid.

Hypometylerende lægemidler

Hypermethylering, dvs ophobning af kemiske grupper, som kaldes methylgrupper på dele af DNA, er blevet identificeret som en medvirkende faktor ved udviklingen af MDS og leukæmi. Disse forbindelser slukker for gener, der er nødvendige for den normale udvikling og modning af blodcellerne. Hypermethylering foregår hele tiden. Hypometylerende lægemidler, er lægemidler, der blokerer methylforbindelser, og de har vist sig at forbedre den normale blodcelleproduktion (hæmatopoiese) hos patienter med MDS ved igen at tænde for gener, som MDS klonerne havde gjort tavse.

Kemikalie	Azacitidine
Indikation	Alle 5 FAB undertyper (RA, RARS, RAEB, CMML, RAEB-t)
Lægemiddelklasse	Hypometyleringsmiddel
Kliniske forsøg	CALGB 9221, fase I / II CALGB 8421, fase II fortsættelse (2000) etableret effekt og sikkerhed AZA-001, fase III international, multicenter Int-2, høj risiko MDS første overlevelseshdata for aktiv behandling
Primære endepunkter	Forbedret samlet overlevelse Hæmatologisk forbedring Transfusions uafhængighed Cytogenetisk effekt Sikkerhed og effekt
Almindelige bivirkninger	Myelosuppression, Injektionsstedsreaktioner Kvalme og opkast, Forstoppelse Kontraindiceret hos patienter med hepatiske tumorer Brug med forsigtighed ved nedsat nyrefunktion Kan forårsage fosterskader
Brug	SC eller IV x 7 dage. Hver 28. dag. Ambulant regime Fortsæt behandling indtil uacceptabel toksicitet eller sygdomsprogression

Kemikalie	Decitabin
Indikation	Alle 5 FAB undertyper (RA, RARS, RAEB, CMML, RAEB-t) og IPSS risikogrupperne Int-1, Int-2 og Høj
Lægemiddelklasse	Hypometyleringsmiddel
Kliniske forsøg	D-0007, fase I/II (2003) etableret effekt og sikkerhed ADOPT forsøg (2007), fase III randomized, multicenter forsøg. Etablerede nye doserings retningslinjer Decitabin 20 mg/m ² over 1 time dag 1-5 Ambulant behandling mulig
Primære endepunkter	Hæmatologisk forbedring Transfusions uafhængig Cytogenetisk effekt Sikkerhed og effekt
Almindelige bivirkninger	Myelosuppression, Kvalme og opkast, Forstoppelse, Hyperbilirubæmi Brug med forsigtighed ved nedsat nyrefunktion Kan forårsage fosterskader
Brug	IV x 5 dage over 1 time. Hver 28. dag. Ambulant regime Fortsæt behandling indtil uacceptabel toksicitet eller sygdomsprogression

Der er i øjeblikket to hypometylerende midler til rådighed: 5-azacytidin (azacitidin) og 5-aza-2-deoxycytidin (decitabin).

Azacytidin (Vidaza®)

www.vidaza.com

Azacytidin var det første lægemiddel, som blev godkendt af FDA specifikt til behandling af MDS. Det gives subkutan (under huden) eller ved intravenøs injektion. Doseringskemaerne for de to injektionsmetoder er ens. Adskillige kliniske undersøgelser har vist, at sammenlignet med patienter, som ikke fik azacytidin, havde MDS patienter som fik én subkutan injektion af azacytidin dagligt i 7 dage hver fjerde uge holdbare hæmatologiske forbedringer: stigning i antal røde blodlegemer og transfusion uafhængighed, stigning i hæmoglobin niveau, stigning i antal hvide blodlegemer eller blodpladetal og / eller reduktion af knoglemarvens blasttal. Alle patienter i de kliniske forsøg fik understøttende behandling, uanset om de havde modtaget azacytidin. I nogle kliniske forsøg blev tidspunktet for progression til AML betydeligt forsinket i azacitidin-behandlede patienter sammenlignet med patienter, der ikke modtog azacytidin. Resultaterne fra et stort fase III forsøg med 358 høj-risiko MDS-patienter (IPSS Intermediær-2 eller Høj) viste, at sammenlignet med konventionel behandling (enten lav dosis kemoterapi plus understøttende behandling eller standard kemoterapi plus understøttende behandling), gav behandling med azacytidin signifikant forlænget samlet overlevelse (24,4 måneder versus 15 måneder). Mere praktiske doseringskemaer (5-dages subkutane tidsplaner) og en kort intravenøs infusion af azacytidin er også blevet undersøgt. De mest almindelige bivirkninger ved azacytidin er myelosuppression, kvalme, forstoppelse, og reaktioner på injektionsstedet. En oral formulering af dette medikament er blevet udviklet og testes i øjeblikket i kliniske forsøg.

Decitabin (Dacogen®)

www.dacogen.com

Decitabin, også kaldet 5-deoxyazacytidin, er en DNA-hypometyleringsmiddel ligesom azacytidin og fungerer som azacytidin. Med andre ord, decitabin reducerer DNA-methylering, og genopretter den normale funktion af tumorsuppressorgener i MDS. Et større fase III klinisk forsøg, som sammenlignede decitabin med understøttende behandling i MDS patienter viste, at af 170 patienter med intermediær til høj risiko MDS, der deltog i forsøget, observerede man en signifikant højere samlet effekt hos patienter, der fik decitabin med en varighed på omkring

Sygdomsmodificerende behandling

10 måneder: 17% effekt hos decitabin-behandlede patienter versus 0% for patienter, der fik standardbehandling. Patienter, der havde effekt af decitabin blev eller forblev transfusions uafhængige. Desuden gik der længere tid før patienter, som havde en effekt (fuldstændig eller delvis) af decitabin, oplevede progression til AML eller døde sammenlignet med patienter, der fik understøttende behandling alene. De mest almindelige bivirkninger ved decitabin er myelosuppression, kvalme og forstoppelse.

Immunmodulerende lægemidler

www.revlimid.com

Immunomodulerende midler er en form for sygdomsmodificerende behandling rettet mod knoglemarvens mikromiljø og elementer af de abnorme MDS-celler (maligne kloner). Lenalidomid er godkendt i USA til anæmiske MDS patienter med Lav- eller Intermediær-1 risiko MDS, specielt dem med del(5q), der er transfusion afhængige. Lenalidomid indtages oralt og fås i kapselform. Resultaterne af et forsøg med MDS patienter med symptomatisk anæmi og kromosom 5q-, som blev behandlet med lenalidomid viste, at 67% af de patienter, som oprindeligt var afhængige af røde blodlegeme transfusioner opnåede transfusions - uafhængighed, og 9 % andre så deres behov for blodtransfusioner falde med 50% eller mere. Desuden opnåede 45% af patienterne en komplet cytogenetisk effekt (dvs. kromosom abnormaliteter var ikke længere påviselige). Ved dette forsøg var reaktionen på lenalidomid hurtig, med en gennemsnitlig responstid 4,6 uger og holdbare. De fleste af patienterne modtog kontinuerligt daglig dosis af 10 mg lenalidomid. Nogle patienter oplevede bivirkninger, som udslæt, kløe, træthed, diarre og kvalme. Fordi lenalidomid er en analog (kemisk look-alike) af thalidomid, er der et potentiale for fødselsdefekter ved indtagelse af stoffet. På grund af denne risiko, har producenten af lenalidomid, Celgene Corp., etableret et program for begrænset adgang til stoffet. Det program kaldes RevAssistSM. Kun patienter, der tilmelder sig og opfylder alle betingelserne i programmet kan få adgang til medicinen. I et forsøg med MDS patienter som ikke havde del(5q) gjorde lenalidomid 26% af patienterne transfusions uafhængige, mens behov for transfusioner blev reduceret for andre 43% af de deltagende patienter. Størstedelen af patienterne havde en tung transfusion byrde (to eller flere røde blodlegemer enheder / måned) inden forsøget.

Kemikalie	Lenalidomid
Indikation	Transfusion afhængige MDS Lav- Int-1 MDS med del (5q) med eller uden yderligere kromosomale abnormiteter
Lægemiddel klasse	Immunomodulatorisk middel
Kliniske forsøg	MDS-001, fase I/II (2002) etableret effekt og sikkerhed MDS-003, fase II multicenter forsøg, lenalidomid i del(5q) førte til FDA godkendelse baseret på effekt og sikkerhed MDS-002, fase II multicenter forsøg lenalidomid i ikke del(5q) Lav Int-2 MDS. Bekræftet effekt i ikke del(5q) MDS; bekræftet effekt og sikkerhed
Primære endepunkter (IAG)	Hæmatologisk forbedring Transfusions uafhængig Cytogenetisk effekt Sikkerhed og effekt
Almindelige bivirkninger	Myelosuppression, Udslæt. Diarré Kræver nyre dosisjustering Ikke kronisk effekt i dyreforsøg Analog af thalidomid. Ordineres gennem REVASSIST programmet for sikkerhed Kan forårsage fosterskader
Brug	10 mg oralt x 21 dage. Hver 28. dag Fortsæt behandling indtil uacceptabel toksicitet eller sygdomsprogression

Sygdomsmodificerende behandling

Immunundertrykkende lægemidler

Immunundertrykkende midler, er endnu ikke godkendt af FDA til behandling af MDS, men kan anvendes til patienter med lav risiko MDS eller hypocellular MDS i forbindelse med kliniske forsøg eller i særlige kliniske situationer.

Cyclosporin: Anvendes primært til at hæmme immunforsvars-afvisning. I lave doser, kan det anvendes til behandling af hypocellular MDS og MDS med refraktær anæmi (RA).

Antithymocytglobulin (ATG): Et T-celle nedbrydende middel, der findes i to former: kanin eller hest. Det anvendes i udvalgte tilfælde af MDS, men skal gives under indlæggelse og tæt observation for en eventuel anafylaksi reaktion.

Alemtuzumab (Campath): Et antistof til CD52-receptoren, som findes på mange modne immunceller, herunder T- og B-celler bliver brugt primært i kliniske forsøg.

Induktionskemoterapi

En patient med høj-risiko MDS har en større sandsynlighed for sygdommens udvikler sig til AML. Derfor kan hæmatologen til disse patienter anbefale intensiv, højdosis, eller induktion kemoterapi, som kan "fremkalde" kontrol med patientens MDS ved at dræbe de myelodysplastiske celler. Induktions eller intensiv kemoterapi for MDS refererer til cytotoksiske ("celledræbende") kombinationsregimer som dem, der anvendes til behandling af AML. Intensiv kemoterapi kan også være relevant for lav- og Intermediær-1 risiko MDS patienter med en progressiv sygdom, og en alder på højst 60 år, og god fysisk form.

Kemoterapibehandling har betydelige bivirkninger. Almindeligt anerkendte bivirkninger omfatter hårtab, sår i munden, kvalme, opkastning, diarré og infektioner. Der er en række forskellige kemoterapi midler og kombinationer af lægemidler, der kan anvendes. Alle disse regimer påvirker også kroppens normale celler ud over MDS-cellerne. Derfor kræver denne type behandling generelt hospitalsindlæggelse fra nogle dage til nogle uger, afhængigt af hvor godt behandlingen tolereres, og hvor hurtigt knoglemarven og andre celler i kroppen kommer sig. Aggressiv understøttende behandling, herunder transfusioner, intravenøs væske, antibiotika, ernæringsmæssig støtte, smertebehandling, og psykosocial støtte er nødvendig under denne indlæggelse.

Når der er tegn på at knoglemarven kommer sig (forbedrede blodtal) og forbedring af eventuelle bivirkninger af behandlingen, udskrives patienten med henblik på ambulant opfølgning. En knoglemarvsbiopsi og aspiratprøve vil blive taget enten medens patienten stadig er indlagt eller efter udskrivning for at måle effekten af behandlingen. Efterhånden som normale celler prolifererer, vil hyppigheden af transfusioner falde, og risikoen for infektion mindskes. Desværre, er chancen for at kontrollere MDS med induktions kemoterapi kun omkring 30%. Selv i vellykkede tilfælde, vender sygdommen ofte tilbage inden for tolv måneder. Derfor gives aggressiv kemoterapi til et mindretal af MDS-patienter.

Palliativ pleje fokuserer på at lindre smerte og andre lidelser i forbindelse med sygdom. Fordelene ved palliativ behandling er anerkendt og accepteret af American Board of Medical Specialties.

Hvad er palliativ pleje ved MDS?

Myelodysplastisk syndrom (MDS), kan påvirke kroppen, sindet og sjælen. Patienter med MDS, deres pårørende og familier kan have problemer med et eller flere af disse områder under alle sygdommens stadier. Palliativ pleje af patienter med MDS kan starte, så snart patienten har fået diagnosen. De fleste afdelinger med kræftbehandling har elementer af palliativ pleje, som en del af den daglige pleje. Palliativ pleje tilbyder hjælp med:

- Vanskelige behandlings beslutninger
- Fysiske symptomer: eksempelvis smerter, kvalme og opkast, diarré, forstoppelse, træthed, ernæring etc.
- Depression og angst samt andre følelsesmæssige behov
- Socialrådgivning
- Finansiell rådgivning
- Åndelig støtte

Det palliative hold

Det palliative pleje hold samarbejder med patienten og dennes pårørende hjælpe med at identificere hans eller hendes behov, mål og angst. Palliativ medicin anvender en tværfaglig tilgang til patientpleje, som bygger på input fra læger, farmaceuter, sygeplejersker, hospitalspræster, socialrådgivere, psykologer og andre fagfolk inden for sundhedsområdet. Teamet laver en plan for pleje til at lindre lidelse på alle områder af patientens liv. Denne tværfaglige tilgang gør det muligt for det palliative pleje hold at tage fysiske, følelsesmæssige, åndelige og sociale hensyn, der opstår ved en fremskreden sygdom eller uhelbredelig sygdom. Nogle kræftcentre eller klinikker har udpeget palliative hold; andre centre kan have adgang til uddannede personer efter anmodning. Et palliativt pleje hold kan omfatte en eller flere af følgende:

- Læge(r)
- Sygeplejerske(r) og lægesekretær(er)
- Hæmatologisk specialsygeplejerske
- Socialrådgiver
- Smertebehandler
- Præst eller anden åndelig støtte
- Ernæringsekspert
- Fysioterapeut
- Finansiell rådgiver

Patienter med lungekræft, som fik palliativ behandling startende i de tidlige stadier af sygdommen havde en bedre livskvalitet, mindre depression, og levede længere end dem, der ikke modtog palliativ pleje. Selvom der er behov for mere forskning med MDS patienter, tyder denne undersøgelse på, at palliativ pleje startende i de tidlige stadier af sygdommen, kan give patienterne fordele. Selvom palliativ pleje ikke er tænkt som en kur mod MDS, kan den øge chancerne for overlevelse ved at forberede patienten til vejen forude og støtte patienten og dennes familie.

En knoglemarvstransplantation kaldes også en stamcelletransplantation eller hæmatopoietisk stamcelletransplantation (HSCT) og proceduren involverer behandling med højdosis kemoterapi og muligvis stråling efterfulgt af infusion af stamceller (progenitorceller). Stamcellerne har evnen til at genoprette din knoglemarvsfunktion (Se: “Knoglemarvens funktion” i kapitlet “Forstå MDS”) efter infusion. Der er betydelige risici ved denne procedure. Skønt knoglemarvstransplantation er en potentiel kur for MDS, tilbydes denne procedure kun et lille antal voksne MDS patienter.

Knoglemarvstransplantation

Allogen knoglemarvstransplantation er den eneste i øjeblikket tilgængelige behandlingsmulighed med potentiale til helt at fjerne den maligne MDS-klon (MDS fabrikken) fra knoglemarven. Fjernelse af MDS-klonen er nødvendig for at “helbrede” MDS. Som den eneste gennemprøvede kur mod MDS, bør allogen hæmatopoietisk stamcelletransplantation (HSCT) overvejes af transplantation-egnede patienter med høj-risiko MDS (Se: “Er jeg en kandidat til en knoglemarvstransplantation?” i kapitlet “Søg Behandling”). Allogene knoglemarvstransplantationer repræsenterer den mest aggressive behandlingsmulighed og er uegnede for de fleste MDS patienter.

Der findes to typer af knoglemarvstransplantationer: autolog og allogen.

Ved en autolog transplantation høstes stamceller fra patienten og anvendes til samme patients transplantation. Allogene stamceller høstes fra en anden person, der er genetisk så lig patienten som muligt. Dette kan være en bror eller en søster, men kan også være en uafhængig frivillig donor. Ved MDS er allogen stamcelletransplantation det mest almindelig.

De allogene stamceller høstes sædvanligvis fra blodstrømmen hos donoren efter at donoren har modtaget medicin til at stimulere produktionen af stamceller. Vi kalder disse celler for mobiliserede perifere blodstamceller. I sjældne tilfælde, høstes celler direkte fra donerens knoglemarv. Disse kaldes knoglemarvsstamceller.

For at finde ud af, om du er kandidat til en stamcelletransplantation og senere finde en donor til dig, skal du have din HLA (human leukocyt antigen) type bestemt. Dette gøres ved en simpel blodprøve, men er det mest kritiske trin for at finde et perfekt donor “match” til transplantationen. HLA-antigener er proteiner eller markører som findes på overfladen af de fleste celler i kroppen. Dit immunforsvar bruger disse markører til at genkende hvilke celler der hører hjemme i din krop og hvilke der ikke gør det. Human leukocyt antigen (HLA) typen bruges til at matche patienter og donorer af stamceller til knoglemarvstransplantationer.

Er jeg kandidat til en knoglemarvstransplantation?

Det første skridt mod en knoglemarvstransplantation er at afgøre, om du er kandidat til denne type behandling. Din hæmatolog vil i samarbejde med andre sundhedsprofessionelle vurdere om du opfylder nogle egnethedskriterier. De normale egnethedskriterier er:

- Alder under 65 år (nogle transplantationscentre har en højere aldersgrænse)
- Tilgængelighed af en HLA identisk matchet donor
- God hjerte, lunge, lever, og nyrefunktion
- Fysisk aktiv og i stand til at udføre daglige aktiviteter uden assistance

Der findes mange ressourcer som kan hjælpe dig med at forstå knoglemarvstransplantation ved MDS. Disse hjemmesider er på engelsk:

- Be The Match bethematch.org er en hjemmeside om knoglemarvsdonering, som vedligeholdes af National Marrow Donor Program (NMDP)
- Blood and Marrow Transplant Information Network bmtinfonet.org er en amerikansk patientorganisation for transplantationspatienter.
- National Coalition for Cancer Survivorship har en serie lydbøger under overskriften Cancer Survivor Toolbox. Den finder du her: www.canceradvocacy.org/toolbox, og du finder speciel lydbog om transplantation her.

Knoglemarvstransplantationsproceduren

Knoglemarvstransplantation er en kompleks fler trins proces. Det er vigtigt for dig og dine pårørende at være fortrolige med hvert trin i processen, da det vil hjælpe dig med at planlægge din tid, dine ressourcer og identificere områder, hvor du har brug for hjælp.

- 1. Pre-transplantation behandling** - Det er bedst, hvis din MDS er stabil inden du beslutter dig for en knoglemarvs- transplantation. Dette vil sandsynligvis kræve, at du får sygdomsmodificerende behandling.
- 2. Transplantations evaluering** - (se: "Evaluering m.h.p. knoglemarvstransplantation")
- 3. Donor søgning** - Under din transplantations evaluering, vil du blive spurgt om mulige søskende knoglemarvsdonorer. Hvis du ikke har søskende, der kan bruges som donor, vil man starte en donor søgning gennem internationale registrer. Denne kan tage fra dage til måneder; og i nogle tilfælde kan man ikke finde en egnet donor. Den bedste donor vil matche alle dine DNA-markører - 10 ud af 10 match. I nogle tilfælde kan donorer, der matcher de fleste, men ikke alle dine DNA-markører, overvejes - 8 ud af 8 match. Denne type transplantation har større risici.
- 4. Pre-indlæggelse med underskrivning af samtykkeerklæring** - Efter en donor er blevet identificeret, skal du have et pre-indlæggelses møde på transplantationscentret sammen en udpeget pårørende. Dette besøg tager normalt ikke mere end 1 time og vil omfatte en detaljeret diskussion af risici og fordele for dig ved en transplantation. Det er vigtigt at du og din pårørende har forberedt spørgsmål forud for dette besøg. Hvis du efter mødet ønsker at fortsætte med transplantationen, vil du underskrive en samtykkeerklæring inden du indlægges til transplantationen.
- 5. Konditionering** - Inden transplantationen, skal du have højdosis kemoterapi for at fjerne de sidste rester af din knoglemarv som indeholder MDS-klonet. Dette vil også give plads til de nye stamceller fra din donor, som skal genskabe din knoglemarv baseret på de nye stamceller. Denne del af proceduren kræver hospitalsindlæggelse på knoglemarvstransplantation centret i flere uger.
- 6. Stamcelle infusion** - Dagen før infusion eller transplantation omtales almindeligvis som "Dag 0." Donor stamcellerne infunderes via en central venøs indgang. Den faktiske infusion kan tage op til en time, afhængigt af antallet af frosne poser af HSC produkt. Der vil være andre aktiviteter i denne forbindelse, såsom hydrering, så det hele vil resultere i en dag-lang procedure.
- 7. Anslag af transplantatet** - Voksende blodtal vil være det første tegn på, at de transplanterede stamceller har indtaget din knoglemarv og er begyndt at producere nye blodceller. Transplantation siges af have slået an, når ANC (absolut neutrofil) er > 500 celler/dl i tre på hinanden følgende dage eller > 1000 celler/dl en dag, og blodpladetallet forbliver > 20.000 uden transfusion i mindst 7 dage.
- 8. Transplantationsrelateret bivirkningshåndtering** - Allogen stamcelletransplantation er forbundet med betydelige transplantationsrelaterede bivirkninger, både under og efter transplantationen. Disse bivirkninger vil blive drøftet med dig og din pårørende ved præ-indlæggelses besøget.

Evaluering m.h.p. knoglemarvstransplantation

Når du og dit behandlingshold har bestemt jer for, at en knoglemarvstransplantation er den rigtige behandling for din MDS, er der en række ting du og dine pårørende skal overveje. Hvordan vælger jeg et knoglemarvstransplantation center? Der er mere end 200 transplantationscentre alene i USA. At finde et, der passer bedst til dine behov kan virke som en overvældende opgave. Valget af center baseres ofte på en række faktorer:

- anbefalinger fra din primære hæmatolog
- Karakteren af det enkelte center
- Hvor tæt centret ligger på dit hjem

Knoglemarvstransplantation

Du kan søge efter et transplantationscenter online:

- Transplant Center Search Form BMTinfonet.org. I Danmark er mulighederne Rigshospitalet og Aarhus Universitets Hospital

Når du har identificeret et transplantations center, vil du blive henvist til en formel samtale og derefter evaluering ved en forundersøgelse. Denne proces kan tage flere dage og vil omfatte en række blodprøver, radiologiske undersøgelser, test af vejrtrækning, og en knoglemarvsbiopsi og aspirat. Du vil mødes med medlemmer af transplantationsholdet, herunder transplantationslægen, sygeplejersker, socialrådgivere, og diætister. Screeningsbesøget har til formål, at være sikker på, at en knoglemarvstransplantation er den bedste behandlingsmulighed for dig.

Hvad spørger jeg min knoglemarvstransplantation læge om?

1. Er centret akkrediteret af Foundation for Accrediting Cellular Therapy (FACT)? (Dette agentur udfører omhyggelige inspektioner af transplantation programmer og certificerer et program, som giver pleje af høj kvalitet.)
2. Hvilke tests skal jeg have foretaget inden transplantationen?
3. Er der patienthotel til rådighed i området for post-transplantationspleje og hvad er den anbefalede / krævede varighed af det lokale ophold?
4. Hvad er transplantationsholdets erfaringer med behandling af MDS patienter?
5. Hvad er den sædvanlige længde af hospitalsopholdet i forbindelse med selve transplantationen?
6. Hvor ofte skal jeg ses i klinikken efter udskrivelse?
7. Har transplantationsprogrammet et langsigtet opfølgningsprogram til at hjælpe dig med medicinske problemer, som kan vise sig måneder eller år efter transplantation?
8. Er der følelsesmæssige supporttjenester til mig, min donor, min pårørende og min familie?
9. Hvad er centrets succesrate med stamcelletransplantation?
10. Hvad er forventningerne til de pårørende?

I forbindelse med udvikling af nye lægemidler udføres en række forsøg. Der startes med forsøg i laboratoriet og på dyr. Dette kaldes pre-kliniske forsøg. Senere kommer forsøg på mennesker. Disse kaldes kliniske forsøg. Et klinisk forsøg falder ind under en af fire faser:

Fase I	Det er første gang et lægemiddel anvendes på mennesker. Forsøget er designet til at bestemme dosering, administrationsvej (oralt, intravenøst eller ved injektion), og tidsplan for administration (hvor mange gange om dagen eller ugen). I denne fase begynder forskerne også at bestemme lægemidlets sikkerhed for mennesker. Fase I forsøg udføres normalt med raske voksne og indskrives kun et lille antal personer (15-30).
Fase II	Patienter med sygdommen modtager stoffet ved dosisniveauet fastlagt i den tidligere fase. Fase II forsøg bestemmer effekten af lægemidlet og giver flere oplysninger om dets sikkerhed. Fase II forsøg omfatter normalt mindre end 100 personer.
Fase III	Lægemidlet testes alene eller mod et godkendt stof. Hvis det er et sammenligningsforsøg, bliver patienterne tilfældigt fordelt til enten at modtage det nye lægemiddel eller standardbehandling. Fase III forsøg indskrives et stort antal patienter (fra hundredvis til tusindvis).
Fase IV	Medicin, der allerede er godkendt af FDA og til rådighed for offentligheden, gennemgår yderligere evaluering på et stort antal patienter (flere hundrede til flere tusind). Fase IV forsøg er sjældne.

Nogle forsøg, screeningsforsøg, og forsøg der undersøger understøttende behandling eller forebyggelse er ikke inddelt i faser. Ved denne type af forsøg, vil en gruppe følge en bestemt behandlingsstrategi for at håndtere sygdommen, f.eks. undersøgelsesmetode eller en adfærdssændring, hvilket så sammenlignes med en kontrolgruppe.

Hvad er kliniske forsøg?

Kliniske forsøg tilbyder en mulighed for behandling under en forskningsprotokol. Kliniske forsøg har flere vigtige formål:

1. Er en vigtig del af at udvikle nye behandlinger for MDS og andre sygdomme
2. Hjælp til at forbedre diagnostiske teknikker
3. Identifikation af nye mål for behandling
4. Tilbyder behandlingsmuligheder, som ellers ikke er tilgængelige
5. Hjælp at forfine behandlingsstrategier, såsom finjustering af prognose værktøj til MDS, som IPSS og IPSS-R (Se: *My IPSS-R score*)
6. Hjælp til at forbedre bivirkningshåndtering
7. Tilbyder en metode til at lave livskvalitetsforskning, mens sygdom eller behandling af sygdom undersøges

Nogle forsøg, screeningsforsøg, og studier, der evaluerer understøttende behandling eller forebyggelse er ikke gennemført i faser. I denne type forsøg, sammenlignes en bestemt strategi til bekæmpelse af sygdomme, såsom en fremgangsmåde til påvisning af en sygdomsændring, med en kontrolgruppe.

Deltagelse i kliniske forsøg

Kliniske forsøg kan udføres ved en bestemt hospital (institution) eller som en del af et samarbejde. Hvert forsøg har en ledende forsker, som kaldes den primære undersøger (Primary Investigator, PI). Når du deltager i et klinisk forsøg, kan du møde andre medlemmer af forskerholdet. De arbejder alle for at sikre, at din behandling følger de retningslinjer, som forsøget udføres under, og at din sikkerhed opretholdes.

Medlemmer af forskerholdet

1. Ledende læge, videnskabsmand eller forskningssygeplejerske - forsøgslederen (Primary Investigator, PI)
2. Andre klinikere: læger, sygeplejerske eller videnskabsmænd (forskere)
3. Statistikere
4. Forskningssygeplejerske
5. Data ledere

Hvordan overvåges kliniske forsøg?

- **Institutional Review Boards (IRB):** En gruppe eksperter fra den institution, der udfører forsøget eller som repræsenterer en samarbejdende gruppe af institutioner, der gennemgår hvert forsøg for patientsikkerhed og videnskabelig kvalitet. IRB vil fortsætte med at overvåge gennemførelsen af forsøget sammen med forsøgslederen og forskerholdet, indtil det er afsluttet.
- **Scientific Review Panels:** Et panel af eksperter, der gennemgår kliniske forsøg for at sikre, at de er baseret på sunde videnskabelige principper.
- **Data and Safety Monitoring Boards:** En uafhængig komité af læger, forskere, statistikere og andre eksperter.
- **National Cancer Institute (NCI) og National Institutes of Health (NIH):** Overvåger udvalgte kliniske forsøg og vedligeholder en liste over registrerede forsøg på www.clinicaltrials.gov

Centrale elementer i et klinisk forsøg

Patientsikkerhed: Patientsikkerhed er et primært fokus for alle kliniske forsøg. De potentielle risici og fordele ved hvert forsøg gennemgås nøje af en række grupper. Du får en samtykkeerklæring, der diskuterer disse risici og fordele i detaljer. Et centralt element i patientsikkerhed er beskyttelse af patientens privatliv. Data som indsamles ved et klinisk forsøg vil vise patienter ved en undersøgelses nummer, fx AZA001, og vil kun blive delt med medlemmer af forskerholdet, der har underskrevet en fortrolighedserklæring.

Informeret samtykke: Før du kan deltage i et klinisk forsøg, skal forskerholdet give dig detaljerede oplysninger om forsøget, herunder formålet med forsøget, potentielle fordele og risici, behandlingsplan (protokol og tidsplan), og din ret til at trække dig fra undersøgelsen til enhver tid. Du opfordres til at stille spørgsmål under diskussion af dette dokument med din læge, så du føler, du forstår forsøget. Du vil derefter underskrive en samtykkeerklæring, der indeholder disse oplysninger og dokumenterer dit informerede samtykke.

Er jeg kandidat til et klinisk forsøg?

Ethvert klinisk forsøg har specifikke kriterier for deltagelse. Disse kriterier sikrer de specifikke forskningsmål er afklaret sikkerhedsmæssigt for patienten og bliver opfyldt. Du vil blive screenet inden forsøget, før du kan deltage. Yderligere prøver vil blive udført, når du har underskrevet samtykkeerklæring til forsøget. I nogle tilfælde viser det sig, efter disse prøver er taget, at en patient ikke opfylder kriterierne for forsøget og derfor ikke kan tilbydes forsøgsbehandlingen.

Hvilke spørgsmål stiller jeg før deltagelse i et klinisk forsøg?

Disse besvares oftest under processen om det informerede samtykke.

1. Hvorfor udføres dette kliniske forsøg?
2. Hvad er de potentielle fordele ved dette kliniske forsøg?
3. Hvad er de potentielle risici ved forsøget?
4. Hvad kan jeg forvente fra dag til dag, mens jeg deltager i forsøget? (Hyppigheden af besøg, typer af test, længde af besøg)
5. Hvis jeg oplever bivirkninger, hvem skal jeg så kontakte?
6. Hvad er omkostningerne ved at deltage i forsøget?
7. Hvilke andre behandlingsmuligheder har jeg, hvis jeg ikke deltager i dette kliniske forsøg?
8. Hvor længe vil jeg være i forsøget?
9. Hvad sker der, hvis behandlingen ikke virker?

Information om kliniske forsøg og godkendelse af lægemidler i forskellige lande

European Medicines Agency

www.ema.europa.eu

Agentur under Den Europæiske Union. Agenturet ligger i London og er ansvarlig for den videnskabelige vurdering af lægemidler, som udvikles af farmaceutiske virksomheder til brug i EU.

Health Canada

www.hc-sc.gc.ca

Giver meddelelse om fuld godkendelse (notice of compliance, NOC) af nye lægemidler eller godkendelse med betingelser i Canada

National Cancer Institute National Institutes of Health

www.clinicaltrials.gov

Registrering af og resultater fra føderalt og privat understøttede kliniske forsøg, der gennemføres i USA og rundt om i verden

National Institute of Health and Clinical Excellence

www.nice.org.uk

Vejledning omkring omkostningseffektivitet af behandlinger i England og Wales

Nordic MDS Group

www.nmds.org

Udgiver nordiske online retningslinjer for MDS behandling og patientoplysninger på alle nordiske sprog. Definere forsøgsprotokoller.

Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

www.pmda.go.jp

Regulering af medicin tilgængelighed i Japan

Therapeutic Goods Administration

www.tga.gov.au

Afdeling af den australske regerings Department of Health and Aging; ansvarlig for at regulering af terapeutiske varer, herunder lægemidler, medicinsk udstyr, blod og blodprodukter.

US Food and Drug Administration

www.fda.gov

FDA godkendelse kræves for kommercielt tilgængelige terapier, inkl. lægemidler i USA

MDS og kliniske forsøg

Et voksende antal eksperimentelle lægemidler evalueres for deres potentielle anvendelse i behandlingen af MDS. Mange forsøg er designet til at finde nye mål i behandling af MDS-klonen eller i knoglemarvens mikromiljø (*Se: Hvad sker der med knoglemarv i MDS?*). Andre forsøg undersøger måder at kombinere de aktuelt tilgængelige behandlinger med andre nye lægemidler. Ved at anvende kombinationer af lægemidler, der virker på mere end et mål, er det håbet, at en mere effektiv behandling end nogen af de aktuelt anvendte midler alene vil have opnået.

Deltagelse i et klinisk forsøg vil give dig behandlingsmuligheder, der ellers ikke ville være tilgængelige for dig. Spørg din læge, om der er kliniske forsøg, der kunne være en mulighed for dig. MDS Foundations Centers of Excellence giver mulighed for deltagelse i kliniske forsøg. Hvilke forsøg det enkelte Center of Excellence tilbyder varierer meget, da det afhænger en del af deres patientsammensætning.

Yderligere oplysninger om kliniske forsøg kan fås ved henvendelse til MDS Foundation, Inc. www.MDS-Foundation.org eller The National Institutes of Health www.clinicaltrials.gov.

MDS er primært en sygdom hos ældre (de fleste patienter er ældre end 65 år), men MDS kan også forekomme hos yngre patienter. MDS hos børn er sjældent (1-4 tilfælde pr million om året i USA). Median alderen for nye patienter blandt børn er 6,8 år, og MDS forekommer lige ofte hos drenge og piger.

Årsagen til MDS hos børn

MDS kan forekomme i et ellers sundt barn. Noget tyder på, at visse børn fødes med en tendens til at udvikle MDS. Denne tendens eller eksisterende årsag kan opfattes som en årsag der udløses af eksterne faktorer. De mest almindelige forud eksisterende årsager ved MDS er medfødte (til stede allerede fødslen) og genetiske (indprogrammeret i cellerne) syndromer. Disse er til stede hos ca. 50% af børn med MDS. Hvis den eksterne årsag ikke kan identificeres, så betragtes sygdommen som "primær MDS."

MDS kan også udvikle sig i et barn med en kendt allerede eksisterende årsag og kaldes så for "sekundær MDS." Sekundær MDS ses i børn efter kemoterapi eller strålebehandling for en anden cancer. Børn, der får kemoterapi, eller som modtager strålebehandling for potentielt helbredelige kræftformer er i risiko for at udvikle sekundær MDS i op til 10 år efter behandlingen.

Sekundær MDS ses også ved nedarvede knoglemarvssygdomme, som Fanconi anæmi eller Diamond-Blackfan anæmi eller ved erhvervet aplastisk anæmi samt ved familiær MDS. Mens dette er yderst sjældent, synes nogle familier at have en prædisposition for at udvikle MDS. Det er meget sjældent, at familiemedlemmer, herunder søskende, diagnosticeres med MDS.

Årsager, der har været knyttet til udvikling af MDS hos børn er:

- Medfødt knoglemarvsinsufficiens abnormiteter
- Fanconi anæmi
- Kostmanns syndrom
- Diamond-Blackfan syndrom
- Shwachman-Diamond syndrom
- Downs syndrom (trisomy 21)
- Neurofibromatosis type 1 (NF1) mutationer
- Trisomi 8 mosaicisme (nogle men ikke alle celler har en ekstra kopi af kromosom 8)
- Medfødt alvorlig neutropeni
- Blooms syndrom
- Noonans syndrom
- Dubowitz syndrom
- Mitokondrier cytopati
- Familiær MDS eller leukæmi
- Idiopatisk aplastisk anæmi
- Forudgående kemoterapi (behandlingsrelateret MDS)

Der er ingen kendte fødevarer eller landbrugsprodukter, der forårsager MDS. Børn og deres familier er ofte bange for, at MDS kan være smitsom. Der eksisterer intet som tyder på at en virus forårsager MDS, og MDS kan ikke overføres ved personlig kontakt til familiemedlemmer.

Symptomerne på MDS hos børn

I de tidlige stadier af MDS, kan man opleve, at børn ikke har nogen symptomer overhovedet. En rutinemæssig blodprøve kan afsløre cytopeni (lave blodtal). Undertiden er de hvide blodlegemer og blodpladerne lave, mens hæmatokriten er normal. Børn med MDS kan have uspecifikke symptomer såsom en bleg teint, træthed, petekkier (små røde eller violette pletter på huden), eller tilbagevendende infektioner. I nogle tilfælde kan mere alvorlige symptomer som åndenød, svaghed eller blødning være til stede.

Er MDS dødelig for børn?

Knoglemarvens tendens til ikke at danne modne sunde celler er en gradvis proces, og derfor MDS er ikke nødvendigvis en dødelig sygdom. Men nogle børn bukker under af de direkte virkninger af sygdommen og det gradvise svigt af knoglemarven. Et mindre antal af de børn, som får diagnosen MDS, kan udvikle akut myeloid leukæmi (AML).

Pædiatrisk MDS kan have meget forskellige sygdomsforløb og resultat. For eksempel kan nogle børn med refraktær cytopeni eller lavt antal blaster forblive stabile i mange måneder eller år, mens andre hurtigt bliver værre. Monosomi 7 hos børn er ikke forbundet med dårlig prognose, i modsætning til hos voksne; dog har et par undersøgelser antydnet, at børn med monosomi 7 hurtigere udvikler AML.

Hvor alvorlig er mit barns MDS?

Præcis klassifikation af MDS er meget vigtigt for at hjælpe med at forudsige forløbet af dit barns sygdom, og er afgørende for at dit barns hæmatolog kan vælge den bedste behandling. Da MDS sygdomsforløbet varierer meget fra patient til patient, er klassifikationssystemer udviklet til gruppering forskellige "undertyper" af myelodysplastiske syndromer, og flere klassifikationssystemer er til rådighed, der er blevet udviklet fra de, der anvendes til voksne MDS patienter (Se: *Hvor alvorlig er min MDS?*).

WHO klassifikationssystemet er blevet revideret for at gøre det mere anvendeligt til MDS hos børn. Det modificerede WHO klassifikationssystem til børn med MDS klassificerer myelodysplastisk og myeloproliferative sygdomme i tre hovedgrupper: 1) voksen-typen MDS, 2) Down syndromer, og 3) juvenil myelomonocytisk leukæmi (JMML).

Revideret WHO klassifikation af myelodysplastiske syndromer hos børn (2008)

Myelodysplastisk Syndromer

- Refraktær cytopeni (RC) - < 2% blaster i blodet, < 5% blaster i knoglemarven
- Refraktær anæmi med overskud af blaster (RAEB) - > 2% blaster i blodet, 5-19% blaster i knoglemarven
- Refraktær anæmi med overskud af blaster (RAEB-t) - 20-29% blaster i knoglemarven
- AML med MDS-relaterede ændringer - > 20% blaster i både blod og knoglemarv

Myelodysplastisk / Myeloproliferative sygdomme

- Juvenile myelomonocytisk leukæmi (JMML)

Downs syndromer

- Forbigående unormal myelopoiese
- Myeloid leukæmi fra Downs syndrom

Downs syndromer

Ca. 10% af nyfødte med Downs syndrom udvikler en forbigående myeloproliferativ sygdom (TMD). Ved TMD er der et unormalt højt antal umodne hvide blodlegemer i blodet. De fleste børn med TMD bliver af sig selv raske indenfor nogle uger. Hos et mindretal af børnene udvikles en form for akut myeloid leukæmi (AML) kaldet M7-AML. Myeloid leukæmi hos børn med Downs syndrom er relateret til MDS, men har sine egne særlige kendetegn.

Blastceller fra næsten alle disse børn har en specifik abnormitet i genet, som styrer normal udvikling af røde blodlegemer og blodplader. Denne mutation kan vise sig at være nyttig ved diagnose af sygdommen - og måske senere ved behandling. M7-AML er meget følsom over for kemoterapi. Børn med TMD, der udvikler M7-AML har en god respons på kemoterapi.

Juvenile myelomonocytisk leukæmi (JMML)

Udtrykket JMML omfatter andre børne leukæmier, der tidligere var kendt som juvenil kronisk myeloid leukæmi, kronisk myelomonocytisk leukæmi, og infantile monosomi 7 syndrom. JMML viser sig typisk i en meget ung alder (< 2 år), og er mere almindelig hos drenge end hos piger. Det menes at udgøre omkring 25% af alle børn med MDS. JMML er ofte forbundet med andre arvelige sygdomme og andre knoglemarvssvigt syndromer. Ved JMML, udvikler mange knoglemarvsstamceller sig til to typer af hvide blodlegemer: monocytter og myelocytter. Nogle af disse celler forbliver umodne eller sprænger cellerne, og kan ikke udføre deres normale funktioner. Deres ophobning i knoglemarven kommer i vejen for produktionen af røde og hvide blodlegemer, hvilket kan føre til anæmi og infektion.

Patienter med JMML kan have varierende udvikling baseret på faktorer som, alder ved diagnose, blodpladetal, niveau af føtalt hæmoglobin, eller eventuelle ændringer i kromosomerne.

Hvordan behandles MDS hos børn?

Der er mange overvejelser ved behandling af MDS i barndommen (Se: *Generelle principper for behandling af MDS*). Mange af de strategier, der anvendes til behandling af voksne med MDS er i pædiatriske kliniske forsøg ved at blive undersøgt til anvendelse på børn (Se: *Kliniske forsøg*). Allogen hæmatopoietisk stamcelletransplantation (HSCT) er den bedste mulighed for at blive rask for børn (Se: *Knoglemarvstransplantation*).

Forskellen på MDS hos voksne og børn

Kriterier	Voksne	Børne
Frekvens (millioner/år)	> 30	0,5 - 1,0
Refraktær anæmi med ringsideroblaster (RARS)	20 - 35 %	< 2 %
Cytogenetiske afvigelser	30 - 50 %	50 %
Mutation af Ras genet	Almindelig	Sjælden
5q- mutation	20 %	< 2 %
Monosomi 7 mutation	8 - 10 %	30 %
Formål med behandling	Paliativ	Helbredende

Information om MDS og kræft hos børn

www.alexslimonade.org

Alex's Lemonade Stand Raises money and awareness for pediatric cancer causes, primarily for research into new cures and treatments.

www.cancer.org

American Cancer Society 250 Williams Street, NW Atlanta, GA 30303 800-ACS-2345.

www.aspho.org

American Society of Pediatric Hematology/Oncology (ASPHO) 4700 W. Lake Avenue Glenview, IL 60025, USA. Phone 847-375-4716, and fax 847-375-6475.

www.aamds.org

Aplastic Anemia & MDS International Foundation 100 Park Avenue, Suite 108 Rockville, MD 20850, USA. Phone 301-279-7202.

www.bmtinfonet.org

Blood & Marrow Transplant Information Network 2900 Skokie Valley Road, Suite B Highland Park, IL 60035, USA. Phone 847-433-3313 or 888-597-7674, and fax 847-433-4599.

www.candlelighters.org

Candlelighters Childhood Cancer Foundation Provides information and awareness to support children with cancer and their families, and supports research.

www.clf4kids.com

Childhood Leukemia Foundation Supports children with cancer and their families,

www.ewog-mds.org

EWOG (European Working Oncology Group). www.jmmlfoundation.org
JMML Foundation 9921 Carmel Mountain Road #170 San Diego, CA 92129, USA Phone 858-243-4651.

www.marrows.org

National Marrow Donor Program 3001 Broadway Street N.E., Suite 100 Minneapolis, MN 55413, USA.
www.cancer.org/cancertopics/pdq/cancerdatabase
National Cancer Institute's Physician Data Query (PDQ) Comprehensive Cancer Database Includes disease and treatment summaries for major types of pediatric cancers, including MDS.

www.cancer.gov/clinicaltrials

National Cancer Institute's Clinical Trials Database Listing of clinical trials for all types of cancer, including MDS.

www.pedimds.org

Pediatric Myelodysplastic and Bone Marrow Failure Registry Children's Hospital Boston Department of Hematology Fegan 7 300 Longwood Avenue Boston, MA 02115, USA. Email: MDS@childrens.harvard.edu.

www.acor.org/ped-onc

Pediatric Oncology Resource Center Resources for parents, friends, and families of children with cancer.

www.leukemia.org

The Leukemia & Lymphoma Society 1311 Mamaroneck Avenue, Suite 130 White Plains, NY 10605, USA.

www.mds-foundation.org

The MDS Foundation, Inc. 4573 South Broad Street, Suite 150 Yardville, NJ 08620, USA. Phone 609-298-1035, and faxoutside US) 609-298-0590

- Bob Weinbergs patienthistorie
- William Pearsons patienthistorie
- Janet Pearsons pårørende historie
- Ryan Szantos patienthistorie

Mit navn er Bob Weinberg. Jeg blev diagnosticeret i 1998 i en alder af 48 år med MDS-RARS (refraktær anæmi med ringsideroblaster). Her er mine tal: Siden da har jeg modtaget over 850 poser røde blodlegemer. Mine hvide blodlegemer ligger omkring 2,0, mit absolutte neutrofilantal (ANC) mellem 500 og 700, og mine blodplader mellem 30.000 og 40.000. Min blast procent er under 5%. Min nuværende transfusionsfrekvens er hver 7-8 dage. Jeg tager 2.500 mg Exjade® dagligt. Min ferritin niveau, som måles hver måned, varierer fra 450 til 700. Jeg får lavet en MRI scanning hvert år af mit hjerte og lever for at se om der er indlejret jern i disse organer.

Min MDS historie begyndte i vandet. I mine 30'ere og 40'ere, var jeg en ivrig svømmer. Hver morgen inden arbejdet hos et stort advokatfirma i Philadelphia, gik jeg i søvne til det lokale YMCA for at svømme mine daglige 1,5 km - 36 gange frem og tilbage. Jeg var blot en af en gruppe af søvnige mennesker, der begyndte dagen med en svømmetur. Side om side, glider vi gennem vandet, og er konkurrence ivrige af natur. Hver vidste vi, hvilke svømmere ville passere os og hvilke svømmere vi ville passere. Indtil vinteren 1997 og foråret 1998. Det var, da jeg en morgen fandt den daglige svømmetur unaturlig. Dem jeg normalt svømmede forbi begyndte at passere mig. De, der normalt passerede mig en gang hver fjerde omgang passerede mig dobbelt så ofte. Så for at opbygge min udholdenhed, troede jeg, at jeg også skulle løbe. Efter at have løbet mindre end længden af en boligblok, måtte jeg stoppe, nærmest knæle over med en skarp smerte i mit bryst, svær åndenød, ømme ankler, et bankende hjerte og svimmelhed. Noget var galt, så jeg opgav at løbe efter dette ene forsøg og vendte tilbage til svømmebassinet. Over de næste par måneder, faldt min udholdenhed og styrke til hvor hver eneste af mine med svømmere passerede mig. Jeg kunne ikke engang svømme seks omgange. Jeg begyndte at have behov for en lur om eftermiddagen - som 48 årig. Det var tid til at se en læge og have min første fysiske undersøgelse nogensinde.

Det var en fredag, og tirsdag morgen lærte jeg ordene "myelodysplasi" og "sideroblastisk anæmi." Jeg gik lige til internettet. Det første punkt, der kom op var en artikel om Carl Sagan. Jeg vidste, jeg var i gang med en game-changer. Mine søskende blev testet med henblik på en knoglemarvstransplantation, men ingen af dem var et match. Min praktikant i advokatfirmaet ringede til mig og spurgte om "mine sager var i orden". Det var på det tidspunkt, at en hæmatolog på det lokale hospital fortalte mig, at han havde patienter som mig med lav hæmoglobin, men håndterbare blodplader og hvide blodlegemer, der havde levet på transfusioner i 15 år. Jeg besøgte derefter en MDS specialist ved et større universitetshospital "for a second opinion". Han sagde, at jeg ikke skulle forvente at leve mere end fem år. Jeg fortalte ham, at jeg havde et bedre tilbud fra en hematolog på det lokale hospital, og han sagde, at det kunne han ikke matche. Så selvfølgelig, tog jeg højeste bud og det lokale hospital er, hvor jeg er blevet behandlet de sidste 14 og et halvt år.

Ikke at jeg ikke besøgte de bedste af de bedste i eksperter i løbet af de næste 10 år - Stanford University, Memorial Sloan Kettering, Moffitt Cancer Center, University of Rochester, Mt. Sinai. Jeg husker mit første besøg med en international MDS ekspert. Jeg spurgte ham, hvad der forårsager MDS. Han svarede hurtigt, "Bad luck". Jeg tog Revlimid® som en del af et klinisk forsøg, men det eneste der skete, var at mine blodtal faldt og mit hår kløede. Jeg tog Vidaza®, og det virkede i 5 måneder, men indenfor mindre end et år på det, var jeg tilbage på en 14-dages transfusionsfrekvens.

Så fløj familien til Seattle i begyndelsen af 2006. Vi besøgte Fred Hutchinson Cancer Center, som jeg fik at vide, var stedet for MUD (matchede urelaterede donor) knoglemarvstransplantationer. Lægen pladserede min kone, min 23-årige datter, og mig omkring et lille rundt bord i et lille rum uden vinduer og fortalte os, at jeg kun havde seks måneder at leve i med mindre jeg underkastede mig en knoglemarvstransplantation med en ubeslægtet donor. Chancerne for at overleve i 5 år var 65%. Så jeg varslede mit arbejde og min kone og jeg lejede en lejlighed i Seattle. Men først, tog jeg en 10-dages motorcykel tur rundt i Europa, hvor jeg bekvemt brækkede min ankel, da min Ducati skred op på grus og landede på min fod. Det udsatte transplantationstidsplanen. Benene ville ikke heles, når immunforsvaret var så undertrykt, som det er ved en BMT. Men da min ankel var helet, besluttede jeg mig for ikke at sige ja til en knoglemarvstransplantation med en ubeslægtet donor. Det er 6 og et halvt år siden. For nylig blev der fundet endnu en donor, og jeg lærte, at med donorerne til rådighed, og de milliarder af antistoffer jeg havde opbygget fra de mange blodtransfusioner, skulle jeg kun overveje en BMT som min allersidste mulighed. Så jeg holder mig til transfusioner.

Bob Weinbergs historie

I 2009, var min transfusionsfrekvens nede på 10 dage, og jeg vaklede mellem presset på arbejdet, og afbrydelser for at få taget blodprøver, blodtransfusioner og en følelse af elendighed. Så jeg skar min arbejdsbyrde med 80%, blev yderligere involveret i MDS Foundation og brugte meget mere tid på at gå med min hund. I mellemtiden, synes antistoffer at ødelægge transfunderet blod hurtigere og forhindre mig i at få helt det samme energi løft, som jeg plejede at få fra en transfusion. Men tiden gik videre, og jeg har ingen fornemmelse af, at noget er ved at være slut.



I erkendelse af, at MDS kommer i mange former og størrelser, har jeg levet efter følgende:

- Du må ikke bekymre dig om noget, der kan ske i fremtiden. Du kan bekymre dig om det, når det sker.
- Gør alt, hvad du kan for at blive informeret, så du kan foretage oplyste behandlingsvalg.
- Du må ikke blive fanget i den tro, at du er i en kamp, hvor du har en vis kontrol over, om du vinder eller taber. Vi er i verden af ting, som vi ikke har kontrol over.
- Hvis tingene ikke fungerer, er det ikke fordi du ikke kæmper nok, eller du ikke har tro nok, eller andre ikke beder nok for dig.

Bob Weinberg

Hej. Mit navn er William Pearson. eg er 76 år og bor i Hamilton, Ontario, Canada. Jeg er født og opvokset i Nelson, Britisk Columbia. Efter skole, spillede jeg ishockey i to år og derefter arbejdede jeg 45 år i stålindustrien. Efter min pensionering, startede jeg som konsulent for erhvervslivet. Mine rådgivningsprojekter tog mig til forskellige dele af Canada, Tyskland og Polen. I Krakow, Polen lå vores kontor i gåafstand fra mit hotel, og derfra var arrangeret transport til forskellige stålværker i området. En uge inde i projektet, begyndte jeg at mangle energi på min morgentur til kontoret. På dette tidspunkt fandt jeg spadsereturen vanskelig og begyndte at tage taxa frem og tilbage. Turene rundt på stålværkerne blev vanskeligere. Trapper til dæk i anlæggene blev sværere at klare. Jeg opdagede at jeg skulle tage en pause for hver 5 eller 6 trin før jeg kunne fortsætte.

Efter min tilbagevenden til Canada, bestilte min familie læge en række blodprøver ved mit første besøg. Hun ringede til mig efter at have modtaget resultaterne. Mit hæmoglobin niveau var 88 mg/dl (eller 5,5 mol/l) - langt under det normale område. Hun henviste mig til en hæmatolog. Heldigvis, var det ikke en for mig ukendt hæmatolog, da jeg tidligere havde talt med den pågældende om andre problemer. Jeg finder det mere trygt, at se en læge, som jeg kender. Denne hæmatolog gentog blodprøverne og ved næste besøg, fik jeg taget en knoglemarvsprøve - biopsi og aspirat. Det var i januar 2003 og mit hæmoglobin niveau var nu 81 mg/dl (5,1 mol/l).

Ved et opfølgende besøg 6 uger senere, fortalte hun, at resultaterne ikke så godt ud. Hun havde behov for at gentage knoglemarvsprøven for at få materiale at sammenligne med. Jeg driller hende stadig med, at hun med vilje bøjede nålen under den anden knoglemarvsprøvetagning, men hun fastholder, at det var min knoglestruktur var blevet meget hård, og at det intet havde med hende at gøre. På dette tidspunkt, den 19. marts 2003, begyndte jeg, at få transfusioner af røde blodlegemer for at holde hæmoglobinniveauet.

Ved mit næste besøg, fortalte hun, at resultaterne af de to knoglemarvsprøver pegede på diagnosen MDS. Jeg kan ikke huske nogen frygt eller bekymring, andet end: Hvad nu? Vi diskuterede muligheden for en stamcelletransplantation. Hvis det skulle ske, så ville min søster være den bedst egnede donor. Jeg ringede til min søster for at drøfte dette med hende. Min søster Jane bor på vestkysten, omkring 5 timer med fly fra Hamilton. Hendes svar var, "Hvor hurtigt vil du have mig der?" En knoglemarvstransplantation tager tid at planlægge og ikke alle patienter er i stand til at få en allogen knoglemarvstransplantation. Min alder på det tidspunkt 60+ var en faktor - lidt ældre end grænsen for hvornår denne type transplantation anbefales. Så lægen foreslog en pille, Danazol®, som skulle kunne hjælpe min knoglemarvsfunktion med at blive bedre. Hun fortalte, at baseret på hendes erfaringer, så virkede det i omkring 5% af hendes patienter.

Efter en periode, stoppede stoffet med at virke, og jeg fik 2 poser røde blodlegemer hver anden uge fra april 2007 til januar 2008. Som følge af alle disse blodtransfusioner ophobedes jern i min krop. Min læge henviste mig til et større cancer center i Toronto, omkring 60 kilometer væk. Hospitalet, Princess Margaret Hospital har ry for at være et af de førende cancer centre i verden. Min første konsultation var i begyndelsen af september 2007. Jeg blev henvist til hospitalet i håb om at passe ind i et klinisk forsøg med nye behandlinger for MDS. Efter endnu en knoglemarvsprøve og flere besøg, blev det bestemt, at jeg ikke opfyldte kriterierne for at deltage i et af lægemiddel forsøgene.

I december 2007 ønskede en hæmatolog ved Princess Margaret Hospital, at jeg skulle prøve stoffet cyclosporin (immunundertrykkende). Efter at have læst litteratur om stoffet, besluttede jeg, at det ikke var for mig. En stor fejl fra min side. Min kone og jeg fik at vide, at lægen gerne ville se os hver 2. uge i 3 måneder. Vi udviklede beundring og respekt for hende. Da hun igen sagde det var den bedste behandling for mig, og at vi skulle overveje det, kom vores "ja" meget hurtigt. Resultaterne var meget positive. Ved en af mine konsultationer sagde lægen og Janet (min kone) i kor "phlebotomy". Jeg fik tre i alt, hvilket bragte min jernophobning ud af det kritiske område.

I dag er jeg stadig på cyclosporin og det holder min hæmoglobin på omkring 105 mg/dl (6,5 mol/l). Vi kan ikke øge dosis, fordi cyclosporinen har påvirket min nyrefunktion.

William Pearsons historie

Hvordan er min livskvalitet?

For at opsummere, så har der for det meste været meget få ændringer. Nogle dage er værre end andre. Et eksempel er, at kunne gå en kilometer en dag uden at stoppe, og andre dage skulle stoppe et øjeblik hver 5 meter. At løfte er besværligt. Husarbejde udtømmer min energi - engang min undskyldning, men det virker ikke altid for Janet ved, at det er en dårlig undskyldning for at undgå det.

Vi rejser stadig. I 2011 tog vi en ferie i Skotland i forbindelse med MDS Foundation International Symposium. Janet og jeg talte på et MDS forum for patienter og deres pårørende fra alle de europæiske lande. Vi rejser på tværs af Canada årligt til vestkysten. Jeg spiller stadig golf med brug af en vogn. Golfklubben sætter et flag på min vogn for at tillade mig at tage den til så tæt på min bold som muligt - undtagen på greens.

Hvad frygter jeg?

Jeg er en smule bekymret for mit liv med MDS. Jeg dvæler ikke ved det, og for det meste har jeg ingen frygt. Det eneste der får følelserne i gang, er når jeg venter på resultaterne på en blodprøve.

Tidligt i min diagnose blev jeg en del af Leukemia Lymphoma Societys første kontakt program. LLS kontaktede mig når en person ville gerne tale med en anden med MDS. Som den eneste patient med MDS i deres databank, blev jeg spurgt, om jeg ville kontakte en person med MDS - 95% af de kontakter var fra USA. Jeg tror, at følelserne ved at hjælpe en anden tog mine bekymringer.

Jeg har set en væsentlig ændring i de sidste 1 1/2 år. MDS er ikke længere i skabet, så at sige. Et væsentligt eksempel er Robin Roberts, vært på ABCs Good Morning America. Robin fortalte offentligt på dette TV program om sin MDS, og der kom mange historier om MDS i aviser over hele landet. ABC fortsætter med opdateringer.

Hvad er mine håb for fremtiden? Jeg er ikke sikker på, hvordan en 76-årig mand skal føle, livskvalitet og livslængde er mine største håb, og jeg ville være tilfreds med status quo. Jeg håber i min levetid, at jeg ser forskning føre til behandling af alle typer MDS.

William Pearson

Mit navn er Janet Pearson og min mand William har myelodysplastisk syndrom.

Den første diagnose var i 2003 - for 10 år siden, da internet beskrivelser og prognoser for MDS var mere skræmmende end håbefulde. I 2002 var William i Polen i to uger og ved hans tilbagevenden konsulterede han vor familie læge. Blodprøverne, som blev taget ved dette besøg viste et hæmoglobinniveau på 88 mg/dl (5,5 mol/l). Han blev derefter henvist til en hæmatolog.

En knoglemarvstransplantationprøve blev taget i januar 2003. På det tidspunkt var Williams hæmoglobinniveau på 81 mg/dl (5,1 mol/l). Vi talte med en hematolog om en knoglemarvstransplantation, men hans alder var en bekymring. Lægen startede William på et lægemiddel, der fastholdt hans hæmoglobinniveau, og opretholdt hans og min livskvalitet i omkring 4 1/2 år.

Vores liv fortsatte som om intet truede vores liv sammen. Vi spillede golf sammen, holdt ferier sammen, og deltog i sociale aktiviteter. William rejste på forretningsrejser til Europa, og hans liv synes uændret. Jeg arbejdede, spillede klaver, malede, gik til yoga og nød de daglige aktiviteter, der var en del af en afslappet livsstil.

I april 2007 blev vores liv ændret ved et hospitalsbesøg klokken 4.00 om morgenen. Williams hæmoglobin var 80 mg/dl (5,0 mol/l), hvilket betød endnu en knoglemarvsprøve, blodtransfusioner og andre diagnostiske test for at finde en mulig kilde til blødning. De diagnostiske tests viste sig at være normale. Knoglemarvsprøven bekræftede at Williams MDS havde udviklet sig til et mere kritisk niveau, hvor en mere aggressiv behandling være påkrævet. Blodtransfusioner fortsatte hver anden uge. Det blev aftalt at konsultere et større cancer center til september. Den første konsultation krævede endnu en knoglemarvsprøve, og ugentlige konsultationer, som blev afløst af konsultationer hver anden uge. Resultaterne af knoglemarvsprøven bekræftede, at denne type af MDS ikke passede med kriterierne for et af de lægemiddelforsøg, der aktuelt var i gang. Disse informationer fik vi under konsultationerne i oktober. Hæmatologen talte dengang om at cyclosporin kunne være en mulighed; men det ville kræve godkendelse fra regeringen for få dækning af den sygesikringen i provinsen Ontario. Behandlingen blev godkendt og William begyndte at tage cyclosporin i januar 2008. Bivirkningerne var skræmmende.

Det var en meget vanskelig tid for mig. Jeg ville ringe hjem fra arbejde flere gange om dagen for at spørge hvordan det gik. Hvis han ikke svarede, ville jeg ringe til min nabo, så hun kunne berolige mig, og lade mig vide, at han var okay. Ofte fandt hun ham sovende i sin stol i haven. Han var så bleg, at hun ville kontrollere om han trak vejret. Hun ville råbe hans navn for at vække ham. Alle bemærkede en forandring hos William.

Da William havde jernophobning talte jeg med en diætist og spurgte om kost og fødevarer vi skulle undgå. Te var noget, hun anbefalede og hvis man spiste rødt kød så drik altid et glas cabernet sauvignon vin, ikke Merlot, ikke Shiraz, men cabernet sauvignon. Da Williams hæmoglobin nåede 140 mg/dl (8,8 mol/l) tænkte jeg på phlebotomi, og delte idéen med William og hæmatologen. Han fik phlebotomi tre gange for at fjerne det overskydende jern. Jeg troede også på bevægelse, og vigtigheden af at komme ud gå 3 korte ture af 10 minutter hver dag. Når kreatininen øges i kroppen, så er det vigtigt at drikke mere vand. Jeg minder ham stadig om at drikke vand.

Jeg er her ikke for at fortælle min historie, men det er hvad jeg føler jeg gør, MDS har indtaget så meget af min tid. Hvordan har det påvirket mig? Jeg bekymre mig, jeg bekymre mig. Frygt har nogle gange overvældet mig. Frygt for at være alene, frygt for hvad han har at gå igennem, frygt for det ukendte. Jeg ved, jeg kan ikke gøre noget ved det. Det er vanskeligt at dele denne frygt med andre, der ikke forstår MDS. De ser på ydersiden, jeg fremstår som en kvinde der er godt sat sammen. Jeg forekommer at være rolig, men mit indre er ikke roligt. Jeg har fået at vide, at jeg er en tålmodig og venlig person, og jeg holder så meget af ham.

Jeg føler, at jeg er blevet kompromitteret af frygt. Vi plejede at gå flere kilometer, snakke og grine. Gåture i et godt tempo, og i al slags vejr, det være sig sol, regn eller sne. Vi ville sidde udendørs sommer aftener, men West Nile Virus har sat en frygt i William og mig. Gåture er nu i et langsommeligt tempo. Turens længde afhængig af dagen kan være meget kort. Denne søndag aften startede William en tur, og han sagde "Lad os gå ned til søen." Vi gik 2 kilometer. Det var en smuk aften. Den følgende aften var dog anderledes. At gå nogen afstand var umuligt, og han var sikker på, at det var fra turen aftenen før. Så du ser, jeg tager imod impulsive og specielle øjeblikke.

Janet Pearsons pårørende historie

Sidste år i september - det er normalt, det tidspunkt vi tager på ferie - rejste vi ikke. William havde en gammel sports skade, der blussede op og begrænsede hans mobilitet. Derfor var hvile, is og varme var på dagsordenen. På det tidspunkt begyndte jeg at gå med min nabo mellem 7 og 8 om morgenen fra mandag til fredag. Det føltes fantastisk. Vi går stadig på de dage, hvor jeg har fri fra arbejde. Dette er min tid.

Jeg har skrevet breve til William om min frygt og min frustration, men har aldrig delt dem med ham. Jeg elsker mit liv med William; Jeg værdsætter de øjeblikke, vi deler sammen. Jeg nyder de små ting som madlavning sammen, indkøbsture, korte gåture, og hvad ferie vi kan tage.

Mit job er en administrativ stilling på intensivafdelingen på hospitalet. Det faktum, at dette er et høj-risiko område på hospitalet, gør at jeg føler de daglige belastninger, der omfatter patienter og deres familier, også bidrage til min frygt. Med frygt, frustration og usikkerhed, er det vigtigt at passe på sig selv som en pårørende og hustru. Tag dig tid til dig selv. Jeg kan lide at læse, at have frokoster med venner, at strikke og at gå. Jeg starter med yoga til november sammen med en ven.

Janet Pearson

Hej, mit navn er Ryan Szanto. Jeg er 74 år og har været MDS patient i 15 år. Jeg håber at kunne overbringe mine erfaringer med at leve med MDS. Jeg håber også mine mange år med MDS vil give andre håb og opmuntring, i deres liv med MDS.

Under et rutinemæssigt sundhedstjek i juli 1996, fik jeg diagnosen anæmi. Jeg var en meget aktiv person, der var meget udendørs, og følte ikke, at der var noget galt med mig, så jeg gjorde intet ved det. Et år senere, ved endnu et sundhedstjek, skrev lægen med rød pen i en cirkel: Tydelig Anæmi. Han anbefalede, at jeg konsulterede min familie læge. Det skete i august 1997, og fik over en periode på 5 uger taget en række blodprøver. Min familielæge fortalte mig, at de ikke vidste, hvad der var galt med mig, og anbefalede, at jeg så en hæmatolog / onkolog. Hvilket jeg gjorde.

En knoglemarvsbiopsi blev udført, og det blev fastslået, at min anæmi skyldtes MDS. Denne læge bad mig komme en gang om måneden for at få taget blodprøver. Sådan gik der 15 måneder. I januar 1999 begyndte jeg på Procrit injektioner, 30.000 enheder en gang om ugen. I løbet af de næste 5 år og 9 måneder, blev dosis af Procrit gradvist øget fra 30.000 til

80.000 enheder om ugen for at holde et rimeligt hæmoglobinniveau. I december 2005 skiftede jeg fra ugentlige injektioner af Procrit til injektioner af Aranesp® hver anden uge. Det var en velsignelse. Jeg startede med en dosis Aranesp® 300 mikrogram hveranden uge i lidt over et år og fortsætter nu med 400 mikrogram hveranden uge. Jeg har fået i alt 176 Aranesp® injektioner i perioden indtil oktober 2012.

I juni 2001 startede jeg på blodtransfusioner, og i perioden indtil oktober 2012 havde jeg fået 377 poser blod. Fra juni 2004 oplevede jeg jernophobning. Mit ferritin niveau var steget til 2990 grundet blodtransfusionerne, så jeg begyndte jernkelerende behandling med lægemidlet Desferal®, som gives med en infusionspumpe i 12 timer om dagen, 5 dage om ugen. Denne behandling fortsatte jeg med i halvandet år.

I efteråret 2005 fortalte MDS Foundation mig, at der var en ny oral medicin, Exjade®, som kunne anvendes til behandling af jernophobning. Exjade® var klar til FDA godkendelse i Washington, DC, og jeg blev bedt om at fortælle om, hvorfor stoffet burde godkendes. Jeg var begejstret for at deltage. Det ville være vidunderligt at slippe for pumpen. Jeg deltog sammen med 14 andre patienter, der også havde udviklet jernophobning som følge af blodtransfusion i forbindelse med sygdommen som MDS, aplastisk anæmi og thalassæmi. Heldigvis blev det godkendt. Jeg begyndte at tage Exjade® 1,500 mg daglig i januar 2006. Hurra !!! Dette var en velsignelse. Hver morgen opløste jeg Exjade® tabletterne i vand og drak det. Jeg har været på Exjade® lige siden, bortset fra 6 måneder, da mit ferritin niveau var lavt nok (312) til at jeg kunne undvære det. Doserne har varieret noget gennem de sidste 7 år. I øjeblikket tager jeg 1000 mg om dagen.

I september 2004 stoppede Dr. Alan List ved Moffitt Cancer Research Center mine Procrit injektioner for at mit system blev rensat, så jeg kunne deltage i et lægemiddelforsøg med stoffet CC5013 (Revlimid®). Min diagnose var MDS med undertypen refraktær anæmi med ringsideroblaste eller RARS. Revlimid virkede ikke for mig. Det virkede for patienter med 5q- kromosomfejl, og resultaterne for disse patienter var forbløffende. De fleste patienter med 5q- kromosomfejl havde en signifikant reduktion i deres transfusionsbehov; nogle havde ikke længere behov for transfusioner. Halvvejs gennem forsøget, havde jeg en følelse af at det ikke virkede for mig, men jeg gennemførte forsøget, fordi jeg vidste, at de erfaringer man havde indsamlet fra mig senere ville kunne gavne andre MDS patienter.

I løbet af de sidste 15 år, har jeg fået foretaget 7 knoglemarvsundersøgelser. MDS klassificeres som værende høj eller lav risiko. Jeg er i kategorien lav risiko og mine knoglemarvsundersøgelser har ikke ændret sig i løbet af disse 15 år.

Under de første 3 år med MDS, kunne jeg ikke finde nogen ikke-MDS-specialister, der vidste noget om sygdommen. Og dengang, var der ikke meget - om nogen - forskning omkring MDS. Den første forskning, der fandt sted var rettet mod høj-risiko MDS patienter. Det kan jeg godt forstå, fordi de har en større risiko for at ende med leukæmi. Der er nu forskning rettet mod både høj- og lav-risiko MDS patienter. Den gode nyhed er, at der er over 100 MDS forskningscentre fordelt over hele verden.

Ryan Szantos historie

Da jeg først blev diagnosticeret med anæmi og senere med MDS, benægtede jeg dette. Det varede halvandet år. Som tiden gik, indså jeg, at ikke mange mennesker vidste noget om denne sygdom, så jeg besluttede at finde ud af alt jeg kunne, og jeg begyndte at føre detaljerede optegnelser over, hvad der foregik. Jeg vidste, at min krop var Herrens tempel, og jeg havde et ansvar for at tage mig af det. Det var på denne baggrund, at min benægtelse, ændrede sig til en positiv holdning. Jeg startede med at læse alt, hvad jeg kunne, også på internettet, tale med min læge, og deltage i MDS patient fora arrangeret af MDS Foundation. Faktisk fortsætter jeg med at deltage i et eller to fora om året. Disse fora har været meget lærerige; vi hører fra læger og sygeplejersker på området og fra patienter, der deler deres erfaringer, spørger, og diskutere spørgsmål.

Jeg har også medvirket i flere videoer for producenten af Exjade®. Denne involvering har fået mig til at indse, hvor meget jeg sætter pris på, at der blev fundet en bedre måde at håndtere jernophobning på. Jeg registrerede min data i "National MDS Registry" i juni 2008. Det er et register, der indsamler detaljerede oplysninger om MDS patienter på landsplan. Deres mål er at hjælpe MDS patienter ved at bestemme, hvad ligheder og forskelle der er imellem patienter, (Hvad virker på hvem, og hvad virker ikke.)

Udover at lære alt, hvad jeg kan om MDS ad flere veje og blive involveret, har jeg også brugt min tro til at bede for og opmuntre andre patienter. Hver gang jeg stiger ud af min bil ved et Oncology Center eller Infusion Center, beder jeg Herren om at lade en person krydse min vej, som Han vil have mig til at tale med, opmuntre, eller bede for. Han ærer denne anmodning hver gang. Jeg takker også de sygeplejersker, der tager sig af mig, og hvis de har brug for at bede, beder jeg med dem. Når jeg går til blodbanken, præsenterer jeg mig selv for donorerne og takker dem for at holde mig i live.

Jeg mener, at dette engagement er det, der holder mig i gang. Min positive holdning og tro styrkes hver dag.

For at opsummere, vil jeg sige, at det gælder om at lære alt, hvad du kan om MDS, holde dig ajour om forskningen, og forblive positiv og motiveret samt involvere dig i patientfora. Stil spørgsmål til din læge og sygeplejersker, og mest af alt behold Gud som din pilot. Ja, det er rigtigt, jeg er ikke blevet helbredt fysisk, men Gud har helbredt mig åndeligt og min ånd er, hvad der vil leve videre for evigt. Jeg takker MDS Foundation for at tillade mig at dele denne tid med dig. Må Gud velsigne dig nu og for altid.

Ryan Szanto

MDS Lyn-Tips

Der er en række symptomer, som du (eller dine nærmeste) kan opleve, mens I lever med din MDS. Lyn-Tips er et kapitel i MDS - En vej med Håb og giver retningslinjer for hvordan du holder øje med dine symptomer og om nødvendigt rapportere dem til din læge.

Du vil også få praktiske strategier til forebyggelse af mere alvorlige symptomer.

MENTORER

MDS Foundations Internationale Sygeplejerske Panel

Sandra Kurtin
Jean Ridgeway
Jayshree Shah
Mary Thomas
Sara Tinsley

Menicus Educational Institute

Karen Abbas

forfattere

Nikki Barkett
Rochelle Chiffelle
Angela Flowers
Christopher Flowers
Denice Gibson
Carol Guarnieri
Cynthia G. Paul
Patrice Welsh-Benjamin

Diskuter risici og fordele ved enhver behandlingsmulighed med dit sundhedshold - læge og sygeplejerske m.fl., som du har kontakt med.

Vær sikker på at du drøfter eventuelle problemer du oplever med dem.

Afhængig af dine symptomer, og hvor tilpas du føler dig, kan din pleje og behandling blive ændret for at du skal føle dig bedre tilpas.

Sørg altid for at holde alle aftaler med læger og andre sundhedsprofessionelle.

Vær ikke bange for at bede familie og venner om hjælp.

Definition: Angst er en almindelig reaktion, når man får at vide, at man har MDS. Det er en vag, ubehagelig, og urolig følelse af potentielle skader eller lidelser.

Mange har svært ved at forstå, hvorfor de har disse følelser, men finder dem helt sikkert ubehagelige. Angst kan spænde fra en mild og vag fornemmelse af, at noget kan være forkert, til en overvældende følelse, som griber ind i ens evne til at fungere.

Alle mennesker oplever perioder med angst i deres liv. At starte et nyt job, at begynde på universitetet, eller at flytte til en ny by, er alle eksempler på begivenheder, der kan forårsage en vis mængde af angst. At få en diagnose med en sygdom, du sandsynligvis ikke har hørt om før, kan også forårsage en vis mængde angst.

Fordi MDS er en sjælden sygdom, er der færre almindeligt kendte oplysninger om sygdommen. Usikkerhed om MDS diagnosen, hvilken behandling der vil være den rigtige for dig, hvordan behandlingen vil virke, og hvilke bivirkninger du måske vil opleve bidrager alle til din angst.

Angst kan forstyrre ens evne til at koncentrere sig, til at huske, og til at spise eller sove. Mange mennesker har svært ved at træffe beslutninger eller løse problemer, og kan være mere irritable. Hovedpine, diarré, åndenød eller hjertebanken kan opstå, hvis angsten er alvorlig.

Ting du selv kan gøre:

1. Studer "MDS - En vej med Håb". Bogen indeholder en række ressourcer som kan hjælpe dig med at forstå din diagnose, dine behandlingsmuligheder og strategier, så du kan tage aktivt del i dit liv med MDS.
2. Tillad dig at bruge tid på at vænne dig til din MDS diagnose.
3. Vurder andre dele af dit liv, hvor du har haft succes med at mestre kontrol - brug disse teknikker til at hjælpe dig med de udfordringer, du står overfor, når du skal leve med MDS.
4. Forenkelt dit liv. Fjern eller formindsk de aktiviteter, der ikke er afgørende for din fysiske og følelsesmæssige trivsel.
5. Bed om hjælp. Det kan være fra familie, venner eller professionelle. Rådgivning fra en psykolog eller socialrådgiver kan også være nyttig.
6. Deltag i en støttegruppe - personligt eller ved computeren. Andre som lever med MDS kan have gode forslag til, hvordan du bedre håndterer denne sygdom. Der er mange aktive MDS støttegrupper. Kontakt MDS Foundation for at få informationer om dem.
7. Udforsk ressourcer, der kan hjælpe dig med at slappe af, som meditation, massage, yoga, eller at lytte til afslappende musik.
8. Spis godt, og oprethold en form for aktivitet.
9. Undgå for meget alkohol eller kaffe/the.
10. Skriv instruktioner og informationer ned, når de formidles gennem tale.
11. Tal med dit sundhedshold - læge og sygeplejersker m.fl. - om andre muligheder for at håndtere din angst. Spørg om medicin mod angst vil være nyttig for dig.

Definition: Anæmi er et fald i antallet af røde blodlegemer i blodet.

De røde blodlegemer transporterer ilt til alle celler og alt væv i kroppen. Ilt er nødvendigt i alle kroppens celler så de kan vokse, og udføre deres specifikke funktioner, og dele sig. Når antallet af røde blodlegemer falder under et vist niveau, så falder koncentrationen af ilt i blodet også, således at celler og væv ikke får nok ilt. Uden ilt kan cellerne ikke udføre deres specifikke funktioner, og de bliver mindre effektive og trætte.

Anæmi er hyppigt hos patienter med MDS grundet den ineffektive dannelse af blodceller i knoglemarven, som er forbundet med denne sygdom. Hvordan anæmi påvirker en person afhænger af personens generelle helbredstilstand, alder og hvor alvorlig anæmien er. Anæmiske patienter oplever generelt træthed og fortæller, at de er trætte meget af tiden og ikke har nogen energi.

Anæmi varierer i alvorlighedsgrad. Ved mild anæmi, føler patienterne sig forholdsvis godt tilpas eller er blot lidt trætte. Ved moderat anæmi oplever næsten alle patienter nogen træthed, som kan være ledsaget af hjertebanken, åndenød og bleg hud. Ved svær anæmi synes næsten alle patienter at være bleget, og fortæller om kronisk overvældende træthed og åndenød. Fordi svær anæmi reducerer blodtilførslen til hjertet, kan ældre patienter være mere tilbøjelige til at opleve kardiovaskulære symptomer, herunder brystmerter. Selvom kronisk anæmi sjældent er livstruende, kan tilstanden drastisk reducere patientens livskvalitet.

Symptomer på anæmi

- Åndenød (især under træning)
- Følelse af træthed og / eller svaghed
- Hjertebanken (uregelmæssig hjerterytme eller hjerteslag springes over)
- Hurtig puls (takykardi)
- Bleg hud
- Brystmerter
- Mental forvirring eller koncentrationsbesvær
- Hovedpine
- Uklarhed eller svimmelhed, især når du står op

Hvordan måles anæmi?

Anæmi er karakteriseret ved en vedvarende lav hæmatokrit (et mål for kroppens andel af røde blodlegemer) og/eller vedvarende lave niveauer af hæmoglobin (det protein, der transporterer ilt til kroppens væv).

Hæmoglobin måles ved en blodprøve og den tilstedeværende mængde udtrykkes i enheden mol per liter, forkortet mol/l. Den normale værdi af hæmoglobin varierer med alder og køn. Anæmi forekommer, når hæmoglobinkoncentrationer falder under 7 mol/l for kvinder og 8 mol/l for mænd. Alvorligheden af anæmi kategoriseres efter følgende hæmoglobin intervaller:

- Mild anæmi - hæmoglobin mellem 6,0 - 8,0 mol/l
- Moderat anæmi - hæmoglobin mellem 5,0 - 6,0 mol/l
- Alvorlig anæmi - hæmoglobin under 5,0 mol/l

Ligesom hæmoglobin, måles hæmatokriten ved en blodprøve. Hæmatokriten er andelen af røde blodlegemer pr liter blod og udtrykt som en procent. Mennesker med et højt volumen af plasma (den flydende del af blodet) kan være anæmiske selv om deres blodbillede er normalt, fordi blodet så at sige er fortyndet. Ligesom hæmoglobin, afhænger en normal hæmatokrit af alder og køn. Voksne patienter anses for anæmiske når hæmatokriten er under 39% hos mænd og under 36% hos kvinder.

MDS og anæmi

Ting din læge kan anbefale

Transfusion af røde blodlegemer for at forbedre de symptomer, du oplever grundet anæmi. Transfusioner af røde blodlegemer betragtes som en form for understøttende behandling. De ændrer ikke de særlige kendetegn ved din MDS sygdom. Fordelene ved transfusion af røde blodlegemer er midlertidige, så gentagne transfusioner kan være nødvendige. Antallet og hyppigheden af transfusioner af røde blodlegemer vil variere fra person til person, baseret på hvor alvorlig deres anæmi er, karakteristika ved personens MDS, og hvilke andre behandlinger personen modtager.

Stimulering af din knoglemarv med **vækstfaktorer** som erythropoietin for at producere flere røde blodlegemer. Hvis injektionerne ordineres, bør du sørge for at få injektionerne efter en fast tidsplan.

Ting du selv kan gøre

Informér din læge, såfremt du oplever tiltagende åndenød, bryst smerter eller hjertebanken.

Følg med i udviklingen af dine blodtal. Lav et skema / oversigt med dine blodtal, blodtype og eventuelle antistoffer i dit blod, datoer for dine transfusioner, og de symptomer du oplever før og efter blodtransfusionerne eller vækstfaktor injektionerne. (Se: Mit Liv med MDS).

Sørg for balance mellem hvile og aktivitet.

Definition: Depression er en almindelig konsekvens af at leve med kræft, herunder MDS. Evnen til at tilpasse sig sin MDS diagnose er forskellig fra person til person. Mens nogle mennesker er i stand til at fortsætte med at leve et fuldt og givende liv, finder andre det stressende at håndtere udfordringerne ved MDS diagnosen.

Der er en række ting, som kan bidrage til følelsen af, at du ikke er i stand til at fortsætte med at gøre de ting, du nyder eller gør hver dag, herunder: nedsat energi (træthed), hyppige læge og/eller klinik besøg, behandling, lave blodtal og muligvis også økonomi. Disse udfordringer er reelle og vigtige. De kan være årsag til situationsbestemt depression. En anden årsag til depression kan være en ubalance i nogle af de kemikalier, der påvirker, hvordan vores hjerne håndterer vores følelser. Uanset årsagen, kan du føle, at dit liv er mindre relevant, eller at du er en byrde for andre.

Ting du selv kan gøre:

1. **Lær de almindeligste tegn på depression at kende:** Manglende interesse eller glæde ved at gøre ting; en følelse af at være nede, eller håbløshed; søvnbesvær; nedsat appetit; tristhed. Hvis du oplever nogen af disse symptomer, kan du have klinisk depression. Spørg nogen, der kender dig godt, om de tror, at du er deprimeret. Alvorlig depression kan få folk til at miste interessen for livet, og føle, at livet er ikke længere værd at leve.
2. **Giv dig tid til at tilpasse dig din diagnose** og ændringer i dine daglige rutiner. Mens du måske ikke kan vende tilbage til en aktiv livsstil, som du engang havde, kan du muligvis erstatte visse aktiviteter med mindre krævende aktiviteter, som stadig er sjove.
3. **Prioriter aktiviteter**, der er nødvendige for at opretholde din fysiske og følelsesmæssige sundhed.
4. **Find aktiviteter, som du stadig kan nyde** - såsom at lytte til musik eller se fodbold. Disse aktiviteter kan hjælpe dig med at opretholde et positivt livssyn.
5. **Fortsæt med en diæt og motion**, der vil hjælpe dig med at forblive så sund som muligt. Få nok hvile.
6. **Undgå alkohol** - det kan gøre din depression værre.
7. Tal med dit sundhedsteam om ressourcer der kan hjælpe dig: sygeplejersker, socialrådgivere, eller psykologer kan hjælpe dig med at gennemgå dine bekymringer og identificere de bedste muligheder for at hjælpe dig.
8. Bøn eller meditation kan også være nyttige til at give fred.
9. **Overvej at deltage i en støttegruppe** - personligt, eller via computeren. Andre der lever med MDS kan have gode forslag til, hvordan man bedst håndterer denne sygdom.
10. **Tal med din læge om antidepressiv medicin.** Disse medikamenter kan være nyttige til at genskabe den kemiske ubalance i hjernen. Med sådanne medikamenter går der typisk 4-6 uger, før du oplever en forbedring. Antidepressiv medicin bør ikke stoppes pludseligt.
11. **Tal med din læge om eventuelle naturlægemidler** eller naturmedicin mod depression. Nogle af disse stoffer - perikon, for eksempel - kan forstyrre anden medicin.

Definition: Diarré defineres som hyppig vandig afføring i en vis mængde.

Diarré kan være forårsaget af medicin, ændringer i kosten, og i nogle tilfælde infektioner. Alvorlighedsgraden af diarré bestemmes generelt ud fra antallet af væskeformige afføringer pr dag. Moderat diarré defineres som 4-6 afføringer om dagen. Svær diarré er defineret som mere end 7 flydende afføringer pr dag, eller inkontinens (at man ikke når til badeværelset i tide). Hyppige flydende eller vandige afføringer kan lede til dehydrering, svaghed og tab af elektrolytter, som er nødvendige for normal kropsfunktion, og nyreskader.

Symptomer på anæmi

- Tynd afføring
- Mavesmerter
- Kramper med eksplosiv flydende afføring
- Ildelugtende flydende afføring

Ting din læge kan anbefale

At du drikker tilstrækkelig - **drik 2-3 liter væske om dagen**. Postevand eller væsker med elektrolytter anbefales.

At du **ikke drikker sportsdrikke eller frugtsaft**, som ofte har høj sukkerindhold. Disse kan gøre diarré din værre.

At du **tager anti-diarré medicin**. Tal med din læge om hvad han/hun anbefaler, og sørg for at spørge hvor stor en dosis du må tage. Nogle af disse typer medicin kan købes i håndkøb, men kan have indflydelse på din MDS behandling.

At du **mødes med en diætist**, som kan hjælpe med at finde frem til den kost, der er bedst for dig.

Ting du selv kan gøre

Drikke 2-3 liter væske om dagen - undgå koffein drikke og drikkevare med højt sukkerindhold.

Straks informere din læge om følgende: blod i afføringen, alvorlige mavekramper, feber, eller symptomer på alvorlig diarré.

Spis små hyppige måltider. Spis en diæt bestående af bananer, ris, æblemos og toast anbefales ofte. Dette kaldes en BRÆT-diæt (På engelsk: BRAT-diet).

Spis ikke visse madvarer som: brune ris, frugt, grøntsager, popcorn, fuldkornsbrød og pasta, alkohol, koffein, chokolade, fed mad, mejeriprodukter med laktose.

Spis madvarer med meget natrium og kalium, såsom bouillon, supper, sportsdrikke med lavt sukkerindhold, kartofler og kiks.

Tag probiotiske kosttilskud eller fødevarer indeholdende probiotika (naturlige tarmbakterier). De kan forbedre din diarré.

Lav en liste over oplevede symptomer, som bekymrer dig. Diskuter denne liste med din læge / sygeplejerske.

Tag varme bade dagligt - vær sikker på, at du er i stand til at komme ind og ud af badet på egen hånd. Hvis ikke, så bed om hjælp.

Vask hænder efter hvert toiletbesøg.

Definition: Kropstemperatur over det normale.

Feber kan være et resultat af infektioner eller kan være en bivirkning ved visse kemoterapi midler, som anvendes til behandling af MDS. Spørg din læge, hvornår du skal fortælle om feber, og hvilken type termometer det er bedst at bruge. Det er vigtigt at MDS-patienter med feber kommer hurtigt under behandling for at begrænse muligheden for at udvikle mere alvorlige infektioner (se: Tips: Neutropeni). Vær opmærksom på, at den normale kropstemperaturer stiger op til 1°C om aftenen.

Symptomer på feber:

- Føle sig varmere end normalt (når det ikke er under en hedebløge)
- Kulderystelser (kan ikke få varme nok selv med tæpper, hakkende tænder)
- Rødmen (rød i ansigtet)
- Følelse af uklarhed eller svimmelhed
- Lavt blodtryk
- Temperatur højere end normalt (normal temperatur er 37,1°C målt i endetarmen)

Ting din læge kan anbefale

At du **tager din temperatur**, når du oplever symptomer på feber. At du **drikker rigeligt med væske** og sørg for masser af hvile.

At du **ikke tager feber reducerende medicin**, fx. acetaminophen, før du har talt med din læge.

Ting du selv kan gøre

Tage din temperatur, såfremt du oplever symptomer på feber. Diskuter med din læge / sygeplejerske hvilken type termometer, der er nemmest / bedst for dig at bruge.

Drikke rigeligt med væske.

Straks kontakte din læge når feberen er over **38,5°C**.

Straks kontakte din læge når du har neutropeni og oplever **kulderystelser**, uanset kropstemperatur.

Følg med i udviklingen af dine blodtal, særligt antallet af hvide blodlegemer og speciel typen neutrofile granulocytter, og skrev ned hvornår du oplever feber, kulderystelser eller infektioner.

Fortæl din læge, hvis du får feber, og dine hvide blodlegemer og/eller neutrofile granulocytter ($<1.000/\mu\text{L}$).

Definition: Forstoppelse er en ubehagelig, undertiden smertefuld, tilstand karakteriseret ved sjælden og vanskelig passage af afføring.

Forstoppelse kan skyldes en række ting, herunder dehydrering, medicin (i særdeleshed narkotika), andre sygdomme såsom diabetes eller irritable tarmsyndrom, kostændringer, immobilitet og ændringer i tarmfunktionen, som er almindelige hos ældre mennesker. Patienter med MDS kan opleve forstoppelse som følge af behandling med sygdomsmodificerende medicin og ved anvendelse af medicin til at forebygge eller bekæmpe kvalme.

Symptomer på forstoppelse:

- Oppustethed
- En fornemmelse af, at du ikke fuldstændig kan tømme tarmen
- Smerter ved afføring
- Belastning ved afføring
- Nedsat appetit
- Smerter i den nedre del af rygsøjlen eller mavesmerter
- Kvalme
- Træthed
- Små hårde klumper afføring
- Små mængder flydende afføring uden fast afføring

Ting din læge kan anbefale

Sørg for at få daglig motion - selv gang kan forbedre din tarmmotilitet.

Drik rigeligt væske - drik 2-3 liter væske om dagen.

Spis kost med naturlige fibre, som i bl.a. frugt; det kan forbedre din tarmfunktion.

Brug afføringsmidler og / eller midler, som blødgør din afføring. Diskuter de bedste muligheder med dit sundhedsplejehold.

Tag ikke kosttilskud med fibre, da de kan gøre din forstoppelse værre.

Tag probiotiske tilskud eller fødevarer, som indeholder probiotika (naturlige tarmbakterier); de kan reducere din forstoppelse.

Brug IKKE stikpiller eller lavementer, p.g.a. risikoen for infektion eller blødning, såfremt du har neutropeni (lavt antal hvide blodlegemer) (neutropeni) eller trombocytopeni (lavt antal blodplader).

Tag et møde med en diætist, som kan hjælpe med at finde den kost, der er bedst for dig.

Ting du selv kan gøre

Vær aktiv dagligt.

Drik 2-3 liter væske om dagen.

Spis kost rig på naturlige fibre, som frugt, grøntsager.

Kontakt læge / sygeplejerske hvis du i en 3 dages periode ikke har haft normal afføring.

Fortæl din læge om: smerter i forbindelse med afføring, blod i afføringen, alvorlige mavesmerter, vedvarende kvalme og / eller opkast.

Lav et skema over hvilke symptomer på forstoppelse du oplever og hvornår; diskuter skemaet med din læge og / eller sygeplejerske.

Tag et varmt bad dagligt. Vær sikker på, at du kan komme ind og ud af badet på egen hånd. Hvis du føler dig usikker, så bed om hjælp.

Oprethold god hygiejne - dagligt bad, god tandbørstning, rengøring efter afføring eller vandladning, vask af hænder.

Definition: Et udslæt er en ændring af huden, som påvirker dens farve, udseende, eller konsistens.

Et hududslæt kan være lokaliseret til en del af kroppen, eller påvirke hele kroppen. Hududslæt er normalt forårsaget af en hudirritation, der kan skyldes kemoterapi, allergi, infektion eller et andet hud problem. Billedet til højre viser et hududslæt i forbindelse med Revlimid (Linalidomid).

Symptomer

Et hududslæt kan være så mildt som lettere rød eller misfarvet hud, med eller uden buler eller væskefyldte læsioner (pustler). Et hududslæt kan være lokaliseret (på et område af kroppen) eller systemisk (omfattende flere områder af kroppen). Med visse medikamenter, fx. Lenalidomid (Revlimid®), er det ikke usædvanligt at opleve pletter af tør hud, kløe, let hævelse og rødmen. Denne type hududslæt vil ofte forsvinde gradvist uden at behandlingen afbrydes. I sjældne tilfælde kan hududslæt være mere alvorlige og kan kræve indlæggelse.

Ting din læge kan anbefale

At du **får en vurdering af hududslettets alvorlighed** og dets mest sandsynlige årsag.

At du **bruger antihistaminer eller steroid cremer** for at reducere irritation og kløe.

At du **kontakter læge eller sygeplejerske**, såfremt du får udslæt for at identificere hududslettets art og diskutere den bedste behandling.

Ting du selv kan gøre:

Undersøge din hud dagligt.

Undgå direkte sol - specielt midt på dagen - og brug solcreme med en solbeskyttelsesfaktor på mindst 15.

Bære hat og solbriller, og dæk huden mest muligt når du er udendørs.

Brug milde, ikke-parfumerede, sæber, såsom Dove, Aveeno, eller Neutrogena.

Tag korte, kølige brusebade i stedet for lange, varme.

Brug lanolin-baserede cremer, lotioner og salver regelmæssigt for at holde din hud godt fugtig.

Undgå parfume og nærkontakt med personer, der bruger parfume.



Definition: Lokal irritation på stedet for en subkutan (SC) injektion. Medicin, der sprøjtes ind i fedtlaget under huden (det subkutane væv), betegnes som subkutane (SC) injektioner. Subkutan injektion af medicin kan forårsage brændende smerte, mens der injiceres og kan forårsage lokalirritation eller inflammation i hud og blødt væv. I de fleste tilfælde er reaktionerne milde og er ikke smertefulde. Mere alvorlige reaktioner kan omfatte smertefulde knuder, eller omfatte et større område af huden.

Symptomer på injektionsstedsreaktioner

Mild hudreaktion	Lokaliseret tør, rød, blød hud. Ikke smertefuldt. Kan have kløe (pruritus).
Moderat hudreaktion	Lokaliseret rødmen og hævelse. Kan være smertefuldt, og omfatte et stort område omkring injektionsstedet. Kan have kløe (pruritus).
Alvorlig hudreaktion	Større område med rødmen og hævelse og blærer, ulceration eller afskalning af huden på injektionsstedet. Oftest smertefuldt.
Allergisk reaktion over for subkutan injektion af medicin	Udbredt (systemisk) rødmen, der almindeligvis omfatter torso og ekstremiteter.

Alvorlighedsgraden af reaktionerne kan minimeres med den rette teknik ved injektion og ved pleje af huden.

De fleste injektionsstedsreaktioner forsvinder med tiden. Disse reaktioner betragtes ikke som ægte allergiske reaktioner.

Reaktioner på injektionsstedet er almindelige, når Azacytidin (Vidaza®) gives subkutant. En mild rødmen af huden, som forsvinder med tid er den mest almindelige reaktion. Mere alvorlige reaktioner kan forekomme hos nogle patienter.

Milde reaktioner på injektionsstedet er også rapporteret af patienter som får vækstfaktorer subkutant, herunder Neupogen® (filgrastim), Neulasta® (pegfilgrastim), og Procrit® (erythropoietin). De fleste hudreaktioner forsvinder helt med tiden.

Al medicin, herunder medicin som gives ved subkutan injektion, kan forårsage allergiske reaktioner. Hudforandringer som almindeligvis ses ved allergiske reaktioner over for medicin omfatter udbredt (systemisk) rødmen og kløe. Når reaktionerne er alvorlige, kan huden blistre og skrælle. Denne type reaktion kræver, at man stopper med de mistænkte medikamenter, og kan kræve hospitalsindlæggelse i mere alvorlige tilfælde.

Valget af indsprøjtningstedssted for medicinen

Subkutane injektioner gives i områder med tilstrækkelig fedtvæv (adipøst væv), hvor man kan klemme en tomme: på maven, på bagsiden af overarmene, eller den ydre del af låret. Skift injektionssted i løbet af din behandling for at begrænse alvorlighed af reaktioner på et givet sted og give de tidligere brugte steder tid til at hele.

Undgå områder stor risiko for friktion, såsom områder der dækkes af en sikkerhedssele eller et bælte, vil også reducere alvorligheden af injektionsstedsreaktioner. Undgå også områder med ardannelse, modermærker, betændelse, eller sprækker i huden.

Brug af en teknik, som kaldes "Air Sandwich" kan også begrænse hvor meget medicin der kommer i kontakt med fedtvævet (adipøst væv). Se figuren til højre.

Ting din læge kan anbefale

Tag orale antihistaminer for at reducere kløe og trangen til at kradse i huden.

Brug lokale steroid cremer eller antihistaminer for at reducere inflammation.

Brug kulde kompres til at minimere en eventuel brændende fornemmelse. Du bør ikke anvende varme eller is på injektionsstedet i op til 4 timer efter injektionen, da dette kan forstyrre korrekt absorption af medicinen og gøre den mindre effektiv.

Tag oral anti-inflammatorisk medicin. Tal med din læge om hvilken medicin, der er den rette for dig.

MDS og injektionstedsreaktioner

Få lavet en vurdering af mulige årsager til injektionsstedsreaktioner ved en gennemgang af al din medicin samt miljømæssige eksponeringer (fx sæber, rengøringsmidler, parfumer, cremer), sol og transfusioner.

Konsulter en hudlæge, en læge med speciale i behandling af hudsygdomme, i mere alvorlige tilfælde.

Ting du selv kan gøre

Fortæl din læge om dine injektionsstedsreaktioner. Så kan sygeplejersken, som giver dig medicinen kontrollere de berørte steder inden næste injektion.

Undgå brug af tætsiddende tøj over injektionsstedet; bær løstsiddende tøj, og undgå at gnide stedet umiddelbart efter en injektion.

Undgå is eller varme på injektionsstedet umiddelbart efter injektionen. Varme kan forårsage øget irritation og is kan begrænse absorptionen af medicinen. Det er sikkert at anvende et kulde kompres to timer efter injektionen og is 4 timer efter injektionen.

Undgå at kradse, gnide, eller plukke huden.

Definition: Kvalme er et symptom, der ofte beskrives som en ubehagelig følelse forbundet med rødmen, takykardi (hurtig puls), og trangen til at kaste op. Opkastning er et fysisk fænomen, der involverer sammentrækning af maven, brystvæggens muskler, og bevægelse af membranen efterfulgt af tømning af maveindholdet.

Mulige årsager til kvalme og / eller opkast:

- Forstoppelse
- Dehydrering
- Infektioner
- Medicin herunder kemoterapi
- Migræne
- Hikke
- Hjertesygdom
- Mavesyre
- Tør mund
- Lugte
- Angst

Symptomer forbundet med kvalme eller opkast:

- Følelse af varme og kulde
- Ekstrem træthed
- Svaghed
- Ondt i halsen
- Hovedpine
- Oppustethed
- Sved
- Svimmelhed
- Søvnforstyrrelse

Ting din læge kan anbefale

Drik rigeligt - drik 2-3 liter væske om dagen. Gerne væsker med elektrolytter.

Tag et antiemetika, som er medicin der almindeligvis anvendes til forebyggelse eller behandling af kvalme og opkast. Disse kan gives umiddelbart inden din kemoterapi eller kan ordineres til brug i hjemmet. Antiemetika kan gives intravenøst eller subkutant, eller kan indtages gennem munden. Diskuter hvilken medicin, der er bedst for dig med din læge.

Spis små og hyppige måltider; det vil reducere oppustethed og mavesyre.

Tal med en diætist for at finde den kost, som er bedst for dig.

Ting du selv kan gøre

Drik 2-3 liter væske om dagen - undgå drikke med koffein eller højt sukkerindhold.

Tal med din læge om at tage antiemetika, hvilke bivirkninger denne type medicin kan forårsage, og hvor meget du sikkert kan bruge om dagen. Nogle af de medikamenter, der anvendes til at behandle eller forebygge kvalme og opkast kan øge risikoen for forstoppelse.

Spis små, hyppige måltider.

Undgå stærke lugte, herunder parfumer og fødevarer, som lugter kraftigt.

Noter dine kvalme symptomer og hvornår du oplever dem.

Noter dine opkastninger.

Diskuter kvalme symptomer og opkast med din læge ved næste konsultation.

MDS og kvalme / opkast

Kontakt straks din læge, hvis du oplever opkast mere end 5 - 6 gange i en 24 timers periode, bemærker blod i opkast, eller ikke er i stand til at holde mad eller væske nede. Tal med din læge om hvordan du skal forholde dig ved mere alvorlige symptomer.

Undgå fed mad, krydrede eller svært fordøjelige fødevarer (hårde frugter, kød, hård ost, popcorn), alkohol, koffein, chokolade.

Øg mængden af fødevarer og væsker med højt natrium og kalium, såsom bouillon, supper, sportdrikke med lavt sukkerindhold.

Sørg for god mundhygiejne. Brug mundskyllemidler uden alkohol for at reducere symptomerne på tør mund og dårlig smag i munden.

Brug evt. kosttilskud med pebermynte og ingefær. De har vist sig at være nyttige for nogle patienter.

Brug evt. afslapning og meditation (mindfulness). Det hjælper nogle patienter.

Definition: Neutropeni (noo · troh · PEE · nee · uh) er et lavt antal neutrofile granulocytter. Neutrofile granulocytter er en type af hvide blodlegemer, der hjælper med til at bekæmpe almindelige infektioner. Når antallet af hvide blodlegemer er under det normale, har du en øget risiko for infektion.

Neutropeni er mindre almindeligt hos patienter med MDS end anæmi på tidspunktet for diagnosen. Hos patienter i sygdomsmodificerende behandlinger for MDS, reduceres antal leukocytter og dermed også det absolutte neutrofiltal (ANC) ofte i de første måneder af behandlingen.

Hvordan måles neutropeni?

Neutrofile granulocytter er den mest almindelige type af hvide blodlegemer, og udgør normalt 60-70% af WBC. Alvorlighedsgraden af neutropeni vurderes baseret på det absolutte neutrofiltal (ANC). Det normale antal hvide blodlegemer er 3,500-10,000 celler/mikroliter (μL). Det normale område for ANC er 1500-8,000 celler/ μL . ANC beregnes efter følgende formel:

$$\text{ANC} = \text{WBC} \times \% \text{ neutrofile granulocytter}$$

Tallet findes ofte i laboratorierapporter fra blodprøver. Bed din læge, om at hjælpe dig med at finde eller beregne dette tal. Alvorlighedsgraden af neutropeni er baseret på ANC, og måles i en almindelig blodprøve:

- Mild neutropeni: 1,0-1,5 neutrofile granulocytter $\times 10^9/\text{liter}$ i perifert blod
- Moderat neutropeni: 0,5-1,0 neutrofile granulocytter $\times 10^9/\text{liter}$ i perifert blod
- Alvorlig neutropeni: mindre end 0,5 neutrofile granulocytter $\times 10^9/\text{liter}$ i perifert blod

Febril neutropeni anses for en medicinsk nødsituation, som kræver, at man straks kontakter sin læge. Febril neutropeni er en tilstand med ANC mindre end 1,000/ μL og en kropstemperatur $>38,5^\circ\text{C}$ eller en kropstemperatur $>38,0^\circ\text{C}$ i mere end en time. Tal med din læge om hvem du skal kontakte i en sådan situation, og hvordan de skal kontaktes, samt hvornår du skal søge akut lægehjælp.

Symptomer på neutropeni:

- Forhøjet kropstemperatur (feber)
- Hyppige infektioner
- Lavt blodtryk
- Kulderystelser

Ting din læge kan anbefale

Behandling med vækstfaktorer der stimulerer produktionen af hvide blodlegemer.

Forebyggende brug af antibiotika. Almindeligvis gives antibiotika ikke forebyggende til de fleste MDS patienter, men kan bruges til patienter i øget risiko for infektion.

Ændring af dosis eller midlertidig stop med MDS behandling. Kun såfremt neutropenien er alvorlig, og kun indtil dine neutrofiltal bedres.

MDS og neutropeni

Ting din læge kan anbefale

Fortæl din læge, hvis du får feber, når dine neutrofile granulocytter er under 1,0 celler/ μ L. Såfremt du ikke er sikker på, hvad dit neutrofile granulocytaltal er, så spørg dit sundhedsplejehold om retningslinjer for, hvornår du skal kontakte dem om feber.

Hav' et **fungerende termometer** derhjemme.

Følg med i dine blodtal, herunder WBC og ANC, samt eventuelle symptomer, herunder feber, kulderystelser, og infektioner.

Undgå kontakt med tydeligt syge mennesker.

Undgå overfyldte, lukkede steder. Det betyder ikke, du ikke kan gå ud. Spørg din læge / sygeplejerske om steder du bør undgå, såsom buffeter, overfyldte forretningsområder, eller koncerter.

Undgå at spise ubehandlet køb og upasteuriserede mælkeprodukter.

Skyld frugter og grøntsager inden spising.

Sørg for god hygiejne, fx dagligt bad, tandbørstning, rengøring efter afføring eller vandladning, vask af hænder.

Drik meget væske.

Definition: Trombocytopeni (Throm · BOH · sy · toh · PEE · nee · uh) er et lavt antal blodplader i det cirkulerende blod.

Blodplader hjælper med at stoppe blødning ved sammenklumpning og dannelse af propper i blodkarrenes huller (koagulation). Blodplader hjælper også med at opretholde normal sundhed af kroppens blodceller. Når man udvikler trombocytopeni, så stiger risikoen for blødning eller blå mærker.

Trombocytopeni er mindre udbredt end anæmi hos MDS patienter. Blodplader produceres i knoglemarven fra de samme fabriksceller (myeloide stamceller), som røde og hvide blodlegemer. De myeloide stamceller producerer megakaryocytter (MEGA·kar·EE·oh·sy·t), som derefter producerer tusindvis af blodplader hver dag. Når man har MDS, er megakaryocytterne ofte unormale (dysplastiske) og producerer for få blodplader (trombocytopeni), for mange blodplader (trombocytose) eller

blodplader, der ikke fungerer normalt. Megakaryocytter findes kun i knoglemarven og kan ikke måles i en almindelig blodprøve.

Den primære bekymring for patienter med trombocytopeni er blødning. Risikoen for blødning er relateret til hvor alvorlig trombocytopenien er. Visse lægemidler, som blodfortyndende medicin, aspirin og andre anti-inflammatoriske lægemidler, kan øge risikoen for blødning.

Hvordan måles trombocytopeni?

Trombocytopeni er karakteriseret ved et blodpladetal under det normale. Det normale antal blodplader ligger i området 150.000 - 450.000 celler/ μ L. Alvorlighedsgraden af trombocytopeni måles ved en blodplade tælling på en almindelig blodprøve:

- Mild trombocytopeni: blodpladetal på 50.000 - 100.000 celler/ μ L
- Moderat trombocytopeni: blodpladetal på 25.000 - 50.000 celler/ μ L
- Alvorlig trombocytopeni: blodpladetal mindre end 25.000 celler/ μ L

Symptomer på trombocytopeni:

- Mange blå mærker efter normale daglige aktiviteter
- Blødende tandkød
- Blodig næse
- Rifter, som ikke holder op med at bløde
- Nålehoved store røde prikker på huden - petekkier
- Hoster blod op
- Blod i urin eller afføring

Ting din læge kan anbefale

Trombocyttransfusioner (blodpladetransfusioner), når dit blodpladetal er under 10.000 celler/ μ L eller når du er i en situation med højere risiko, som ved en operation.

Stopper medicin, der interfererer med trombocytfunktionen (fx aspirin) eller forhindre koagulation gennem andre mekanismer (blodfortyndende medicin som Coumadin, Plavix, og Heparin). Disse typer medicin stoppes normalt, når trombocytallet er under 50.000 celler/ μ L.

MDS og trombocytopeni

Deltagelse i forsøg med anvendelse af vækstfaktorer til behandling af trombocytopeni hos patienter med MDS. Der er i øjeblikket ingen FDA godkendte vækstfaktorer til behandling af trombocytopeni hos patienter med MDS.

Ændre dosis ved eller midlertidigt stopper din MDS behandling, såfremt din trombocytopeni er alvorlig. Typisk indtil trombocytallet bedres.

Ting du selv kan gøre:

Informér din læge om usædvanlige blå mærker, ukontrolleret blødning, eller petekkier.

Følg med i dine blodtal, symptomer før og efter transfusioner og transfusions datoer.

Undgå alkohol; alkohol bidrager til blodplade dysfunktion.

Undgå skader (fald, rifter, skrammer) og aktiviteter, som kan forårsage blå mærker eller blødning, som eksempelvis kontaktsport og tunge løft.

Undgå forstoppelse eller belastende afføring.

Brug en blød tandbørste.

Definition: En usædvanlig træthed, der forstyrrer normale aktiviteter og ikke lettes ved hvile eller en god nats søvn.

Træthed kan være mere alvorlig hos patienter med MDS, der også har anæmi. Søvnløshed (søvnbesvær) er almindelig hos ældre voksne og kan bidrage til træthed. Andre ting, der kan bidrage til træthed er: inaktivitet, smerte, angst og bekymring, dårlig ernæring, og andre sygdomme, der ikke er velkontrollerede, såsom diabetes eller thyroide sygdomme.

Symptomer på træthed:

- Fysisk svaghed
- Døsighed, eller følelse af at være udslettet
- Koncentrationsbesvær eller vanskeligheder med at tage beslutninger
- Tendens til at undgå sociale aktiviteter
- Vanskeligheder ved at udføre normale daglige aktiviteter, såsom madlavning, rengøring, betaling af regninger, og arbejde
- Basale aktiviteter, såsom bad og personlig hygiejne, tager længere tid

Ting din læge kan anbefale

Laboratorieundersøgelse for at bestemme faktorer, som medvirker til din træthed, såsom anæmi, thyroide sygdomme, dehydrering, eller diabetes.

Blodtransfusion (PRCs), såfremt din træthed skyldes anæmi.

Medicin til behandling af alvorlig træthed. Sådan medicin har andre bivirkninger, og er muligvis ikke det rigtige for dig, så din træthed bør diskuteres med din læge for at afgøre, hvad der er bedst for dig.

Ting du selv kan gøre

Vær så aktiv som muligt for at opretholde muskelstyrke og forbedre udholdenhed. Overvej at starte daglige rutiner, såsom en gåtur med en pårørende eller ven.

Lav en liste over dine daglige aktiviteter. Prioriter dagens aktiviteter, og henlæg prioriterede aktiviteter til perioder hvor dit energiniveau er højest.

Begræns en lur i løbet af dagen til højst en time for at undgå problemer med at sove om natten.

Tal med din læge / sygeplejerske om problemer med angst eller overvældende sorg.

Drik rigeligt væske.

Spis små, hyppige måltider.

Tal med din læge om dit behov for blodtransfusioner baseret på symptomer og dit hæmoglobinniveau.

Lave blodtal (cytopeni) er almindeligt, når man har MDS.

Anæmi er den mest almindelige cytopeni, og de fleste patienter med MDS vil have behov for blodtransfusion som følge af deres anæmi (Se: *MDS - Lyn-Tips*). Transfusionsafhængighed (gentagne transfusioner) er ofte en indikation for at få en diskussion af muligheden for brug af sygdomsmodificerende behandling eller yderligere understøttende behandling. En reduktion i antallet af transfusioner i en periode på otte uger [hæmatologisk forbedring, som defineret i International Working Group (IWG) kriterier] kan være det første tegn på en positiv reaktion på behandling. Hver patient med MDS har deres egne behov for transfusion og frekvensen af disse. Patienter, der får behandling for MDS oplever også forskellig effekt af behandlingen.

Den komplette blodtælling(CBC), differentialtælling og trombocytal

Blodtal:	Normalt område:	
Hvide blodlegemer (WBC)	4.500 - 13.000 celler / μ L	
Absolut neutrofittal (ANC)	≥ 1.500 / mm ³	
Hæmoglobin (Hgb)	Mænd: 8,4 - 10,9 mol/l	Kvinder: 7,5 - 10,0 mol/l
Hæmatokrit (Hct)	Mænd: 41 - 53%	Kvinder: 36 - 46%
Trombocytter (Plt)	150.000 - 350.000 / mm ³	

Ting du selv kan gøre

I kapitlet "MDS Ressourcer" finder du skemaer, som du kan bruge til at følge med i dine blodtal, transfusioner og andre behandlinger, og hjælpe dig med at se tendenser og mulige fremskridt. Tag dine notater i skemaerne med dig til hver konsultation på hospitalet (Se: "*Skemaer*" i kapitlet "*MDS Ressourcer*").

Bed din sygeplejerske eller læge om skriftlige kopier af dine blodprøveresultater, såfremt du ikke har elektronisk adgang til dine blodprøveresultater. I Danmark har du også adgang til disse blodprøveresultater på sundhed.dk, og i Region Hovedstaden og Region Sjælland også på minSundhedsplatform, og på begge disse hjemmesider bruger du NemID til at få adgang.

Notér i nævnte skemaer hvornår du får transfusion, antal enheder, og hæmoglobin og blodplacenieaut før og efter. Notér også hvilke symptomer oplever før og efter du har modtaget transfusioner eller vækstfaktor injektioner. Se også siderne om cytopenier i kapitlet "Lyn-Tips".

Det er meget vigtigt at tale med din læge om hvilke symptomer, der kræver øjeblikkelig lægehjælp. Spørg, hvornår du skal ringe, hvem du skal ringe til inden for normal arbejdstid, hvem du skal ringe til uden for normal arbejdstid, og hvilke symptomer der kræver akut lægehjælp.

- **Feber** over 38,5°C
- **Kulderystelser** - uanset kropstemperatur
- Pludseligt opstået **åndenød eller brystmerter** (ring 112)
- **Hudforandringer** herunder:
 - Usædvanlige blå mærker
 - Nåle hoveds store røde pletter på huden (petekkier)
 - Nye eller forværrede hududslæt
- Svær hovedpine
- Pludselige **synsændringer**
- **Blødning**, der ikke stopper efter et par minutter
- Ændringer i tarm eller blære funktion:
 - Synlig blod eller en rosa farve af urinen
 - Ukontrolleret diarré eller forstoppelse
 - Sort eller blodig afføring
- Ukontrolleret kvalme eller opkast

Jernoverskud

Jernophobning er ofte en konsekvens af gentagne blodtransfusioner.

For meget jern i kroppen er en potentielt farlig tilstand, fordi overskydende jern kan beskadige væv og organer.

Dette kapitel sætter fokus på følgende spørgsmål:

Hvorfor er blodtransfusioner nødvendige ved MDS?

Hvad er jernophobning? Hvor alvorlig er jernophobning?

og hvordan behandles og overvåges jernophobning?

bidragene forfattere

Sandra Kurtin

Alan List

Jayshree Shah

David Steensma

Bob Weinberg

Hvorfor er blodtransfusioner nødvendige for MDS patienter?

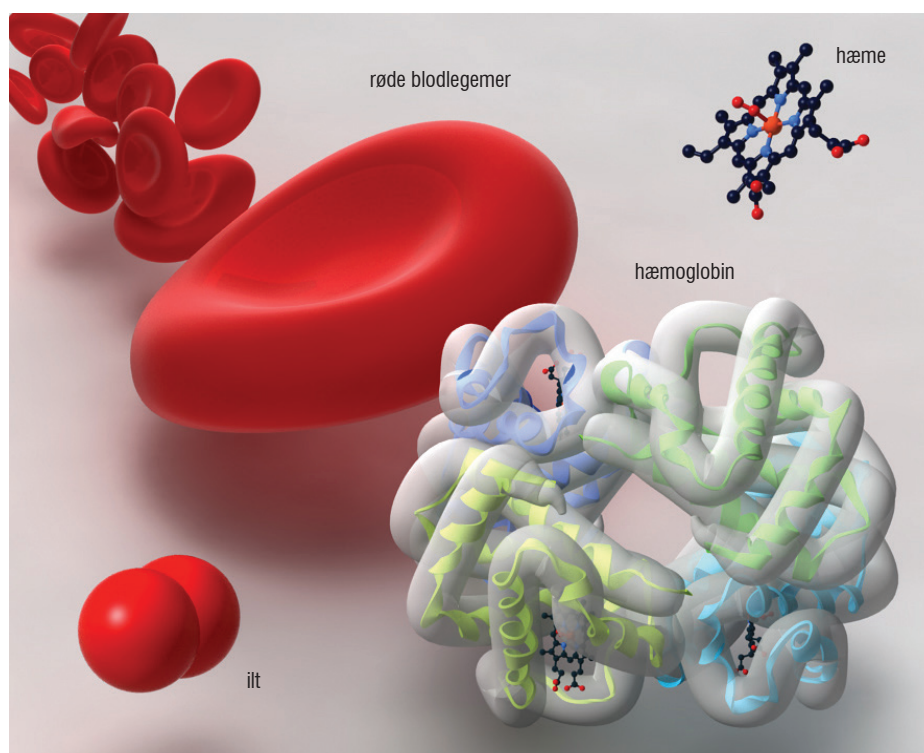
Myelodysplastiske syndromer er en gruppe af knoglemarvssygdomme, hvor knoglemarven ikke produceres nok modne røde blodlegemer, hvide blodlegemer og/eller blodplader. Omkring 80% af alle MDS patienter har anæmi (lavt antal røde blodlegemer og tilsvarende lavt hæmoglobinniveau), når de får diagnosen MDS. Transfusioner af røde blodlegemer bruges ofte til at behandle symptomerne på anæmi. Selvom kronisk anæmi sjældent er livstruende, kan anæmi reducere en MDS patients livskvalitet betydeligt.

Røde blodlegemer indeholder hæmoglobin, et stort jernholdigt protein, der giver blod dets røde farve og som transporterer ilt fra lungerne til alle kroppens celler. Ilt er nødvendigt for alle kroppens celler, så de kan vokse, dele sig, og udføre deres specifikke funktioner. Når antallet af røde blodlegemer falder under et vist niveau, falder også mængden af ilt, således at kroppens celler ikke får nok ilt. Uden tilstrækkeligt ilt bliver cellerne mindre effektive og trætte.

Anæmi påvirker den enkelte MDS patient forskelligt afhængigt af patientens alder og generelle sundhedstilstand. Nogle af de symptomer på anæmi, man som MDS patient måske bemærker er en bleg hud, træthed, svaghed, og til tider åndenød.

Blodtransfusioner er en almindelig måde til midlertidigt af lindre symptomerne på anæmi. Sådanne blodtransfusioner omtales ofte som symptomatisk eller understøttende behandling. De røde blodlegemer, som tilføres ved en blodtransfusion indeholder imidlertid jern, og da kroppen ikke har nogen naturlige metoder hvormed overskydende jern kan udskilles, så vil gentagne blodtransfusioner medføre forhøjede niveauer af jern i blod og celler. Blodtransfusioner har andre mulige bivirkninger, som du bør diskutere med din læge. Oftest gives to enheder (poser) af pakkede røde blodlegemer (PRCs) hver gang man får en blodtransfusion.

Hvor ofte der gives blodtransfusioner afhænger af hvor alvorlige symptomer der er.



Generelle retningslinier for transfusion af røde blodlegemer

- Kræver informeret samtykke. Asymptomatiske patienter: transfusion for at opretholde et hæmoglobinniveau på 4,3 - 5,6 mol/l.
- Symptomatisk med blødning: transfusion for at opretholde hæmodynamisk stabilitet.
- Symptomatisk med Hgb < 6,2 mol/l: transfusion for at opretholde hæmoglobinniveau på 5,0 - 6,2 mol/l.
- Akut koronar syndrom med anæmi: transfusion for at opretholde hæmoglobinniveau på 6,2 mol/l.

FORDELE

- Stigning i hæmoglobinniveau (Hgb) kan reducere træthed hos patienter

RISICI

- Viral transmission: HIV: 3,1 / 100.000; Hepatitis C: 5,1 / 100.000,
- Hepatitis B: 3,41 - 3,43 / 100.000 Transfusionsrelateret akut lungeskade (TRALI): 0,81 / 100.000
- Transfusionsrelateret overbelastning af kredsløbet (TACO): 1 - 6 % på intensivafdelinger og ved postoperative transfusioner.
- Fatal hæmolyse: 1,3 - 1,7 / 1.000.000 transfunderede enheder.
- Febrilske ikke hæmolytiske reaktioner 1,1 - 2,15%

Hvad er jernophobning?

Blodtransfusioner - transfusion af røde blodlegemer - kan give midlertidig lindring af symptomerne på anæmi, men de tilfører også ekstra jern til kroppen. Der er et par behandlinger, som kan genoprette produktionen af røde blodlegemer, så patienterne bliver transfusion-uafhængig, men disse er desværre ikke egnede til alle MDS-patienter. For mange MDS-patienter, er transfusioner den eneste mulighed for at behandle symptomerne på anæmi. Understøttende behandling med gentagne transfusioner af røde blodlegemer kan føre til forhøjede niveauer af jern i blodet og andre organer. Så MDS patienter, der modtager transfusioner til behandling af deres anæmi er i risiko for jernophobning, også kaldet jern overbelastning.

Din krop indeholder normalt omkring 3 til 4 g af grundstoffet jern (Fe). Næsten to tredjedele af kroppens jern findes i et oxygenbærende protein i blodet, som kaldes hæmoglobin. Resten findes i myoglobin (i muskelceller) og andre proteiner. Mængden af jern i kroppen er tæt kontrolleret og det meste af det genbruges. De meget små mængder, der går tabt dagligt (1 til 2 milligram) balanceres ved optag fra kosten.

Transfusion af røde blodlegemer og jernophobning

Hver enhed - pose - af pakkede røde blodlegemer indeholder ca. 250 milligram jern; omkring et kvart gram. Ved gentagne blodtransfusioner, hober jern sig op i kroppens væv og organer. Efter ca. 20 transfusioner, vil en patient have modtaget yderligere cirka 5 gram jern - næsten en fordobling af jernmængden i kroppen.

Jern bindes normalt til et plasmaprotein kaldet transferrin, som cirkulerer i kroppen, og akkumulerer i kroppens celler i form af ferritin. Jernophobning opstår, når transferrin bliver mættet, og koncentrationen af ikke-transferrin-bundet jern øges, dette er giftigt for cellerne. Efterhånden som niveauet af ikke-transferrin-bundet jern i blodet øges, vil det absorberes i vævet, hvilket medfører forøgede niveauer af ubundet jern i lever, hjerte, bugspytkirtel, hypofyse, og andre organer.

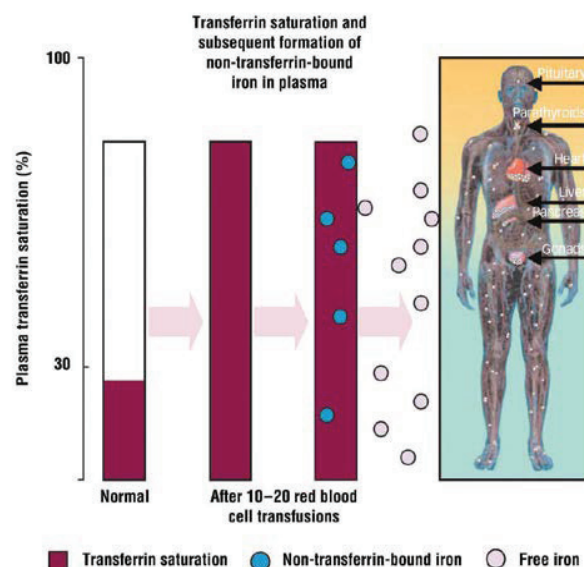
Hvordan ved jeg, om jeg har jernophobning?

Begyndelsen på selve jernophobningen varierer fra patient til patient. Som regel, opstår jernophobning efter man har modtaget 20 enheder - poser - pakkede røde blodlegemer (PRC). Imidlertid kan jernophobning forekomme efter så få som 10 enheder transfunderet blod hos nogle patienter og kan ikke detekteres i andre patienter, som har modtaget mere end 60 enheder blod. Foruden at udvikle jernophobning som følge af gentagne blodtransfusioner kan MDS patienter med sideroblastisk anæmi udvikle jernophobning som følge af øget absorption af jern fra fødevarer eller kosttilskud. Du kan ikke vide, om overskydende jern er ved at ophobes i din krop, fordi der ikke er nogen symptomer. Nogle MDS patienter, som anses for at have risiko for jernophobning er kandidater til knoglemarvstransplantation efter at have 20 til 30 blodtransfusioner. Patienter med et serum ferritin niveau højere end 1000-2500 ng/ml, og patienter med en IPSS risiko lav eller intermediær-1, der kræver regelmæssige blodtransfusioner kan også være kandidater til en knoglemarvstransplantation.

Hvor alvorlig er jernophobning?

Jernophobning er en potentielt farlig tilstand, da overskydende ikke-bundet jern kan beskadige forskellige organer. Overskydende jern kan ophobes i hjerte, lever, lunger, hjerne, knoglemarv og endokrine organer, og øge din risiko for en række kliniske komplikationer. Mange af disse er ikke-reversible og kan være livstruende, heriblandt hjertesvigt, skrumpelever, leverfibrose, galdeblære lidelser, diabetes, gigt, depression, impotens, infertilitet, og kræft. Mange informationer om de skadelige virkninger af jernophobning kommer fra andre blodsygdomme, som seglcelleanæmi og thalassæmi, som er også forbundet med transfusion-afhængig anæmi.

Undersøgelser af patienter med MDS viser, at jernophobning som følge af regelmæssige blodtransfusioner er forbundet med dårligere samlet overlevelse og en højere risiko for at udvikle leukæmi. Den negative effekt på overlevelse afhænger af antallet af blodtransfusioner pr måned. Den negative effekt på overlevelse er også relateret til hvor alvorlig din MDS er (Se: Hvor alvorlig er min MDS?). Det har vist sig, at behandling af jernophobning og jern toksicitet med jernkelering hos MDS patienter med transfusions afhængig anæmi kan reducere jernophobningen og forbedre overlevelsen hos nogle MDS patienter.



Selv om der er mange metoder til vurdering af jernophobning, er den mest almindeligt brugte i dag en simpel blodprøve, som måler ferritin niveauet i blodet. Ferritin niveauet er et indirekte mål for jernophobningen. Ferritin er et protein i blodets serum, som binder jern og hjælper med oplagring af jern i kroppen. Fordi det er en simpel blodprøve, er den let at udføre flere gange for at få ferritin målinger over tid, så en tendens kan observeres og overvåges. Serum ferritin niveauet måles almindeligvis hos MDS patienter på tidspunktet for diagnosen og gentages hver 3-4 måneder, når patienten kræver regelmæssige blodtransfusioner (transfusion afhængig MDS). Du bør følge med i dit serum ferritin niveau, og dit hæmoglobin niveau samt hvor mange blodtransfusioner du modtager og hvornår, da det kan hjælpe dig med at forstå din risiko for jernophobning (se: Mit liv med MDS).

Det har vist sig, at serum ferritin niveauet hos MDS patienter er relateret til antallet af blodtransfusioner (PRC enheder). Et serum ferritin-værdi på 1.000 ng/mL kan nås efter så lidt som 20 enheder (poser) af røde blodlegemer. En ulempe ved ferritin testen er, at målingerne påvirkes af inflammation, infektion og ascorbinsyre (vitamin C) mangel. Derfor er tendensen i dine serum ferritin niveauer over tid mest værdifuld til overvågning af jernophobning.

Normale og unormale ferritin niveauer

Normalt serum ferritin	Lavt serum ferritin	Højt serum ferritin	Jernophobning
12-300 ng/mL for mænd 12-150 ng/mL for kvinder	Et lavt serum ferritin niveau betyder typisk reducerede jerndepoter. Ferritin niveauer lavere end normalt er tegn på jernmangelanæmi.	Kan indikere hæmolytisk anæmi, megaloblastisk anæmi, eller jern overbelastning	Serum ferritin mængder større end 1.000-2.500 ng/mL indikerer jernophobning hos patienter transfusions anæmi

Heldigvis kan jernophobning behandles med jernkelerende lægemidler (keleringsbehandling). Målet med behandlingen er at holde kroppens jern lavt nok til at forhindre udviklingen af organskader. Selv efter organtoksicitet har udviklet sig, kan behandling med jernkelerende lægemidler vende nogle af komplikationerne. Den mest almindelige måde at behandle jernophobning hos patienter med transfusionsafhængig MDS er med jernkelerende lægemidler, som binder jernet, således at det kan udskilles med urin og/eller afføring. Ultimativt er transfusions afhængighed en indikator for, at du og din læge bør overveje sygdomsmodificerende behandlinger for at forbedre knoglemarvens funktion og undgå yderligere blodtransfusioner (Se: *Generelle principper for Behandling af MDS*).

Flebotomi

Nogle MDS patienter, som ikke længere kræver blodtransfusioner som et resultat af behandling af deres MDS, kan være kandidater til flebotomi (tapning). Flebotomi indebærer at man fjerner en enhed af blod - på samme vis, som når man donerer blod, hvilket ligesom keleringsmidler fjerner frit jern fra blodet. De fleste MDS patienter har ikke tilstrækkeligt høje blodtal til at tillade denne fremgangsmåde for at fjerne overskydende jern.

Tests for jernophobning ved prøveudtagning

Ferritin test (Mest almindelige metode)	
Fordele	Ulemper
Ikke-invasiv Bredt tilgængelig Nyttig til at beslutte hvornår du skal starte behandling Nyttig til overvågning af behandlingens effektivitet	Målte værdier ændres ved inflammation, infektion og ascorbinsyre (vitamin C) mangel Korrelerer ikke godt med kroppens samlede jern
Leverbiopsi lever-jernkoncentration (Begrænset brug på grund af risiko)	
Fordele	Ulemper
Korrelerer godt med kroppens samlede jernbelastning Muliggør vurdering af leverhistologi Høje niveauer forudsiger risiko for hjertesygdom, endokrine komplikationer og død	Invasiv Nøjagtighed påvirkes af prøvestørrelse Stikprøvefejl pga. fibrose og ujævn fordeling af jern Hjertesygdom kan være til stede, hvis lever jern er lavt

Jernkeleringsmidler

I øjeblikket er der tre jernkelerende lægemidler til rådighed for MDS patienter: Desferal® (generisk navn: deferoxamin), Exjade® (generisk navn: deferasirox), Ferriprox® (generisk navn: deferipron).

Test for jernophobning ved imaging

MRI Magnetic Resonance Imaging (Magnetisme anvendes til at evaluere unormale leverenzzymer hos patienter med forhøjet ferritin niveau)	
Fordele	Ulemper
Ikke-invasiv Bredt tilgængelig Korrelerer godt med lever jernkoncentration ved biopsi	Dyr Forskellige teknikker og analytiske programmer kan begrænse sammenlignelighed Hjertesygdom kan være til stede, når lever jern er lavt
Hjertejernbelastning v.hj.a. MRI (Anvendes primært at vurdere kardiale symptomer hos patienter med forhøjet ferritin)	
Fordele	Ulemper
Ikke-invasiv Korrelerer med risiko for hjertesygdom	Dyr Svært at validere uden biopsiprøve

Behandling af jernophobning

Hvor længe skal jeg have jernkelerende behandling?

Jernkelerende behandling fortsættes, indtil patientens serum ferritin niveau er under 1.000 ng/ml. Dette kan tage fra flere måneder til flere år. Patienter, som forbliver transfusionsafhængige, kan fortsætte med jernkelerende behandling så længe de får blodtransfusioner

Lægemidler til jernkelerende behandling

Præparat:	Deferoxamin (Desferal®)	Deferasirox (Exjade®)	Deferiprone (Ferriprox®)
Indgivelsesvej	Subkutan, intramuskulær eller intravenøs	Orale tabletter	Oral
Dosis	25-50 mg / kg, pumpes ind subkutan over 8-24 timer 3-7 dage om ugen.	Start dosis: 14 mg / kg, indtages sammen med et hovedmåltid en gang om dagen	75 mg / kg, indtages 3 gange om dagen
Hovedudskillelsesvej	Urin / afføring	Afføring	Urin

Efter start af jernkelerende behandling, vil dit jern niveau blive målt hver 3.-4. måned. Ferritin testen bruges til at evaluere effekten af jernkeleringsbehandlingen. Hvis du modtager blodtransfusioner, vil din læge holde øje med antallet af blodtransfusioner samt dit serum ferritin niveau. Hvis dit serum ferritin niveau falder under 500 ng/ml eller hvis du ikke længere modtager blodtransfusioner, kan din jernkelerende behandling stoppes. Dog vil dit ferritin niveau fortsat blive overvåget.

Hvad er bivirkningerne ved jernkelerende behandling?

Nogle, men ikke alle, patienter oplever bivirkninger under deres jernkelerende behandling. De fleste bivirkninger kan forebygges eller håndteres effektivt ved at arbejde tæt sammen med din læge. I nogle tilfælde kan bivirkningerne medføre en justering af dosis eller afbrydelse af behandlingen. Sådanne ændringer bør kun foretages efter at du har talt med din læge. Diskuter eventuelle symptomer, du oplever efter start af jernkelerende behandling med din læge. Spørg hvornår du skal kontakte dem om bivirkninger, hvem du skal ringe til, hvilket telefonnummer du skal ringe til, samt hvem du skal tale med, hvis du har symptomer på bivirkninger. Find ud af, hvilke symptomer der straks skal indberettes, så de hurtigt kan håndteres.

Almindelige bivirkninger af jernkelerende lægemidler

deferoxamin (Desferal®)	deferiprone (Ferriprox®)	deferasirox (Exjade®)
Lokal reaktioner på infusionsstedet	neutropeni (meget lav neutrofil) og agranulocytosis	Gastrointestinale forstyrrelser
Neurologisk toksicitet	Gastrointestinal abnormiteter	forhøjede leverenzzymer
vækst og skelet forstyrrelser	serumkreatinin, led, muskler og ledsmerter	forhøjet serumkreatinin
Allergiske reaktioner	forhøjet leverenzzymer	

deferoxamin (Desferal®)

Deferoxamin gives ved injektion 3-7 hver uge. Nogle patienter får to daglige subkutane injektioner. Andre modtager langsom intravenøs infusion ved hjælp af en bærbar batteridrevet pumpe som bæres over en periode på ca. 8 timer - ofte natten over. Deferoxamin kan også gives ved injektion i en muskel (intramuskulær administration). Den mest effektive metode afhænger af patienten. Mindre hyppige injektioner (1-2 gange om ugen) bruges nogle gange, når ferritin niveauet er reduceret. Typisk vil en læge påbegynde behandling med et gram, og efterhånden justere dosis opad, indtil en maximal dosis på tre gram om dagen. Desferal® er langsomt virkende, og fjerner kun 6 til 10 mg jern per infusion; men det kan opretholde en negativ jern balance selv når blodtransfusionerne fortsættes.

Behandling af jernophobning

De mest almindelige bivirkninger af deferoxamin er udslæt, nældefeber, kløe, smerter eller hævelse på infusionsstedet, opkast, diarré, mavekrampe eller kramper i benene, blodig urin, sløret syn, feber, hurtig hjertebanken og svimmelhed. Potentielle langsigtede bivirkninger omfatter nyre eller lever skader, tab af hørelse, eller grå stær.

deferipron (Ferriprox®)

Deferipron er endnu ikke godkendt til brug af MDS patienter, selv om producenten søger godkendelse til MDS patienter med jernophobning i flere lande. Deferipron anvendes i øjeblikket til behandling af jernophobning hos patienter med thalassæmi, der ikke kan bruge deferoxamin grundet intolerance eller manglende effekt. Det tages oralt som en tablet eller som en opløsning. Den sædvanlige dosis er 25 mg/kg, tre gange om dagen, eller en total daglig dosis på 75 mg/kg/dag. I kliniske forsøg og i klinisk praksis, har deferipron vist sig at være effektiv til fjernelse af jern fra kroppen. Deferipron har en bivirkningsprofil som ligner deferoxamin. Der er igangværende kliniske forsøg med anvendelse af deferipron alene og i kombination med deferoxamin til patienter med jernophobning som følge af transfusionsafhængighed. Brugen af kombinationen af lægemidler vil betyde at deferoxamin skal infunderes mindre hyppigt, og det hjælper patienterne med at overholde den af læge ordinerede dosis. De mest almindelige bivirkninger ved brug af deferipron er kvalme, opkast, halsbrand, mavesmerter, diarré, øget eller nedsat appetit, vægtøgning, smerte i arme, ben, ryg eller led. Deferipron kan forårsage et fald i antallet af hvide blodlegemer produceret af knoglemarven. Hvide blodlegemer hjælper din krop med at bekæmpe infektion, så hvis du har et lavt antal hvide blodlegemer, der er en højere risiko for at du vil udvikle en alvorlig eller livstruende infektion.

Din læge vil bestille laboratorieprøver for at overvåge effekten af din jernkelerende behandling. Opbevar deferipron i den beholder den kom i, tæt lukket, og utilgængeligt for børn. Opbevare det ved stuetemperatur og væk fra overskydende varme og fugtighed (ikke i badeværelset). Aflever medicin, som er forældet eller ikke længere nødvendigt på apoteket.

deferasirox (Exjade®)

Exjade®, som kan indtages i forbindelse med et måltid er blevet godkendt af Det Europæiske Medicin Agentur, har været tilgængelig i Danmark siden efteråret 2016. Med denne formulering forbedres optagelsen af det aktive stof deferasirox, så dosis kan reduceres til 10 milligram per kilogram legemsvægt (10 mg/kg/dag). Det anbefales, at man ikke tager denne medicin med et måltid med højt indhold af kalorier og fedt, da det kan øge risikoen for bivirkninger. Hvis du har problemer med at synke tabletterne, kan du knuse dem og blande dem med fødevarer som æblemos eller yoghurt. Du må ikke øge dosis eller bruge medicinen oftere eller i længere tid end foreskrevet.

Doseringen er baseret på din tilstand, vægt, laboratorieundersøgelser, og effekt af behandlingen. Såfremt du oplever visse bivirkning kan det være nødvendigt at sænke din dosis eller helt stoppe behandlingen.

Prøver før og under behandling	Frekvens
Høreprøve	Baseline før behandlingsstart, og derefter årligt eller ved eventuelle ændringer i symptomer.
Granulocytter	Månedlig
Serum ferritin	Baseline og hver 3-4 måneder
Serum transaminaser	Månedlig
Serum kreatinin	Månedlig
Lever jerndepoter (T2MRI)	Kan bestilles på grundlag af serum ferritin niveau og andre kliniske tegn (forhøjede leverenzymen)
Myokardielle jerndepoter (T2MRI)	Kan bestilles på grundlag af serum ferritin niveau og eventuelle tegn på hjerteproblemer
Øjenundersøgelse	Baseline før behandlingsstart, og derefter årligt eller ved eventuelle ændringer i symptomer.

De mest almindelige bivirkninger forbundet med denne formulering af deferasirox er diarré, kvalme, opkast, mavesmerter, udslæt og milde stigninger i serum kreatinin. Opbevar denne medicin i den beholder den kom i, tæt tillukket, og utilgængeligt for børn. Opbevar pillerne ved stuetemperatur og væk fra varmekilder og fugtighed (ikke på badeværelset). Aflever medicin, som er forældet på apoteket.

Behandling af jernophobning

Kan man minimere jernophobningen?

At holde øje med hvor mange blodtransfusioner, du har modtaget, samt laboratoriemålinger, som hæmoglobin og ferritin niveauer, kan hjælpe dig på en række områder. Du vil kunne overvåge dit hæmoglobin niveau og bemærke hvornår du har symptomer, der viser at du har brug for en blodtransfusion. Antallet af blodtransfusioner vil hjælpe dig med at tale med din læge og/eller sygeplejerske om risikoen for jernophobning og hvordan det bedst behandles.

Kapitlet "Ressourcer" indeholder nyttige værktøjer til at følge med i resultaterne fra dine blodprøver samt hvornår du har fået blodtransfusioner og anden behandling af din MDS, og alle symptomer du oplever i den forbindelse. Uanset om du modtager behandling for jernophobning eller ej, så bør du følge med i dine blodtransfusioner, heriblandt din blodtype og hvilke antistoffer, der findes i dit blod.

Såfremt du modtager jernkelerende behandling, så bør du også følge med i dit ferritin niveau og andre undersøgelser i forbindelse med din jernkelerende behandling. Overhold alle konsultations aftaler med din læge samt aftaler om blodprøvetagning og andre undersøgelser i forbindelse med din behandling, som lægen har bedt om for at overvåge effekten af din jernkelerende behandling.

Kost og medicinering

Udover jernkelerende behandling af transfusions afhængig jernophobning, er der nogle daglige retningslinjer, som du kan følge for at mindske dit indtag af jern med din kost:

Reguler optagelsen af jern fra din kost

Indtag mælkeprodukter, æg, fødevarer med højt fiberindhold og te, som indeholder polyphenoler.

Reducer infektioner

Undgå at spise rå skaldyr, især østers, fordi de bærer bakterier, der trives i plasma med høje jernniveauer og derfor kan øge din modtagelighed for en alvorlig bakteriel infektion.

Undgå yderligere stigning af jern niveauet

Undgå alkohol og tobaksrøg.

Undgå at tage jerntilskud eller jernholdige lægemidler (fx vitaminer med ekstra jern).

Undgå for meget sukker (0,1 mg jern/100 gr sukker).

Begræns indtagelse af fødevarer med meget højt jernindhold. Oksekød, lam og dyreryg indeholder de højeste mængder jern sammenlignet med svinekød og kylling, der indeholder lavere mængder jern.

Undgå visse fisk, som kan have højt jernindhold

Mit navn er Bob Weinberg. Jeg blev diagnosticeret i 1998 i en alder af 48 år med MDS-RARS (refraktær anæmi med ringsideroblaste). Her er mine tal: Siden da har jeg modtaget over 850 enheder af pakkede røde blodlegemer (PRCs). Mine hvide blodlegemer ligger omkring 2,0, mit absolutte neutrofiltal (ANC) på mellem 500 og 700 og mine blodplader mellem 30.000 og 40.000. Mit blæsttal er under 5%. Min nuværende transfusionsfrekvens er hver 7.-8. dag. Jeg tager 2.500 mg Exjade® dagligt. Min ferritin niveau, kontrolleres hver måned, og varierer mellem 450 og 700.

Jeg vil fortælle om mine oplevelser med at opbygge jernophobning som følge af alle disse transfusioner. Omkring et år efter min diagnose i maj 1998, havde jeg behov for transfusioner månedligt. I februar 1999 ringede min hæmatolog og bad mig om at komme ind på hans kontor for at diskutere jernkælering med en professionel fra den lokale hjemmepleje. Mit ferritin niveau havde nået 1000, langt over det normale område på 22 til 322. Han forklarede, at hver gang jeg fik en transfusion modtog jeg nyt jern med blodet, og at min krop havde ikke nogen naturlig måde at skille sig af med overskydende jern på. Med tiden vil jern ophobes til et punkt hvor det trænger ind i mine organer, og det vil nedbryde hjerte, lever og andre væv så meget, at det bliver fatalt. Jernkælering, sagde han, var en måde at introducere et lægemiddel kaldet deferoxamin (med handelsnavnet Desferal®), der binder med jern og får kroppen til at udskille det i min urin.



Så jeg mødtes med folk fra hjemmeplejen og de viste mig en pumpe, ligesom en moderne insulinpumpe, der havde et reservoir med nok deferoxamin til en 8 timers infusion, dråbe for dråbe, subkutan i min hud. Det eneste problem var, at jeg skulle stikke mig i maven med en nål og derefter tape den til mig og lade den blive der i 8 timer. Folkene fra hjemmeplejen bemærkede med sorg, at der ikke var noget "oralt kæleringsmiddel". Lægemidlet forårsagede en hudreaktion, der gjorde infusionsstedet lyserødt og smertefuldt. Nat efter nat, 7 dage om ugen,

ville jeg stikke mig selv og så forsøge at sove med denne pumpe, der ligger ved siden af mig, og slangen fra pumpen snoede sig om mig. Det gjorde jeg fra februar 1999 til januar 2007, hver nat. Nogle gange vil den lille slange fra lægemiddelreservoaret til infusionsstedet blive tilstoppet, og et højt bip ville vække mig. Men det værste var hudreaktionerne på de mange infusionssteder. Det var som om jeg havde et smertefuldt bælte af røde steder omkring min mave. Jeg er overrasket over, at jeg kunne tolerere proceduren, men det gjorde jeg.

Efter at have været desperat med smerte og infusionspumpen, begyndte jeg at høre om et kæleringsmiddel som kunne indtages gennem munden og som var under udvikling. Mit ferritin niveau var da 1.700. Jeg søgte efter en international ekspert, ikke inden for MDS, men indenfor transfusions afhængig jernophobning. Han bestilte en MRI scanning af mit hjerte og min lever, og siden har jeg hvert år taget disse tests.

Da det nye kæleringsmiddel, som solgtes under navnet Exjade®, var blevet godkendt af FDA, opgav jeg den hadefulde pumpe og skiftede til Exjade®. Dette lægemiddel kommer i form af en pille på størrelse med en 2-krone, hver med 500 mg. Doseringen var baseret på kropsvægt. Jeg lægger 5 af disse piller (2.500 mg) i et glas (ca. 200 ml) appelsinsaft hver nat før sengetid. Jeg bruger en plastbeholder (ca. 500 ml) med et tæt låg og et stramt gummibånd, der markerer linjen svarende til et glas. Jeg lader lægemidlet opløses natten over i appelsinsaften og efter en kraftig rysten eller to drikker blandingen om morgenen, så snart jeg vågner op. Man skal drikke blandingen på tom mave og vente 30 minutter efter det, før man spiser noget. Jeg laver blandingen ved sengetid, så jeg ikke behøver at vente 15 til 20 minutter om morgenen på at den kan opløses og derefter vente yderligere 30 minutter før jeg må spise noget. Jeg har brug for min kaffe hurtigere end det, og med de ekstra 15 til 20 minutter får jeg min koffeinafhængighed tilfredsstillet hurtigere.

Livet med jernophobning

Den eneste ulempe med Exjade®, som jeg har oplevet, er gastrointestinal nød. Det er overraskende, hvor hurtigt lægemidlet udløser mit behov for at komme på toilettet. Diarré er almindeligt, og nogle gange intens. Det er en god ide ikke på noget tidspunkt af dagen, at gå for langt fra et toilet. Men de af os med MDS ved alt for godt, nogle ting må vi bare finde os i. MDS-patienter har fortalt mig om andre bivirkninger; Hvoraf nogle langt mere alvorlige end hvad jeg har oplevet.

I foråret 2007 begyndte jeg at tage Vidaza® for at øge blodtallene. I juli i det år begyndte mit hæmoglobin at stige, til sidst nåede jeg 14,5. Jeg kan ikke udtrykke min overraskelse, da jeg så dette tal i blodprøverapport uden et "L" efter det (L for lav). Jeg var transfusionsfri i en periode på 5 måneder. Jeg fortsatte med at tage Exjade® dagligt. Pludselig holdt Vidaza® op med at virke, og jeg havde igen brug for transfusioner, og mit ferritin niveau var faldet fra 1.700 til knap 400. I de næsten seks år siden, og selv med transfusionsfrekvens på 7-8 dage, kunne jeg holde mit ferritin mellem 500-700. Ud over at være meget nemmere at tage, forekommer Exjade® mig også at være langt mere effektiv end deferoxamin.



Der synes at være en vis kontrovers blandt lægerne om, hvorvidt man overhovedet skal foreskrive jernkelering til MDS-patienter. Jeg mener, at det skyldes, at patienter med høj-risiko MDS sandsynligvis ikke lever længe nok til at se resultatet af jern overbelastningen. Men for mig, der startede med en lav IPSS risikoscore, kunne chancen for at jeg kunne leve mange år på transfusioner øge sandsynlighederne for, at jeg kunne leve længe nok til at dø af jern overbelastning. Jeg er taknemmelig for telefonsamtalen med min hæmatolog mindre end et år efter diagnosen, og at han startede mig på jernkelering. Det har gjort det muligt for mig at fortsætte med transfusioner i 14 og et halvt år.

Bob Weinberg

Mit liv med MDS

En dybere forståelse af din MDS diagnose vil hjælpe dig og dine pårørende til aktivt at deltage i din individuelle behandlingsplan.

Mit liv med MDS giver dig flere værktøjer, som du kan tilpasse til personlig værktøj vedrørende din MDS diagnose, din sundhedsprofil, og de sundhedsprofessionelle du er i kontakt med. Der er også elementer til at følge dine fremskridt.

bidragydende forfattere

Erin Demakos
Sandra Kurtin
Sarah Tinsley

Myelodysplastiske syndromer er en gruppe knoglemarvssygdomme, som har vidt forskellige prognoser, behandlingsmuligheder, og forventet overlevelse. At få fortalt, at du har MDS kan frembringe mange følelser, herunder frygt og usikkerhed. Usikkerhed om diagnosen, hvilken behandling der vil være rigtigst for dig, hvordan den vil påvirke dig, og hvilke bivirkninger du vil opleve kan bidrage til din frygt og angst. En dybere forståelse af din MDS diagnose vil hjælpe dig og dine pårørende til at tage aktivt del i fastlæggelsen af din individuelle behandlingsplan, samt hjælpe dig med at træffe beslutning om den bedste behandlingsmulighed på et oplyst grundlag.

Udforsk “MDS - En vej med Håb”

Giv dig selv tid til at vænne dig til din diagnose. Afsæt tid til at udforske “MDS - En vej med Håb”, som indeholder nogle ressourcer, som kan hjælpe dig med bedre at forstå din diagnose og give dig strategier til at tage aktivt del i dit liv med MDS. Dan partnerskaber med venner, pårørende og sundhedsprofessionelle, som vil kunne hjælpe dig med at leve med din MDS. Bed om hjælp fra familie, venner eller fagfolk. Overvej at deltage i en patientstøttegruppe enten personligt eller online; eksempelvis på Facebook. Andre som lever og har levet med MDS i nogen tid, kan have gode forslag til, hvordan man bedst lever med denne sygdom.

Daglige aktiviteter

Spis godt, forbliv aktiv, og tilbring tid sammen med din nærmeste familie. Spis rigtigt, træn, sov godt, og deltag i aktiviteter med venner og familie for at forbedre din samlede livskvalitet.

Via følgende link kan du downloade et regneark med en række ark, hvori du kan samle information om din behandling. Regnearket er tilpasset danske forhold m.h.t. navne på de forskellige typer af test, som hospitaler laver på blodprøver, enheder på måleresultater og normalområdet. Regnearket indeholder følgende skemaer:

- Mine personlige informationer
- Mine første blodprøveresultater
- Behandling af min MDS
- Mine knoglemarvsprøver og cytogenetik
- Min blodtype og antistof test
- Mine billeddiagnostiske og andre test
- Mine blodtal og blodtransfusioner
- Mine konsultationer
- Min medicinske historie
- Min receptpligtige medicin
- Min håndkøbsmedicin
- Mine læger og sygeplejersker

Skemaerne i regnearket er findes også afsnittet “Yderligere Ressourcer” under “Skemaer”, og som PDF-filer i A4-format på hjemmesiden <http://dkpsg.mds-and-you.info> under “Patient ressourcer”. Fra hjemmesiden kan du også downloade regnearket i Excel eller LibreOffice formaterne.

Hvad er MDS?

MDS er en forkortelse af Myelodysplastisk Syndrom. Det er en gruppe knoglemarvssygdomme. Knoglemarven er en fabrik, som fremstiller blodceller, herunder røde blodlegemer, hvide blodlegemer og blodplader. Når man har sygdommen MDS, er knoglemarven unormal på grund af en række ondartede forandringer. Resultatet er ikke-effektiv produktion af normale modne blodceller, hvilket resulterer i lave blodtal (cytopeni). Der findes en række undertyper af MDS med meget forskellige prognoser, behandlingsmuligheder samt risiko for at udvikle leukæmi.

Er MDS kræft?

Diagnose af sygdommen MDS kræver en knoglemarvsbiopsi og et knoglemarvaspirat. Prøven analyseres af patologer, som har specialiseret sig inden for blodsygdomme (hæmatologiske sygdomme, blodkræft (blodcancer)). Diagnosen MDS kræver specifikke ondartede forekomster såsom dysplasi og / eller cytogenetiske abnormaliteter. Forskningen har identificeret molekulære abnormiteter, som menes at spille en rolle ved udviklingen af MDS. I betragtning af de underliggende ondartede træk ved sygdommen, betragtes MDS som en form for blodkræft.

Er MDS arvelig?

Nedarvet genetisk disposition for at udvikle MDS er sjælden. Efterhånden som klinikere bliver mere fortrolige med de diagnostiske værktøjer til at påvise MDS, påvises MDS oftere hos patienter med cytopenier (lave blodtal). Udviklingen af terapeutiske muligheder kan øge antallet af patienter, som udredes. Et stigende antal patienter som behandles med cytotoxiske behandlinger, har øget potentiale for sekundær malignitet, inklusive MDS.

Hvad er årsagen til MDS?

Årsagen til MDS er ukendt hos mere end 80% af diagnosticerede patienter. Sygdommen er mere almindelig hos mænd end hos kvinder (forholdet mellem mandlige og kvindelige patienter 4,5: 2 pr 100.000 indbyggere). Som med mange typer af cancer, er alder en prædisponerende faktor. Størstedelen (86%) af MDS patienterne er på diagnosetidspunktet ældre end 60 år. Risikoen for MDS øges ved udsættelse for kemikalier, såsom benzen og andre opløsningsmidler, og tobaksrøg er også kendt for at øge risikoen for at udvikle MDS. Patienter, som modtager visse typer kemoterapi eller strålebehandling for andre former for kræft kan have øget risiko for at udvikle behandlingsrelateret MDS.

Hvad er symptomerne på MDS?

Starten på en udredning for MDS er ofte, at en patient henvender sig til sin læge med nogle af følgende symptomer:

- Træthed, åndenød, hjertebanken, som alle også er symptomer på anæmi.
- Feber, tilbagevendende eller langvarige infektioner, som alle også er symptomer på neutropeni.
- Blå mærker, petekkier eller blødning, som alle også er symptomer på trombocytopeni.

Mange patienter er asymptomatiske og kan have vage symptomer forbundet med en eller flere cytopenier, som viser sig ved lave tal for røde-, hvide blodlegemer og/eller blodplader.

Hvordan diagnosticeres MDS?

Den første test er oftest en fuldstændig blodtælling, som afslører normocytær eller makrocystisk anæmi, normalt eller lavt antal neutrofile granulocytter, og variable trombocytter. Anæmi observeres hos 90% af patienterne med MDS, enten ved første henvendelse til egen læge eller under forløbet af deres sygdom. En omhyggelig medicinsk historie og yderligere laboratorieanalyse bør laves for at udelukke andre årsager til cytopeni.

Ofte stillede spørgsmål

Hvad er mine behandlingsmuligheder?

Valget af behandling til MDS patienter er meget individualiseret baseret på anerkendte karakteristika ved sygdommen og en risikoanalyse af sygdommens mulige udvikling. Behandlingsmulighederne baseres på de observerede karakteristika. Målet med behandlingen af MDS er baseret på sygdoms-karakteristika, patientkarakteristika og sygdommens risikokategori.

I USA, anvendes det Internationale Prognostiske Scoring System (IPSS) til at opdele de forskellige MDS-undertyper i to store grupper: lav- og intermediær-1 risiko eller intermediær-2 og høj risiko. Denne opdeling er også almindelig i Danmark. Målet med behandlingen i hver af disse grupper er baseret på forventet overlevelse og risikoen for at sygdommen udvikler sig til akut leukæmi.

En revideret IPSS (IPSS-R) er udviklet til at forbedre risikoinddelingen og derved kunne vejlede i valget af behandling. WHO Prognostic Scoring System, med lignende retningslinjer for valg af behandling, er almindeligt anvendt i Europa.

Er blodtransfusioner farlige?

Kroppens normale mekanisme til at styre dens jerndepoter er meget effektiv. Hver pose af transfunderet blod leverer imidlertid jern, som overstiger kroppens normale daglige behov. Efter gentagne transfusioner, overskrider mængden af de niveauer, der kan reguleres af normale jern homeostatiske mekanismer, og det fører til dannelsen af giftige jerndepoter og efterfølgende cellulære skader.

Der er en stærk sammenhæng mellem transfusionsintensitet (antal enheder modtaget i løbet af en uge eller måned) og organskader. Jernophobning kan medføre beskadigelse af organer:

Hjerte - kongestivt hjertesvigt

Lever - forhøjede leverfunktionsprøver, hepatomegali, smerte

Endokrine kirtler - diabetes

Knoglemarv - dysfunktionel hæmatopoiese

Baseret på disse data og en bekymring for yderligere svigt i knoglemarven, betragtes transfusionsafhængighed som en indikation for at påbegynde en sygdomsmodificerende behandling af MDS.

Hvor sandsynligt er det, at jeg får det bedre af behandlingen?

Resultatet af behandling af MDS patienter varierer alt efter IPSS risikokategorier samt andre prognostiske indikatorer. Allogen knoglemarvstransplantation er eneste potentielt kurerende behandling. Dog kan mange patienter have betydelig gavn af andre behandlinger, og der er blevet rapporteret langvarig effekt af disse.

Hvor længe kan jeg forvente at få behandling?

På grund af det begrænsede antal behandlingsmuligheder og da sygdommen er uhelbredelig, fortsættes sygdomsmodificerende behandlinger for MDS indtil sygdommen udvikler sig eller medicinens bivirkninger bliver uacceptable.

Hvor længe vare det før behandlingen viser effekt?

Et minimum af fire til seks måneders behandling er nødvendig for at evaluere effekten af nogle af behandlingerne, og muligvis kan det vare så længe som ni måneder, før effekten af din behandling er tydelig.

Hvilke nye behandlinger er i horisonten for patienter med MDS?

Kliniske forsøg med nye behandlingsmuligheder for MDS er hele tiden i gang, og de kan altid anbefales til sygdomme, som har begrænsede etablerede behandlingsmuligheder, såsom MDS. Disse forsøg giver håb for patienter, der har haft begrænset nytte af godkendte behandlinger eller som er i høj risikogruppe, som menes at have begrænset effekt af eksisterende behandlinger. Regler for og tilsyn med kliniske forsøg og godkendelse af lægemidler varierer fra land til land, så spørg din læge. I Danmark godkendes ny medicin af Medicinrådet.

Ofte stillede spørgsmål

Hvad er de almindelige bivirkninger af behandlingen, og hvad der kan gøres for at kontrollere dem?

Den mest almindelige bivirkning for alle behandlinger af MDS er myelosuppression, herunder anæmi, neutropeni og trombocytopeni. Derfor anbefales en ugentlig komplet blodtælling inklusiv differentialtælling og trombocytaltal de første otte uger af behandlingen. Man kan også forvente, at cytopenier bliver værre før de bliver bedre.

Livskvalitetsforbedrende behandlinger, som vækstfaktorer og blodtransfusioner anbefales. Alle medikamenter kommer med retningslinjer baseret på kliniske forsøg på dosisændringer og behandlingspauser.

Kvalme og opkast: Anti-kvalme medicin er en effektiv strategi til at minimere kvalme og opkast.

Forstoppelse: hypometylerende medikamenter - menes også at være relateret til indtagelse af 5HT3 antagonist antiemetika. En regelmæssig afføringsrytme der omfatter brug af afføringsmidler, efter behov, vil reducere sværhedsgraden af forstoppelse i forbindelse med behandling. Desuden kan en god kost og regelmæssig motion være godt.

Nyre og leverpåvirkninger er mere almindelig hos ældre voksne. Baseline og løbende laboratorieanalyser vil tillade tidlig identifikation og hurtig indgriben overfor potentielle nyre og leverpåvirkninger forbundet med behandlingen.

Lægemiddel-specifikke bivirkninger. Azacitidin: reaktioner på injektionsstedet. Lenalidomid: udslæt, pruritus, diarré, sikkerhedsprogram for lenalidomid.

Jern overbelastning. Jernkelerende behandling kan være forbundet med cytopenier og nyre- og hepatiske toksiciteter.

Hvad kan jeg gøre for at holde mig selv sund?

De generelle principper for en sund livsstil gælder også for MDS patienter. En afbalanceret kost, daglig aktivitet og motion efter evne, og deltagelse i aktiviteter vigtigt for at bevare et optimalt helbred og velvære. Løbende styring af andre sundhedsmæssige forhold er vigtig for optimal sundhed og berettigelse til fremtidige behandlingsmuligheder.

Hvordan vælger jeg et knoglemarvstransplantation center?

Der er mange faktorer du bør overveje, når du vælger et transplantation center. Nogle patienter ser på en centerets erfaringer med bestemte sygdomme eller patienters alder. Andre patienter vælger et center tæt på deres familie og venner. (National Marrow Donor Program (2011)) Nogle af de ting, som du og din henvissende læge kan finde ud af om et potentielt transplantationscentre er følgende:

- Hvilke erfaringer har dette transplantationscenter?
- Hvordan er transplantationscenters overlevelsesstatistik?
- Hvad er antallet af transplantationer foretaget for min sygdom på dette center sammenlignet med andre centre?
- Hvilke krav stiller dette center til match mellem patient og donor?
- Hvad er præ-transplantation omkostningerne ved dette center?

I Danmark er der to valgmuligheder Rigshospitalet i København og Skejby Sygehus ved Aarhus.

Sund kost begynder med en madplan. Ved at spise den rigtige mad, får din krop næring og energi til at komme igennem dagen. En afbalanceret kost kan hjælpe med at bekæmpe træthed og sygdom. Tilstrækkelig indtagelse af mad og væske hjælper også med at tolerere behandlingen. De centrale dele af en sund kost er hydrering, frugt og grøntsager, fuldkorn, fedtfattige mejeriprodukter og begrænsede mængder af sukker og forarbejdede fødevarer.

At blive diagnosticeret med MDS påvirker folks ernæring forskelligt. Nogle har svært ved at spise, og taber sig, mens andre ikke gør det. Hver person har en unik sygdoms oplevelse, med varierende ernæringsmål. En diætist kan hjælpe med at fastlægge dine mål med at spise godt og vedligeholde din vægt. Et godt sted at starte med kostråd i USA er www.dietaryguidelines.gov. I Danmark har Sundhedsstyrelsen udgivet "De 10 kostråd", på deres hjemmeside <https://www.sst.dk/da/sundhed-og-livsstil/ernaering>, og har også råd til mennesker med kroniske sygdomme, som MDS.

Er jeg nødt til at følge en speciel diæt når jeg har MDS?

Mennesker med MDS har muligvis behov for at følge en speciel diæt, såfremt de har et meget lavt antal hvide blodlegemer eller skal have en stamcelletransplantation. Spørg din kontaktsygeplejerske, hvad de anbefaler, da retningslinjerne for en neutropenisk kost kan variere fra afdeling til afdeling.

Generelle kostråd

Det vigtigste er huske på at opretholde en afbalanceret kost og tilstrækkelig hydrering. Hver person har unikke behov baseret på deres normale kost (vegetar, veganer, kosher, glutenfri, diabetisk, etc.), og muligvis yderligere individuelle behov (tidligere tarmoperationer, tandsundhed, irritable tyktarm, fødevareallergi, osv.). Det kan være nyttigt at mødes med en diætist for at bestemme dit daglige kaloriebehov, og hvordan du kan få disse i de fødevarer, du kan lide at spise.

Generelle kostråd

- Spis frugt og grøntsager.
 - De kan være friske, frosne, eller på dåse.
 - Spis flere mørkegrønne grøntsager som bladgrøntsager eller broccoli og appelsiner samt gulerødder og søde kartofler.
 - Vask alle frugter og grøntsager godt før de spises.
- Varier dit valg af proteiner med mere fisk, bønner og ærter.
- Spis mindst 75 gram hele korn, brød, kiks, ris eller pasta hver dag.
- Ha' tre portioner af fedtfattig eller fedtfri mejeriprodukter (mælk, yoghurt eller ost), der er beriget med D-vitamin for at hjælpe med at holde dine knogler sunde.
- Spis sundt fedt (flerumættede og enkeltumættet fedt).
- Såfremt du er i gang med en stamcelletransplantation - er du måske nødt til at følge en bestemt neutropenisk kost (en kost til patienter med meget lave blodtal grundet stamcelletransplantation eller leukæmi behandling).
 - Undgå råt kød eller rå fisk og ubehandlede eller utilstrækkeligt kogte æg. Steg kød til det er gennemstegt. Kog æg til de er hårdkogte (ingen smilende æggeblommer).
 - Undgå salat barer og delikatesser. Køb vakuumpakkede frokost kød i stedet for frisk udskåret kød.
 - Brug kun pasteuriseret mælk, yoghurt, ost og andre mejeriprodukter.
 - Undgå blødt skimmel-modnede og blåskimmeloste såsom Brie, Camembert, Roquefort, Stilton, Gorgonzola, og Bleu.
 - Undgå vand fra åbne brønde eller kog det i et minut før du drikker det. Hjemme, er det okay at drikke vand fra hanen eller vand på flaske.

Hydrering

Tilstrækkeligt med væsker er en vigtig del af en sund kost. Din krop har brug for væsker for at fungere ordentligt, ligesom en bil har brug for benzin for at køre. Tilstrækkelig hydrering er forskelligt fra person til person. Målet med hydrering er at undgå dehydrering uden at drikke for meget væske. De følgende tips kan hjælpe dig med at forbedre din hydrering.

- Ha' væsker med dig, uanset hvor du går.
- Hvis drikning af et helt glas forårsager oppustethed, så tag små slurke i løbet af dagen.
- Drik det meste af dit væskebehov mellem måltiderne.

Motion

Det hyppigst rapporterede symptom hos MDS patienter er træthed. En af de bedste strategier for at bekæmpe træthed er motion, så spadsereture forbedre din træthed! I flere studier har motion vist sig at nedsætte træthed og følelsesmæssig stress. Motion forbedrer funktion og generel livskvalitet. En række motionsforløb er undersøgt hos kræftpatienter i forskellige faser af deres behandlingen, herunder aerob motion, styrketræning og udspænding. Eksempler på undersøgte typer aerobe motion er gang og cykling.

Før du starter et nyt træningsprogram, er det en god idé at drøfte dine planer med en læge for at sikre, at den planlagte træning passer med din helbredstilstand. Individuelle træningsprogrammer kan udformes så de passer til de fleste behov. Et motionsprogram kan ændres til at passe til hver enkelt person, baseret på deres alder, køn, MDS undertype og behandling, og fysiske tilstand. Der bør også tages hensyn til dine blodtal. Såfremt ud har neutropeni, er det bedst at undgå offentlige svømmebassiner og boblebad. Har du svær anæmi, så bør aerob træning udføres efter en transfusion, når dit hæmoglobin niveau er normalt. Hvis dine blodplader er mindre end 50.000 bør hård fysisk træning undgås, for at undgå problemer med blødning. I tvivlstilfælde, så drøft sagen med din kontaktsygeplejerske. Generelt er det primære mål at komme i gang. Start langsomt og forsøg at gøre fremskridt ved at sætte realistiske mål undervejs. Rekrutter støtte fra familie og venner.

Søvn

At have det godt begynder med en god nats søvn, og det kan være en udfordring, når man lever med en MDS diagnose. Det kan være beroligende at vide, at man ikke er alene i at have vanskeligheder med at sove. Mellem en tredjedel og halvdelen af alle kræftpatienter oplever ændringer i deres søvn mønster. Søvnbesvær har været forbundet med fysisk sygdom, smerte, hospitalisering, medicin, og de psykologiske konsekvenser af at leve med en kræftdiagnose. Dårlig søvn forstyrrer ens evne til at fungere godt og øger sandsynligheden for depression og angst. Manglende søvn har også været forbundet med nedsat smerte tolerance. Det er klart, at tilstrækkelig søvn forbedrer livskvaliteten.

Hvor meget søvn er nok?

Den generelle tommelfingerregel er 7-9 timers søvn per nat, ifølge den amerikanske organisation National Sleep Foundation. Men ligesom med motion, så er søvnbehov individuelle. Én person kan fungere godt med 7 timers søvn, mens en anden har brug for 10 timer. Forskning viser også, at hver person har basale søvnbehov og søvn gæld. Basale søvnbehov er de normale mængder af søvn en person har behov for hver nat, og søvn-gæld er den mængde søvn der tabes på grund af arbejde, sygdom eller andre årsager. Når søvnbehovet løbende ikke tilfredsstilles, så påvirker det alle områder af livet, og kan føre til sygdomme.

Gør søvn til en prioritet

Det begynder med en evaluering af ens nuværende sovevaner herunder antal søvntimer, søvnkvalitet, og miljø. Såfremt søvnen ændres grundet symptomer relateret til MDS, så diskuter disse symptomer med din læge eller sygeplejerske. Der er forskellige strategier og medicin, der kan forbedre kvaliteten og mængden af søvn. Følgende kan måske hjælpe:

- Hold den samme dagsrytme, dvs gå i seng omkring samme tid hver dag, og stå også op omkring samme tid hver dag.
- Undgå stimulanser, som koffeinholdig kaffe, de sidste 2 timer før sengetid.
- Motioner i omkring 30 minutter tre til fem gange om ugen.

- Begræns egentlige hvilepauser i dagtimerne til en længde på 30 minutter.
- Ha' fra 30 minutter til en time stille tid lige før du går i seng.
- Diskutere problemer med at sove med din læge eller sygeplejerske. Medicin mod angst, depression og søvnløshed kan være nødvendig.

Gå en tur!

En MDS diagnose ændre ens liv. Ligesom ved mange andre kræftformer, er der stor usikkerhed. Hvor lang tid har jeg at leve i? Det næste spørgsmål er som regel, hvordan vil min MDS påvirke min livskvalitet. Ændringer i dine blodtal kan begrænse de aktiviteter, du er i stand til at deltage i. Det er et spørgsmål, som hyppigt stilles sundhedspersonalet.

Hvad kan jeg trygt lave, når jeg er neutropenisk?

Husk, at neutrofile granulocytter er en type af hvide blodlegemer, som beskytter kroppen mod infektion. Neutrofile granulocytter er en del af det totale antal hvide blodlegemer. Antallet af neutrofile granulocytter findes ved en differentialtælling de samlede hvide blodlegemer tal (WBC). Neutropeni henviser til en situation med neutrofilital på mindre end 1.000. Hvis dit samlede antal hvide blodlegemer kun er 1000, så har du neutropeni. Din kontaktsygeplejerske kan hjælpe dig med at forstå dine blodtal.

Retningslinjer for aktiviteter, mens man er neutropenisk er relateret til risikoen for at blive udsat for mennesker eller steder, der vil øge risikoen for at udvikle en infektion. Ikke uventet, skaber overfyldte steder med tæt personlig kontakt større mulighed for at få en infektion. Om man får en infektion afhænger imidlertid af mange faktorer. De fleste infektioner, som patienter med neutropeni får, er ikke relateret til eksponering fra andre personer eller steder. De fleste infektioner er fra bakterier, der allerede lever inde i kroppen, og som bliver til problemer, når mængden af neutrofile granulocytter er lav. De fleste kræftcentre har implementeret neutropeniske sikkerhedsforanstaltninger.

Nedenfor er nogle anbefalinger, der kan bruges som en rettesnor, når man oplever lettere neutropeni. Disse er kun retningslinjer, og livskvaliteten skal afvejes mod fordelene ved "at følge reglerne":

- Undgå mennesker, der er tydeligvis syge, og undgå overfyldte lukkede steder, når dine neutrofilital er lave, og oprethold en sund livsstil.
- Undgå mennesker med luftvejsinfektioner - det betyder ikke, at du ikke kan gå ud, blot at du undgår tæt kontakt med personer, der er syge.
- Undgå områder med store skarer af mennesker, såfremt dine neutrofilital meget lave. Dette gælder ikke for alle MDS patienter, kun de, der gennemgår en stamcelletransplantation, leukæmi behandling, eller som har meget lave blodtal.
- Bær altid hånddesinfektionsmiddel, og brug det på offentlige steder, eller ved brug af andres telefoner, toiletter etc.
- Vask hænder ofte.

Om at være omgivet af børn

Den tid man nyder i selskab med familien, herunder børn, er vigtig. De fleste patienter med MDS kan nyde tiden sammen med deres familie uden restriktioner. Diskuter eventuelle anbefalinger i begrænsning af kontakt med børn med din læge eller sygeplejerske.

Der er særlige anbefalinger omkring kontakt med børn for patienter, der gennemgår en stamcelletransplantation, leukæmi behandling, eller som har et meget lavt antal hvide blodlegemer (neutropeni). Disse retningslinjer er at undgå kontakt med:

- Ethvert barn, der har feber eller viser tegn på infektion, såsom løbende næse eller hoste. Virale infektioner er almindelige hos børn, der går i dagpleje og øger chancen for at overføre infektioner ved tæt kontakt.
- Børn, der modtager levende vacciner (f.eks. polio vaccine) kan udskille virus i de første par timer efter immunisering. Spørg din læge og/eller sygeplejerske, såfremt du har spørgsmål om risiko for infektion.
- Du skal være opmærksom på, at små børn kan være bærere af skoldkopper eller mæslinger. Hvis du opdager, at du har været i kontakt med et barn, der har fået skoldkopper eller mæslinger hurtigt bagefter, så skal du kontakte din læge.

Medicin

Det er vigtigt at have en aktuel liste over alle lægemidler, hvem der har ordineret dem, dosis og hyppighed af brug; dette gælder også medicin, man er holdt op med at tage, (se: Følg din behandling). Dette gælder også håndkøbsmedicin og eventuel "naturmedicin."

Alle medikamenter, uanset om de er ordineret, købt i håndkøb, eller naturpræparater, har potentiale til, i nogle tilfælde at resulterer i alvorlige bivirkninger. Noget af den håndkøbsmedicin, der skal anvendes med forsigtighed, er:

Acetaminophen (Tylenol) / Paracetamol

- Mest almindeligt anvendte håndkøbsmedicin i USA. Det aktive stof kaldes også paracetamol, og findes i Danmark i håndkøbsmedicin som Panodil og Pinex.
- Sælges ofte som kombinationsmedicin. Check etiketterne for at se, om navnene Acetaminophen eller Tylenol er anført på listen af aktive ingredienser.
- Doser på over 3 gram pr 24 timer kan være giftigt for din lever. Det svarer til 6 piller med 500 mg i hver!
- Spørg dit sygeplejehold om brugen af acetaminophen mod feber, hvis dine hvide blodlegemer er lave - kan det forstyrre overvågning af eventuel feber.

Anti-inflammatorisk medicin er almindeligt anvendt til at lindre smerter fra gigt, hovedpine og feber. Eksempler omfatter Ibuprofen, Aspirin, Naprosyn og Meloxicam.

- Denne klasse af lægemidler kan give problemer ved at maskere feber i perioder med neutropeni, og forstyrre blodpladernes funktion
- Når trombocytallet er mindre end 50.000, bør man ikke bruge denne type medicin. Den kan øge risikoen for blødning.

Antihistaminer: Diphenhydramine (Benadryl eller Calmixin) bruges ofte før transfusion af pakkede røde blodlegemer og blodplader for at forhindre transfusionsreaktioner. Den væsentligste bivirkning patienter har rapporteret er sedation. Det kan også give problemer med uro i benene og agitation ved højere doser. Hvis du oplever ubehagelige bivirkninger, så diskuter om der er alternativ medicin eller om dosis kan justeres med din læge og/eller sygeplejerske.

Komplementære behandlinger

Komplementære behandlinger er behandlinger, der anvendes som supplement til en standardbehandling, som antages at være sikre, og uden risiko for skader. Almindelige former for komplementære behandlinger er:

- Akupunktur
- Labyrint gåture
- Bøn og spiritualitet
- Aromaterapi
- Masageterapi
- Tai chi
- Kunstterapi
- Meditativ
- Yoga
- Biofeedback
- Musikterapi

Andre alternative behandlinger

Hvedegræs juice er blevet undersøgt for sin evne til at fjerne overskydende jern hos patienter med MDS, og en virkning er påvist. Det var en lille undersøgelse med kun 20 patienter. Deltagerne drak en spiseskefuld frisk hvedegræs juice dagligt i 6 måneder. Der blev observeret en reduktion i deres ferritin niveauer, i gennemsnit fra 2250 til 950 ng / mL. Der blev ikke rapporteret negative bivirkninger.



Kæmpenatlysolie har også vist sig at reducere reaktioner på injektionsstedet hos patienter, som får subkutan azacitidine. Dette blev prøvet til patienter af tyske forskere. Seks af de ti patienter oplevede en reduktion i rødme på injektionsstedet og i irritation. Kæmpenatlysolie blev smurt på injektionsstedet hver aften. Olien er relativ billig og kan købes i mange helsekostbutikker. Bivirkninger var hovedpine og maveproblemer.



MDS ressourcer

Her finder du korte beskrivelser af forskellige organisationer. Der er organisationer med fokus på MDS og med fokus på jernophobning. Der er medicinalindustriens hjælpeorganisationer. Der er skemaer til at følge med i din behandling, og huske hvad der er sket.

En ordliste med forklaring på mange af de ord du støder på i "MDS - En vej med Håb", og en liste med referencer til den originale medicinske litteratur, som denne bog er baseret på.

bidragydende forfattere



Organisationer med fokus på MDS

Organisationer med fokus på MDS Myelodysplastic Syndromes Foundation, Inc. www.mds-foundation.org.

Om MDS Foundation

MDS Foundation blev etableret af en international gruppe af læger og forskere for løbende udveksling af oplysninger relateret til studiet af myelodysplastisk syndrom (MDS). Før MDS Foundation blev etableret, eksisterede der ingen formel arbejdsgruppe dedikeret til MDS. Siden starten har MDS Foundation afholdt 14 internationale symposier i Østrig, Storbritannien, USA, Spanien, Tjekkiet (Prag), Sverige (Stockholm), Frankrig, Japan (Nagasaki), Italien (Firenze), Grækenland (Patras), Skotland (Edinburgh), Tyskland (Berlin), USA (Washington DC) og Spanien (Valencia). Det næste bliver i København, Danmark i 2019. Du kan læse mere om om MDS Foundation her:

<https://www.mds-foundation.org/about-the-mds-foundation/>

om medlemmerne af deres bestyrelse her:

<https://www.mds-foundation.org/board-of-directors/>

om medlemmerne af deres medicinske og videnskabelige råd her:

<https://www.mds-foundation.org/medical-scientific-advisory-board/>

om medlemmerne af deres sygeplejeråd her:

<https://www.mds-foundation.org/nursing-leadership-board-nlb/>

om deres medarbejdere her:

<https://www.mds-foundation.org/staff/>

om deres MDS Centers of Excellence her:

<https://www.mds-foundation.org/mds-centers-of-excellence/>

Rigshospitalet og Odense Universitetshospital er MDS Centers of Excellence. MDS Foundation giver bevillinger til forskere, sponsorere internationale arbejdsgrupper af forskere og læger med henblik på videreudvikling af diagnose, prognose og behandling af MDS, og formidler information om den seneste forskning og kliniske forsøg til sundhedsprofessionelle og patientforeninger.

MDS Foundation formidler også kontakt mellem MDS patienter og deres "MDS Centers of Excellence," og styre et elektronisk forum på deres hjemmeside for at formidle kontakt mellem MDS patienter og pårørende. Derudover kører de uddannelsesprogrammer for både sundhedsprofessionelle, patienter og deres pårørende. Læs mere om dette på MDS Foundations hjemmeside.

MDS Foundation, Inc.

4573 South Broad Street, Suite 150

Yardville, NJ 08.620, USA

Telefon:

800-MDS-0839 (kun fra inden for USA)

609-298-1035 (fra overalt i verden)

Organisationer

The MDS Alliance www.mds-alliance.org

Om MDS Alliance

MDS Alliances formål er at betjene MDS patient- og pårørende foreninger globalt med det formål at sikre optimal behandling af alle MDS patienter i hele verden. Dette er en paraplyorganisation, og på deres hjemmeside kan man finde informationer om MDS på mange forskellige sprog. Dette materiale er gjort tilgængeligt af de mange nationale medlemsorganisationer.

Om Lyle

Lyle er en dansk patientforening for Lymfekræft, Leukæmi og MDS. Lyle arrangerer temamøder og temadag med nyt om de seneste udviklinger inden for diagnose og behandling. Temadage har typisk fokus på en eller to relaterede diagnoser. Lyle udgiver to blade Lyle News og Lyle Focus, som er tilgængelige på foreningens hjemmeside.

Lyle - Patientforeningen for Lymfekræft, Leukæmi og MDS
 Telefon: Banetoften 26
 4700 Næstved

Organisationer med fokus på jernophobning

www.us.exjade.com/patient/epass-advantage.jsp

Exjade® Patient Assistance and Support Services (EPASSTM) Complete Care for patients residing in the United States. Phone 888-903-7277.

www.irondisorders.org/
 Iron Disorders Institute

www.ironoverload.org
 Iron Overload Diseases Association, Inc.

www.pharma.us.novartis.com/about-us/our-patient-care/our-resources/patientrollment.shtml
 Novartis Patient Assistance Foundation, Phone 800-277-2254.

Andre organisationer

www.aamds.org
 Aplastic Anemia & MDS International Foundation

www.cancer.org
 American Cancer Society

www.hematology.org
 American Society of Hematology

www.caringbridge.org
 Caring Bridge

www.anemia.org
 National Anemia Action Council

www.nhlbi.nih.gov
 National Heart, Lung and Blood Institute

www.lls.org
 The Leukemia & Lymphoma Society

Organisationer

Medicinalindustriens hjælpeorganisationer

Vær opmærksom på at disse industrielle hjælpeorganisationer hovedsageligt er sat i verden for at hjælpe amerikanske patienter, og at den person du kommer i kontakt med når du ringer til dem formodentligt kun taler engelsk.

Amgen Amgen Assist Online www.AmgenAssistOnline.com

Amgens patienthjælpeprogrammer giver erstatningsprodukter til uforsikrede eller underforsikrede kvalificerede patienter med begrænsede økonomiske ressourcer. Programmet omfatter Aranesp®, Neulasta®, NPlate®, Epogen®, Vectibix®, and XGEVATM. Telefon 888-4ASSIST (888-427-7478).

Centocor Ortho Biotech, Inc. ProcritLine www.procritline.com

Ressourcer til at hjælpe patienter eller pårørende med at lære mere om behandlinger eller økonomiske programmer. Åbningstiderne er mandag til fredag fra kl. 9.00 til 20.00 EST. Telefon 800-553-3851

Celgene Corporation Celgene Patient SupportTM www.celgenepatientsupport.com

Et dedikeret centralt kontaktpunkt, der hjælper læger og patienter, med at identificere ressourcer for at få adgang til Celgene-produkter, herunder Revlimid® og Vidaza®. Tilgængelig for at besvare dine spørgsmål mandag til fredag fra kl. 8.00 til 19.00 EST. Telefon 800-931-8691. Medication-specifikke hjemmesider: www.Revlimid.com til Revlimid og www.Vidaza.com til Vidaza.

The Celgene Risk Evaluation and Mitigation Strategy (REMS) Program www.celgeneriskmanagement.com

En proprietær risikostyringsuddannelse og restriktive distributionsprogram for patienter, der er ordineret Revlimid, Pomalyst og Thalomid. Oplysninger kan fås online ved at besøge REMS Portal eller ved at ringe til Celgene Customer Care Center gratis nummer mandag til fredag fra kl. 08.00 til 20.00 EST og lørdag fra kl. 9.00 til 15.00 EST. Registreringen kan udfyldes online ved at besøge REMS Portal eller ved at ringe til Celgene Customer Care Center. Telefon 888-423-5436. Medicinske specifikke hjemmesider: www.Revlimid.com for Revlimid og www.thalomid.com for thalomid.

Eisai, Inc. Dacogen® Patient Assistance and Reimbursement Program www.Dacogen.com

Giver information om Dacogen® refusionstjenester. Tilgængelig mandag til fredag fra kl. 8.00 til 20.00 EST. Telefon 877-644-6270.

Genzyme Leukine® Reimbursement Program www.leukine.com

Giver svar på refusions- og dækningspolitiske spørgsmål. Åbningstider er mandag til fredag fra 9:00 til 19:00 EST. Telefon 888-479-5385.

Novartis Oncology EPASSTM Advantage® www.epassrx.com

EPASS (EXJADE® Patient Assistance and Support Services) EXJADE® recept- og refusionsprogram hjælper med at sikre, at patienterne modtager deres recept i tide hjemme eller hvor de vælger det. EXJADE® ScriptAssist Programmet giver assistance og support tjenester til patienter, der allerede modtager EXJADE®. Kontakt dit specialapotek for at fastslå din berettigelse og til at tilmelde dig dette omkostningsbesparelserprogram. Støtteberettigede patienter kan modtage op til \$100 mod out-of-pocket udgifter til recept. Kontakt EPASS Advantage mandag til fredag kl. 9.00 til 20.30 EST. Telefon 888-90 EPASS (888-903-7277). Medicinsspecifik hjemmeside www.us.exjade.com

Her finder du følgende skemaer:

- Mine personlige informationer
- Mine første blodprøveresultater
- Behandling af min MDS
- Mine knoglemarvsprøver og cytogenetik
- Min blodtype og antistof test
- Mine billeddiagnostiske og andre test
- Mine blodtal og blodtransfusioner
- Mine konsultationer
- Min medicinske historie
- Min receptpligtige medicin
- Min håndkøbsmedicin
- Mine læger og sygeplejersker

Disse skemaer også tilgængelige online som Google Sheets via følgende link

<https://docs.google.com/spreadsheets/d/12ELiSrX-Z18OCStWJ9ySA2lj1xEapAJbzDw1J-AQHRw/edit?usp=sharing>

Mine personlige informationer

Navn	Fødselsdato	CPR-nr
Adresse	Postnummer	By
Telefon (hjem)	Telefon (arbejde)	Mobiltelefon
Civilstand		
Pårørende		
Navn	Forhold	Mobiltelefon
Kontakt i nødsituation		
Navn	Forhold	Mobiltelefon

Mine første blodprøveresultater

Blodprøvetest	Nedre grænse	Øvre grænse	Min måling	Dato	Bemærk- ninger
Blodprocent, mænd	8 mmol/L	11 mmol/L			
Blodprocent, kvinder	7 mmol/L	10 mmol/L			
Hvide blodlegemer	3,500 /ml	10,000 /ml			
Absolut neutrofil	1,500 /ml	8,000 /ml			
Blodpladetal	150,000 /ml	450,000 /ml			
Erythropoietin, serum	2.6 IU/ml	18.5 IU/ml			
Jern, serum	50 mcg/ml	170 mcg/ml			
Folat, serum	> 2.76 ng/ml				
B12, serum	239 pg/l	931 pg/l			
Thyroid stim. hormon	0.35	4.00			
Prognose			Mit resultat	Dato	Bemærkninger
WHO Klassifikation					
FAB Klassifikation					
Blast %					
Cytogenetik					
IPSS / IPSS-R					

Nedre- og øvre grænse kan variere mellem forskellige laboratorier WHO - World Health Organisation Classification System
 FAB - French-American-British Classification System IPSS - International Prognostic Scoring System
 IPSS-R - Revised International Prognostic Scoring System

Behandling af min MDS

Dato	Behandling (medicin, dosis, dage)	Bivirkninger / Bemærkninger

Mine knoglemarvsprøver og cytogenetik

Dato	Knoglemarvsblast %	Cytogenetik

Mine blodtype og antistof test

Dato	Blodtype og antibody test

Mine billediagnostiske undersøgelser

Dato	Billediagnostiske og andre test

Mine blodtal og blodtransfusioner

Dato	Blod %	Hvide blodlegemer	Abs. neutrofil	Blodplader	Ferritin	Transfusioner	Bemærkninger

Mine konsultationer

Dato	Ugedag	Tid	Læge / adresse	Spørgsmål / bemærkninger

Min Medicinske Historie

Diagnoser	Dato
Kirugi	Dato

Min Receptpligtige medicin

Medicin / Dosis / Frekvens	Ordineret af	Start dato	Stop dato

Min Håndkøbsmedicin

Medicin / Dosis / Frekvens	Ordineret af	Start dato	Stop dato

Mine læger og sygeplejersker

se også visitkortholderen

Navn	Adresse	Telefon	Fax
Min Familielæge			
Min Hæmatolog			

Absolut neutrofilital (ANC)

Et mål for det faktiske antal modne neutrofile granulocytter i en given mængde blod.

Aferese

En procedure, hvor en blodkomponent (såsom hvide blodceller, røde blodceller eller plasma) udskilles fra blod er taget fra en person, og de øvrige komponenter reinjiceres i donoren.

Allogen stamcelletransplantation

En procedure, hvor matchet knoglemarv eller stamceller fra perifert blod fra en donor (normalt beslægtet) opsamles, opbevares, og infunderes i en patient (recipient) efter højdosis kemoterapi med eller uden strålebehandling. Efterhånden vil de donerede stamceller begynde at lave nye, sunde blodceller til patienten (kendt som indpodning).

Allograft

En samling stamceller indsamlet m.h.p. allogen stamcelletransplantation.

Akut

Pludselig, såsom pludseligt opståede symptomer eller sygdomme.

Akut myeloid leukæmi (AML)

Kræft i blodcellerne. AML er, når meget unge blodlegemer (blaster) i knoglemarven mislykkes at modnes normalt. Flere blastceller produceres end nødvendigt, så der er ikke plads nok i marven til at andre normale blodceller kan udvikles, såsom røde blodlegemer eller blodplader. I nogle tilfælde kan MDS udvikle sig til AML, men i de fleste tilfælde sker det ikke. Synonymer: akut myeloblastær leukæmi, akut myeloid leukæmi.

Anafylaksi

En meget alvorlig allergisk reaktion på et fremmed protein, såsom i en bistik, eller en medicin. Denne reaktion får blodtrykket til at falde og kan forårsage åndedrætsbesvær. Akut behandling er nødvendig for at håndtere disse symptomer. Hvis meget svær, kan anafylaksi føre til chok. Synonym: anafylaktisk shock

Antibiotika

Medicin, som anvendes til behandling af bakteriel infektion. De er en del af kroppens normale forsvarsmekanismer.

Antibiotikum (AB) Terapi

Bruges til behandling af bakterieinfektioner eller hindre en gentagelse af bakterielle infektioner.

Antithymocytglobulin (ATG)

En immunosuppressiv medicin, der fjerner unormalt prolifererende hvide blodlegemer kaldet T-lymfocytter, som forstyrrer normal blodcellevækst. Dette kan genoprette normal produktion af røde blodlegemer, som kan føre til transfusionsafhængighed hos MDS patienter. Der er tre kommercielle medikamenter i denne gruppe: Thymoglobulin[®], Lymoglobulin[®], og Atgam[®].

Anæmi

En tilstand, hvor antallet af røde blodlegemer er under det normale. Dette kan resultere i træthed, almindelig svaghed og åndenød.

Aplastisk anæmi

En sjælden og alvorlig tilstand, hvor knoglemarven ikke laver nok blodceller: røde blodlegemer, hvide blodlegemer og blodplader. Udtrykket aplastisk er et græsk ord, der betyder ikke at danne. Anæmi er en tilstand, der forekommer, når antallet af røde blodlegemer er lavt. De fleste forskere mener, at aplastisk anæmi forekommer, når immunsystemet angriber knoglemarvens stamceller. Aplastisk anæmi kan være erhvervet (startet midt i ens liv), eller kan være arvelig (mindre almindeligt, gået i arv fra forældre til barn). Synonymer: erhvervet aplastisk anæmi, arvelig aplastisk anæmi

Ordliste

Apoptose

Celledød - en del af den normale livscyklus.

Auto Immun Sygdom

Enhver tilstand, der forekommer, når immunsystemet angriber kroppens eget normale væv. Immunsystemet er en kompleks organisation i kroppen, som normalt er designet til at "opsøge og ødelægge" angribere i kroppen, herunder smitsomme stoffer.

Patienter med autoimmune sygdomme har ofte usædvanlige antistoffer, som er rettet mod deres eget væv, cirkulerende i blodet.

Autograft

En mængde stamceller indsamlet m.h.p. autolog stamcelletransplantation.

Autolog stamcelletransplantation

En procedure, hvor en patientens egne stamceller fra knoglemarv eller perifert blod opsamles, lagres og refunderes efter højdosis kemoterapi eller strålebehandling. Efterhånden vil de donerede stamceller begynde at lave nye, sunde blodlegemer.

Basofile granulocytter

Type af hvide blodlegemer, der spiller en rolle i allergiske reaktioner og astma.

Benzen

Et kemikalie, som er almindeligt anvendt i den kemiske industri ved produktion af plastik, harpiks, nylon og syntetiske fibre. Benzen findes også i tobaksrøg, udstødningsgasser fra biler og benzindampe. Udsættelse for benzen kan øge risikoen for at udvikle en sygdom med svigt i knoglemarven. Benzen kan påvirke knoglemarvens stamceller til ikke at fungere korrekt, og derved ens sundhed.

Biologisk stof

Et stof fremstillet af et levende system, såsom en virus, og som anvendes til at forebygge eller behandle en sygdom. Biologiske lægemidler omfatter antistoffer, globulin, interleukiner, serum og vacciner. Synonymer: biologisk, biologisk lægemiddel

Biopsi

En medicinsk procedure som anvendes, der stikkes ind i hoftebenets marv og fjernes et lille stykke fast knoglemarv. Knoglemarvsstykket undersøges for celleabnormiteter, antallet af forskellige celler, og ardannelse.

Bivirkning (Adverse event - AE)

Eventuelle uønskede virkninger af et lægemiddel eller en behandling. Synonymer: bivirkning, giftighed

Blastceller

Umodne blodlegemer, der normalt ville udvikle sig til fuldt funktionelle røde blodlegemer, hvide blodlegemer eller blodplader. Antallet af blastceller i knoglemarven bestemmer, hvor alvorlig ens MDS er. Når 20 eller flere ud af 100 celler i knoglemarven er blaster, defineres sygdommen som akut myeloid leukæmi (AML).

Blodfortyndende medicin

Er medicin, der bruges til at behandle eller forebygge blodpropper. Disse typer medicin kaldes også antikoagulantia (blodfortyndende medicin). Nogle almindelige typer blodfortyndende medicin er enoxaparin eller clexaine (Lovenox eller Clexane), heparin (Calciparine eller Liquaemin), og warfarin (Coumadin). Synonymer: antikoagulerende, antikoagulation

Blodplader

Uregelmæssigt formede, farveløse celler i blodet. Deres klæbrige overflade lader dem, sammen med andre stoffer, danne blodpropper for at stoppe blødninger. Synonym: trombocytter

Ordliste

Blodprop

En blodprop er en lille klynge af blodlegemer, der dannes, når blodplader klæber sammen. En kombination af blodplader og fibrin, der danner et net med den hensigt at forhindre blødning ved en skade eller sygdom. Udtrykket trombe beskriver en blodprop, der udvikler og binder til en blodåre. Blodpropper er mere almindelige i Paroxysmal Natlig Hæmoglobinuri (PNH) og hos mennesker med koagulationsforstyrrelser. Synonym: trombe

Blodprøver

Blodprøver tages sædvanligvis fra armen, og bruges til at evaluere antallet af celler (røde blodlegemer, hvide blodlegemer [og deres undertyper], og blodplader). Blodet undersøges også for form og størrelse af de forskellige blodceller samt til at undersøge hvordan forskellige organer fungerer, såsom nyrerne og leveren.

Blodtransfusion

En procedure, hvor fuldblod eller en af blodets komponenter gives til en person gennem en intravenøs (IV) adgang direkte ind i blodbanen. En transfusion af røde blodlegemer eller en trombocytransfusion kan give midlertidig lindring for nogle patienter med lave blodtal.

Cellularitet

Hvor meget af volumen i knoglemarven, der optages af forskellige typer af blodceller.

Cytogenetik

Test, der udføres på knoglemarvsprøver og som undersøger kromosomerne i cellerne. Dine cytogenetiske resultater anvendes til at identificere den type MDS du har, og til at beregne din risikokategori efter Internationale Prognostic Scoring System (IPSS) og / eller den reviderede IPSS (IPSS-R). Almindelige abnormaliteter omfatter:

- Tabt 5q- - tab af kromosom 5
- Tabt 20 - tab af kromosom 20
- Tabt Y - tab af Y-kromosomet
- monosomi 7 - tab af en af de to 7 kromosomer
- trisomi 8 - tilføjelse af en tredje kromosom 8

Cytogenetisk remission

Ingen tegn på tidligere påviste unormale kromosomer er fundet. Dette repræsenterer en effekt af behandlingen. Når en knoglemarvsprøve udføres på en patient med 5q- MDS, og der ikke findes tegn på et unormalt kromosom 5, så har patienten opnået cytogenetisk remission. Synonym: cytogenetisk respons

Cytopeni

Mangel på (eller for få) modne celler i blodet. Mangler kan forekomme i røde blodlegemer, hvide blodlegemer og / eller blodplader.

Cytotoksisk middel

Et lægemiddel, der dræber visse celler. Kemoterapi til MDS patienter involverer ofte anvendelse af cytotoksiske midler.

Dacogen™ (decitabin)

En medicin, som anvendes til behandling af visse typer af MDS og AML. Dacogen virker ved at forhindre visse gener involveret i kontrol med kræft fra at blive bragt til tavshed, og giver derved mulighed for den normale funktion af disse gener i kroppen. Det er et DNA hypometyleringsmiddel, der gives intravenøst (IV).

Ordliste

De Novo

Den oprindelige sygdom, noget der var stede ved starten. MDS kan være de novo, den oprindelige sygdom, eller behandlingsrelateret, forårsaget af kemoterapi eller strålebehandling givet for behandle andre former for kræft.

Desferal® (deferoramin)

En medicin, der binder til jern og fremmer dets fjernelse fra kroppen ved behandling af transfusion-afhængig jern overbelastning. Det er et jernkelerende stof, der indgives subkutant (under huden).

Differentiering

Processen hvorved celler modnes og bliver sunde voksne celler af en bestemt type (dvs. røde blodlegemer, hvide blodlegemer eller blodplader).

Dysplasi

Unormal form og udseende af en celle; morfologi. Synonym: dysplastiske

Embolus

En blodprop eller andet fremmedlegeme, der kommer ind i blodet og sætter sig fast i et blodkar.

Epidemiologi

Studiet af mønstre og årsager til sygdom i grupper af mennesker. Epidemiologer er forskere, der studerer hvor mange mennesker der har en sygdom, hvor mange nye tilfælde der diagnosticeres hvert år, hvor patienterne bor, og miljømæssige eller andre faktorer, der ville kunne påvirke sygdommen.

Erythrocyt

Et rødt blodlegeme, som transporterer ilt til kroppens celler og kuldioxid væk fra cellerne

Erythropoietin (EPO)

Et proteinstof, der produceres af nyrerne, som reaktion på lavt iltniveau i kroppens væv. Erythropoietin stimulerer produktionen af røde blodlegemer i knoglemarven.

Et "rekombinant" form af en naturlig vækstfaktor anvendes til behandling af symptomer forbundet med anæmi. Det stimulerer knoglemarven til at producere røde blodlegemer. De tre kommercielle navne er Aranesp®, Epogen®, og Procrit®. Disse lægemidler administreres intravenøst eller subkutant.

Erythropoietin-stimulerende midler (ESA)

Medicin, der bruges til at hjælpe knoglemarven med at producere røde blodlegemer. Epoetin alfa (Epogen, Procrit) og darbepoetin alfa (Aranesp) er erythropoietin-stimulerende stoffer, der kan hjælpe med at øge produktionen af røde blodlegemer hos nogle knoglemarvsinsufficiens patienter.

Eosinofil

Type af hvide blodlegemer, der dræber parasitter og spiller en rolle i allergiske reaktioner.

Exjade® (deferasirox)

En medicin, der binder sig til jern og fremmer dens fjernelse fra kroppen til behandling af transfusionsafhængig jernoverbelastning. Det er et jernkelerence stof, der indgives oralt.

FAB Klassifikation

Kriterier, der anvendes til at klassificere forskellige typer af myelodysplastisk syndrom (MDS). FAB (Fransk, Amerikansk, Britisk) klassifikationssystemet blev udviklet af en gruppe af franske, amerikanske og britiske forskere. Dette system er baseret på 2 vigtigste faktorer: procenten af blastceller i knoglemarven, og procentdelen af blastceller i blodbanen. FAB-systemet er noget forældet, men bruges stadig af nogle læger. World Health Organization (WHO) klassificeringssystemet har stort set erstattet FAB klassifikationssystemet.

Ordliste

Fanconi Anæmi

En sjælden arvelig sygdom, der forekommer, når knoglemarven ikke producerer tilstrækkeligt med blodceller: røde blodlegemer, hvide blodlegemer og blodplader. Fanconis anæmi diagnosticeres tidligt i livet. Mennesker med Fanconi anæmi har en stor sandsynlighed for at udvikle kræft. Gentest bruges til at diagnosticere Fanconis anæmi.

Farmaceut

En højt uddannet og autoriseret professionel hvis job er forberedelse, distribution og brug af receptpligtig medicin. En farmaceut rådgiver også patienter, samt læger og andre behandlere, om udvælgelse, dosering, interaktioner og bivirkninger af medicin.

Ferritin

Et protein inde i cellerne, der gemmer jern til kroppens senere brug. Undertiden frigives ferritin til blodet. Ferritin i blodet kaldes serum ferritin.

Fibrose

Ardannelse i væv. Fibrose i knoglemarven er en tilstand, som ses i nogle tilfælde af uklassificeret myelodysplastisk syndrom (MDS).

Flow cytometri

En laborietest, der giver oplysninger om cellerne, som deres størrelse og form, og procent af levende celler. Flowcytometri er en test læger bruger til at finde specifikke proteiner på overfladen af blodceller. Det er en standard test til bekræftelse af diagnosen paroxysmal natlig hæmoglobinuri (PNH). Synonymer: Flow, Immunfænotypebestemmelse fluorescens-aktiveret celle sortering (FACS)

Fluorescens in situ hybridisering (FISH)

En vigtig laborietest, som lægerne bruger for at finde unormaliteter i kromosomerne og andre genetiske ændringer. Fluorescens in situ hybridisering, også kaldet FISH, dirigerer farvet lys under et mikroskop ind på dele af kromosomer eller gener. Manglende eller omlejrede kromosomer identificeres ved hjælp af FISH.

Folat

Et B-vitamin, der findes i friske eller let kogte grøntsager. Det hjælper knoglemarven med at lave normale blodceller. De fleste mennesker får nok folat i deres kost. Læger kan give mennesker med paroxysmal natlig hemaglobinuria (PNH) en form for folat, som kaldes folinsyre.

Graft-versus-host sygdom (GVHD)

GVHD er en almindelig komplikation ved allogen knoglemarvstransplantation / stamcelletransplantation. Det forekommer når donorens immunceller, som nu er i patienten, begynder at se patientens krop som fremmed og angriber den. GVHD påvirker almindeligvis modtagerens hud, tarme, eller lever. Sværhedsgraden kan variere fra mild til meget svær. I nogle tilfælde kan GVHD forebygges eller behandles med særlige lægemidler til at undertrykke kroppens immunceller (immunundertrykkende lægemidler, immunterapi).

Granulocyt

En betegnelse for nogle af de hvide blodlegemer, som har granulat indeholdende enzymer til at hjælpe med at bekæmpe infektioner: neutrofile-, eosinofile- og basofile granulocytter.

Grundforskning

Studiet af et emne til at øge viden og forståelse af det. Målet med grundforskning inden for medicin er bedre til at forstå sygdommen. I laboriet undersøger forskere grundlæggende ændringer i celler og molekyler der er forbundet med sygdom. Grundforskning hjælper med at finde bedre måder at diagnosticere, behandle og forebygge sygdomme på.

Ordliste

Hoftebenskammen

Hoftebenet hvorfra knoglemarvsprøver oftest bliver taget.

Human leukocyt antigen (HLA)

En gruppe af proteiner findes på overfladen af hvide blodlegemer og andre celler. Disse antigener adskiller sig fra person til person. En human leukocyt-antigen test udføres før en stamcelletransplantation for at matche donor og modtager.

Hvide blodlegemer

Celler produceret i knoglemarven og lymfeknuderne. Hvide blodlegemer er vigtige celler for immunsystemet, der forhindrer og bekæmper infektion.

Hypercellulær

En tilstand, hvor der er for mange celler i knoglemarven.

Hypocellulær

En tilstand, hvor der er for få celler, i knoglemarven. Patienter med aplastisk anæmi har hypocellulær knoglemarv.

Hypometyleringsmiddel

Et hypometylerende middel er et lægemiddel, der undertrykker DNA-metylering. Virker ved at forhindre visse gener involveret i bekæmpelsen af kræft fra at blive bragt til tavshed, og muliggør dermed den normale funktion af tumorsuppressorgener. Synonym: demetylerende lægemiddel

Hæmatokrit (HCT)

Procent af det samlede blodvolumen, der består af røde blodlegemer. Mænd har en normal hæmatokrit på 40-52%, mens den hos kvinder normalt er 36-46%. Hæmatokritværdien er en del af en komplet blodtælling. Synonymer: hæmatokrit, PCV

Hæmatolog

En læge, der har specialiseret sig i blodsygdomme.

Hæmatopoiese

Dannelse og udvikling af blodceller.

Hæmokromatose

En tilstand, der opstår, når kroppen optager og lagrer for meget jern. Dette fører til en tilstand som kaldes jernoverskud. I USA, er hæmokromatose sædvanligvis forårsaget af en genetisk sygdom. Organskader, især på lever og hjerte, kan opstå, hvis jernophobning ikke behandles.

Hæmolyse

Ødelæggelse af røde blodlegemer.

Håndkøbsmedicin

Et lægemiddel, der er tilgængeligt uden recept fra en læge.

Idiopatisk

Henviser sædvanligvis til en tilstand uden kendt årsag.

Ikke-myeloablative Transplantation

Type af allogen stamcelle eller knoglemarvstransplantation, der bruger lavere doser af kemoterapi. Dette reducerer bivirkninger forårsaget af kemoterapien, hvilket gør det mere tåleligt for ældre patienter. Det nedsætter ikke risikoen for graft-versus-host sygdom. Synonymer: Reduceret intensitets transplantation.

Immunsystem

Kompleks gruppe af organer og celler, der forsvare kroppen mod infektion og sygdom.

Immunsvækket

Er en tilstand, som opstår, når immunforsvaret ikke fungerer korrekt, og efterlader patienten mere modtagelig for infektioner. En person kan være immunsvækket på grund af et lavt antal hvide blodlegemer eller på grund af brug af visse lægemidler. Synonym: immunkompromiteret

immunundertrykkende medicin

Lægemidler, der sænker kroppens immunforsvar hos personer med autoimmune sygdomme. Disse lægemidler kan anvendes til at hjælpe stamceller i knoglemarven med at vokse og lave nye blodceller. ATG (antithymocytglobulin) eller ALG (anti-lymfocyt-globulin), der sammen med ciclosporin anvendes til behandling af knoglemarvssvigt ved sygdommen aplastisk anæmi. Immunundertrykkende lægemidler kan også hjælpe nogle patienter med myelodysplastisk syndrom (MDS) og paroxysmal natlig hæmoglobinuri (PNH).

Indpodning

Henviser til hvor godt donor cellerne (graft) accepteres af patientens immunsystem (vært) efter en knoglemarvstransplantation eller stamcelletransplantation. Flere faktorer bidrager til en bedre indpodning: patientens fysiske tilstand, hvor alvorlig sygdommen er, hvilken donor der er til rådighed, og patientens alder. En vellykket transplantation resulterer i ny knoglemarv, der producerer sunde blodlegemer (nye hvide blodlegemer, nye røde blodlegemer og nye blodplader).

Intravenøs infusion

En metode til at få lægemidler direkte ind i blodstrømmen ved dryp eller pumpe i løbet af et stykke tid. Synonym: IV infusion

IPSS / IPSS-R

Det International Prognostic Scoring System - et system til klassificering af alvorligheden af MDS. Systemet beregner et tal ud fra bestemte patientdata. Dette tal fortæller, hvor hurtigt en undertype af myelodysplastisk syndrom (MDS) udvikler sig og hjælper med at forudsige, hvad der kan ske med patientens MDS i fremtiden.

Iskæmi

En tilstand, som opstår når blodforsyningen til specifikt organ eller del af kroppen afskæres med lokal iltmangel til følge..

Jernkelerende behandling

En medicinsk behandling til at fjerne ekstra jern fra kroppen. Patienter med forhøjet jern (ferritin) niveauer kan få jernkelerende behandling. Det amerikanske FDA (US Food and Drug Administration) har godkendt to medikamenter til at behandle jernophobning i USA. De to medikamenter er deferasirox, som indtages som tabletter, og deferoxamin, som gives ved injektion. Tilgængelighed varierer fra land til land.

Jernophobning

En tilstand, der opstår, når for meget jern ophobes i kroppen. Patienter, som grundet deres knoglemarvssygdom har behov for regelmæssige transfusioner af røde blodlegemer har en risiko for at få for meget jern i kroppen. Såfremt jernophobning ikke behandles kan alvorlige skader på vigtige organer forekomme.

Kemoterapi

Brug af lægemidler, der dræber celler (cytotoksiske midler). Folk med høj risiko eller intermediær-2 risiko myelodysplastisk syndrom (MDS) behandles med kemoterapi. Kemoterapi kan skade sunde celler, og det kaldes bivirkninger. Hvis kemoterapien får kontrol med de unormale celler, så de relativt få normale blodceller vil begynde at vokse igen. Kemoterapeutiske stoffer omfatter: Cytarabin (DepoCyte) og hydroxycarbamid (Hydrea), daunorubicin (Cerubidine), idarubicin (Zavedos), og mitoxantron (Ebewe).

Ordliste

Kliniske forsøg

En type undersøgelser, der tester, hvordan et lægemiddel, medicinsk udstyr, eller behandling virker på et menneske. Der er flere typer af kliniske forsøg. Behandlingsforsøg afprøver nye behandlingsmuligheder. Diagnostiske forsøg afprøver nye måder at diagnosticere en sygdom på. Screeningsforsøg tester den bedste måde at opdage en sygdom eller et sundhedsproblem på. Livskvalitetsforsøg undersøger mulighederne for at forbedre livet for mennesker med en kronisk sygdom. Forebyggelses forsøg ser efter bedre måder at forebygge en sygdom hos mennesker, der aldrig har haft sygdommen. Forsøg foregår i fire faser:

- Fase I tester et nyt lægemiddel eller behandling i en lille gruppe for at undersøge, om det er sikkert.
- Fase II udvider undersøgelsen til en større gruppe af mennesker for at finde ud af, om det virker.
- Fase III udvider undersøgelsen til en endnu større gruppe af mennesker til at sammenligne det med den normale behandling for sygdommen.
- Fase IV finder sted efter lægemidlet eller behandlingen er godkendt (licenseret) og markedsføres for at finde ud den langsigtede effekt af den nye behandling.

Klone

Betyder at lave kopier. Knoglemarvens stamceller kloner sig selv hele tiden. De klonede stamceller bliver til modne blodceller, der forlader knoglemarven og kommer ind i det cirkulerende blod. Unormale kloner er forbundet med kræft, som MDS.

Knoglemarv

Det bløde, svampelignende væv midt i de større knogler, der fungerer som fabrikker, der producere hvide blodlegemer, røde blodlegemer og blodplader.

Knoglemarvsaspirat

Knoglemarvsaspiratet er en prøve fra den flydende del af knoglemarven. Det bruges til at lave udstrygninger på glasplader med og uden små benstykker. Disse udstrygninger giver information om cellernes form (morfologi), cellernes modning (differentiering) og mængden af blaster (umodne celler) i knoglemarven. Aspiratet kan også anvendes til yderligere undersøgelser - fx cytogenetiske, der kan bidrage til at fastslå årsagen til de observerede cytopenier.

Knoglemarvsprøve

Arbejdet med at udtage en prøve af den flydende knoglemarv og et lille stykke af det indre af knoglen under lokalbedøvelse og anvendelse af en speciel nål. Det udtagne materiale bruges til diagnostiske formål. Materialet kan også bruges til at undersøge knoglemarven for genetiske abnormiteter.

Knoglemarvsbiopsi

Knoglemarvsbiopsi er en lille kerne (form og størrelse som et stykke af blyet i en blyant) af svampede indre af knoglemarven. Den giver oplysninger om knoglemarvens cellularitet (overfyldt = hypercellulær, tom = hypocellular). Prøven kan også give nyttige oplysninger om jernophobning, ardannelse (fibrose), og tilstedeværelse af andre unormale celler. Synonym: Knoglemarv Trepan Biopsi

Knoglemarvsinsufficiens

En tilstand hvor knoglemarven ikke producere tilstrækkeligt med raske blodceller. De mest almindelige af disse sjældne sygdomme er myelodysplastisk syndrom (MDS), aplastisk anæmi og paroxysmal natlig hæmoglobinuri (PNH). Sygdomme i knoglemarven kan erhverves (starter i løbet af ens liv), eller kan være arvelige (mindre almindeligt, gå i arv fra forældre til barn).

Knoglemarvstransplantation

En procedure, hvor høje doser af kemoterapi eller strålebehandling anvendes til at dræbe sygdommen i knoglemarven og lymfesystemet og derefter tilfører sund knoglemarv fra en donor eller patienten selv.

Koagulere

Betyder at blive tykkere, størkne. Normale blodplader får blodet til at koagulere og stopper en blødning.

Ordliste

Kolonistimulerende faktorer (CSF)

Proteiner, der stimulerer udviklingen og væksten af blodceller; undertiden kaldet vækstfaktor.

Granulocytkolonistimulerende faktor er en CSF, der anvendes til at stimulere stamceller fra knoglemarven til at komme ud i blodbanen inden aferese.

Kombinationskemoterapi

Anvendelsen af mere end ét lægemiddel ved kræftbehandling.

Komplet blodtælling (CBC)

CBC måler antallet af hvide blodlegemer (WBC) og antallet af røde blodlegemer, den samlede mængde af hæmoglobin, og hvor stor en fraktion af blodet de røde blodlegemer udgør

Kortikosteroider

Kaldes også "steroider" - kortikosteroider er stærke anti-inflammatoriske lægemidler, der anvendes til at behandle mange sygdomme og lidelser. De binder til et protein kaldet cortisol, der er laves i binyrerne. Kommercielle navne på kortikosteroider omfatter prednison og dexamethason. Synonym: steroider

Kosttilskud

Vitaminer, mineraler, urter og andre stoffer, beregnet til at forbedre din ernæringsmæssige tilstand. Kosttilskud indtages gennem munden i form af piller, kapsler, tabletter eller væske.

Kronisk sygdom

En medicinsk tilstand, der varer i lang tid; ofre resten af livet. En kronisk sygdom kan påvirke en persons livsstil, evne til at arbejde, fysiske evner og selvstændighed.

Kromosomer

Kemiske strukturer, der indeholder en persons genetiske information, DNA. Normalt har hver person 23 par kromosomer.

Leukine® (sargramostim)

En vækstfaktor, granulocyt makrofag koloni-stimulerende faktor (GM-CSF), der anvendes til behandling af neutropeni.

Det øger hvide blodlegemer, hvilket kan bidrage til at reducere sandsynligheden for yderligere infektion. Det administreres subkutant.

Lymfesystemet

Et netværk af organer, lymfeknuder, lymfekanal og lymfekar, der hjælper med at holde kroppens væsker i balance og hjælper kroppen med at bekæmpe infektion.

Lymfocytter

Små hvide blodlegemer produceret i de lymfoide organer (lymfeknuder, milt, thymus og mandler) eller knoglemarv, og er væsentlige for normal funktion af immunsystemet.

Matchet Relateret Donor

Knoglemarv / stamcelle donor, der er en søskende eller på anden måde i familie med patienten.

Mini-Transplantation

Se Ikke-myeloablativ Transplantation.

Monosomi 7

Beskriver tabet af en af de to nummer 7 kromosomer. "Mono" betyder én og "somy" kommer fra ordet kromosom.

Knoglemarvsprøver anvendes til at påvise monosomi 7 og andre genetiske abnormiteter. Monosomi 7 kan forekomme hos voksne patienter med MDS og hos børn med knoglemarvssygdomme.

Ordliste

Monocyt

Hvide blodlegemer, som hjælper kroppen med at bekæmpe infektioner fra nogle bakterier såsom tuberkulose.

Morfologi

Studiet af strukturen og formen af en organisme eller en af dens dele.

Mutation

Enhver ændring i et gen. En mutation kan forårsage sygdom eller kan være uden kendt effekt..

Myelo

Et græsk ord, der betyder marv.

Myeloablation

Drabet af knoglemarven ved strålebehandling eller kemoterapi. Dette udtryk henviser sædvanligvis til den fuldstændige eller næsten fuldstændige ødelæggelse af patientens knoglemarv.

Myelodysplastisk syndrom (MDS)

Myelodysplastiske syndromer (MDS) er en gruppe af knoglemarvssygdomme. Myelo refererer til knoglemarven. Dysplastiske betyder unormal vækst eller udvikling. Hos patienter med MDS laver knoglemarven ikke tilstrækkeligt med nye normale blodceller. Resultatet er for få celler og lave blodtal (cytopeni) og celler, der ikke fungerer ordentligt. De mest almindelige cytopenier er:

Anæmi: lavt antal røde blodlegemer (ilttransporterende celler)

Trombocytopeni: lavt blodplader (celler, der hjælper blodet med at størkne)

Leukopeni: lavt antal hvide blodlegemer (WBC) (hjælper med at bekæmpe infektion)

Neutropeni: lavt antal neutrofile granulocytter (vigtigt type af hvide blodceller, som hjælper med at bekæmpe infektion)

Synonymer: preleukæmi, ulmende leukæmi

Naturlige dræberceller

En type celler, der mangler B-celle og T-celle receptorer, og som angriber muterede eller virus-inficerede celler.

Navlestrengsblod transplantation

En procedure, hvor stamceller fra en navlestreng gives til en patient intravenøst (IV). Stamcellerne indsamles fra en navlestreng lige efter barnet er født. De nedfryses indtil brug. Efterhånden vil de donerede stamceller der er givet til patienten begynde at lave nye, sunde blodlegemer.

Neupogen® (filgrastim)

En vækstfaktor, granulocyt koloni-stimulerende faktor (G-CSF), der anvendes til behandling af neutropeni. Det øger hvide blodlegemer, hvilket kan bidrage til at reducere sandsynligheden for yderligere infektion. Det administreres subkutant.

Neutrofile granulocytter

Hvide blodlegemer, der ødelægger bakterier. Når antallet af neutrofile granulocytter er lavt, har kroppen en større risiko for at få en infektion

Neutropeni

En mangel (under normalt antal) modne hvide blodlegemer, som kaldes neutrofile granulocytter. Neutrofile granulocytter hjælper med at bekæmpe bakterie og svampe infektioner.

Neutropenisk diæt

En særlig sammensat diæt for patienter med meget lavt antal hvide blodlegemer. En neutropenisk diæt undgår brug af visse fødevarer, som kan indeholde bakterier eller svampe, såsom rå kød, upasteuriserede mejeriprodukter, modne oste, fermenterede drikkevarer og uvaskede frugter og grøntsager.

Ordliste

Onkolog

En læge, der har specialiseret sig i behandling og forebyggelse af kræft.

Pakket RBC

Et koncentreret blodprodukt, i hvilket det meste af blodplasmaet og blodvæsken er fjernet for at gøre transfusioner af røde blodlegemer nemmere og hurtigere.

Pancytopeni

Et reduceret antal af alle typer blodlegemer - røde blodlegemer, hvide blodlegemer og blodplader.

Paroxysmal natlig hæmoglobinuri (PNH)

En sjælden og alvorlig blodsygdom, der får røde blodlegemer til at nedbrydes. Paroxysmal betyder pludselig og uregelmæssig. Hæmoglobinuri betyder hæmoglobin i urinen. Hæmoglobin er den røde del af de røde blodlegemer. En person med PNH kan have mørk urin om morgenen, men dette symptom er ikke til stede hos alle PNH patienter.

Patofysiologi

Unormal funktion eller processer, der forårsager eller er forbundet med sygdom eller tilskadekomst.

Pædiatrisk MDS

MDS er sjælden hos børn; men det forekommer. De fleste MDS patienter er 60 år eller ældre.

Perifert Blod Stamcelletransplantation (PBSC)

En procedure, hvor stamcellerne indsamles fra donorens blodbane (perifert blod). Disse stamceller overføres derefter til patienten intravenøst (IV). Efterhånden vil de donerede stamceller begynde at lave nye, sunde blodlegemer.

Petekier

Små, flade røde eller lilla pletter på huden forårsaget af blødninger på størrelse med et nålehoved. Det er ofte et tegn på et lavt antal blodplader.

Placebo

Placebo er en inaktiv pille, væske eller pulver, der har ikke har nogen behandlings effekt. Brug af placebo i kliniske forsøg er i dag yderst sjældent.

Prednison

Et korticosteroid, der bruges af mange årsager. Det ordineres, når kroppen ikke selv producerer nok af dette stof. Det ordineres undertiden med ATG behandling for at reducere risikoen for anafylaksi eller serumsygdom. Det hjælper ved at reducere antistofproduktion i immunsystemet og ved behandling af forskellige allergiske tilstande. Der er mange kommercielle mærker af prednison (Se corticosteroid).

Profylaktisk

Noget, der forhindrer eller beskytter. For eksempel kan blodfortyndende medicin gives som en profylaktisk foranstaltning for at forebygge blodpropper hos patienter i højrisikogruppen.

Pure red cell aplasi (PRCA)

En tilstand, der opstår, når knoglemarvens stamceller ikke laver røde blodlegemer. Antallet af røde blodlegemer er lavt, mens antallet af hvide blodlegemer og blodplader er normale. Synonym: PRCA

Pyridoxin (vitamin B6)

Et vitamin, som er nødvendigt for at producere røde blodlegemer. Det kan være nyttig til at forbedre produktionen af røde blodlegemer ved sideroblastisk anæmi.

Ordliste

Reduceret Intensitet Transplant

Fremgangsmåde svarende til standard knoglemarvstransplantation. Den reducerede intensitet transplantation bruger en mild form for kemoterapi som forbehandling. Dette reducerer bivirkninger forårsaget af kemoterapi, hvilket gør det mere tåleligt for ældre voksne. Det nedsætter ikke risikoen for graft-versus-host sygdom. Synonym: nonmyeloablative transplantation

Refraktær

Ikke reagerende på behandling. Eksempelvis er refraktær anæmi en tilstand med lavt antal røde blodlegemer, som ikke reagerer på standardbehandlinger.

Reticulocyt

Et umodent rødt blodlegeme. Reticulocytter findes normalt i knoglemarven. De er kun til stede i blodstrømmen i et meget lavt antal.

Remission

Tilstand, hvor tegn og symptomer på kræft forsvinder. En remission kan være komplet (CR) eller delvis (partiel) (PR).

Revlimid® (lenalidomid)

Et stof, der virker ved at stimulere immunforsvaret, forebygge vækst af nye blodkar, og stimulere celledød. Det er kategoriseret som et immunmodulerende stof og indtages oralt.

Ring sideroblast

Et rødt blodlegeme, der har for meget jern. Jernet danner typisk en ring rundt om cellens kerne.

Røde blodceller (RBC)

Disse er celler, der transporterer ilt til dine væv.

Sekundær MDS

En type MDS der er forårsaget af en tidligere behandling for en anden lidelse eller sygdom. Behandlinger, der typisk er forbundet med sekundære MDS, omfatter strålebehandling og kemoterapi til behandling af kræft. Synonymer: T-MDS, terapi-relateret MDS

Serum Erythropoietin

Mængde af erythropoietin, som er til stede normalt i en persons blod

Serumsygdom

Et immunsystem kan reagerer på fremmede proteiner i visse lægemidler. Serumsygdom kan være en bivirkning af ATG, en medicin, som anvendes til behandling af aplastisk anæmi, og som forårsager feber, udslæt, ledsmerter og muskelsmerter.

Stamceller

Celler i kroppen, der udvikler sig til andre celler. Voksne stamceller i kroppen reparerer og vedligeholder organet eller vævet, hvori de er tilstede. Bloddannende (hæmapoietiske) stamceller findes i knoglemarven. Disse celler lave kopier af sig selv som udvikler sig til røde blodlegemer, hvide blodlegemer og blodplader. Embryonale stamceller kommer fra humane embryoner og kan anvendes i medicinsk forskning.

Subkutan injektion

En metode til at give medicin i fedtvævet lige under overhuden ved anvendelse af en kort kanyle.

Telintra™ (TLK199)

Et stof, der hæmmer et vigtigt enzym (glutathion S-transferase P1-1 eller GST P1-1), som er involveret i cellevækst og spredning; dette resulterer i normale blodlegemer. Det gives intravenøst (IV).

Terapi relateret MDS

Se Sekundær MDS

Thalomid® (thalidomid)

En medicin, der nedsætter blodforsyningen til marven og dermed arbejder på at begrænse væksten af unormale blodlegemer. Det fungerer også ved at interferere med andre proteiner (cytokiner), der fremmer tidlig celledød i knoglemarven. Det tages oralt.

Transfusion

Den proces, hvorved blod eller en af dens komponenter (f.eks, røde blodlegemer, plasma, blodplader) leveres direkte ind i blodbanen gennem en vene, i lighed med andre IV medikamenter.

Transfusion af røde blodlegemer

En procedure, hvor pakkede røde blodlegemer gives til en person intravenøst (IV). Transfunderede røde blodlegemer øger blodprocenten og hjælper med at formindske symptomerne på anæmi. Det transfunderede blod er en type, som matcher modtagerens blod.

Transfusionsuafhængighed

Tilstand, hvor en patient ikke længere har behov for blodtransfusioner regelmæssigt.

Trisenox® (arsentrioxid)

Et stof, der inhiberer ny vækst af nye blodkar og stimulerer celledød af unormale celler. Det kan øge transfusionsuafhængigheden. Det gives ved intravenøs infusion (IV).

Trombose

Lokal koagulering af blodet. Resultatet er en blodprop.

Trombocytopeni

En tilstand, hvor antallet af modne blodplader eller trombocytter er under det normale. Når tilstanden er alvorlig øges tendensen til blå mærker og blødninger.

Trombocyttransfusion

En procedure, hvor blodplader gives til en person intravenøst (IV). Blodplader er mere tilbøjelige end røde blodlegemer til at forårsage et immunrespons, såsom kulderystelser og feber. Anvendelse af blodplader fra en donor (afereze) reducerer risikoen for reaktion ved transfusion af blodplader. Transfunderede blodplader øger blodpladetal og hjælpe med at kontrollere blå mærker og blødning.

Træthed

En følelse af lavt energi niveau, generel følelse af træthed ved normal aktivitet. Hvile får ikke nødvendigvis trætheden til at forsvinde.

Umodne blodlegemer

Kaldes også stamceller, progenitorceller eller blaster.

Understøttende behandling

Behandling, som gives for at forbedre livskvalitet eller komfort, hos en person med en kronisk sygdom. Understøttende behandling behandler symptomerne snarere end den underliggende årsag til en sygdom. Målet er at hjælpe patienten med at føle sig bedre tilpas. Patienter med lave blodtal kan gives blodtransfusioner som understøttende behandling til hjælpe med at styre symptomerne på deres sygdom. Synonymer: palliativ pleje, symptom management

Ubeslægtet donor

En donor, som ikke er en søskende eller har anden familiær relation til patienten.

Ordliste

Vidaza™ (azacitidin, 5-azacytidin)

En stof, der virker ved at forhindre en cellulær proces (methylering), der gør de gener tavse, der er involveret i at kontrollere udviklingen af kræft. Det kan øge antallet af røde blodlegemer, øge transfusionsafhængighed, øge hæmoglobin niveauet, øge mængden af hvide blodlegemer, øge antallet af blodplader, og / eller nedsætte mængden af blastceller i knoglemarven. Det er kategoriseret som et DNA-hypometyleringsmiddel og gives intravenøst (IV) eller subkutan (under huden).

Vækstfaktorer (hæmatopoietiske)

Et stof der dannes af kroppen som stimulerer knoglemarven til at producere blodceller. Nogle vækstfaktorer er menneskeskabte i laboratoriet og anvendes til behandling af lave blodtal. Disse omfatter rød blodlegeme stimulerende vækstfaktorer kaldet erythropoietin (EPO) og darbepoetin og hvide blodlegeme stimulerende vækstfaktorer kaldet granulocyt koloni stimulerende faktorer (G-CSF) og granulocyt makrofag kolonistimulerende faktorer (GM-CSF). Synonym: cytokin

World Health Organization (WHO) Klassificering

Det mest anvendte system til klassificering af leukæmi og myelodysplastisk syndrom (MDS). Det er udviklet af World Health Organization (WHO). Dette system er baseret på patientdata fra hele verden og på den baggrund den mest opdaterede viden om MDS. WHO klassificeringen af MDS består af mange undertyper baseret på prøver fra både blod og knoglemarv.

Ætiologien

Årsagen eller oprindelsen af en sygdom.

Denne liste af referencer er ikke oversat for at gøre det nemmer for interesserede, at finde frem til referencerne via internettet eller en bibliotekar i det lokale bibliotek. Abstrakt til de fleste artikler kan findes ved at indtaste titlen på US National Library of Medicines database over medicinsk litteratur: PubMed <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/>.

De link, som findes ved de enkelte referencer er enten til artiklens abstract eller hele artiklen såfremt denne er tilgængelig på tidsskriftets hjemmeside. For bøger går linket til forlagets hjemmeside.

1. Arber, D.A. et.al. (2016): "The 2016 revision to the World Health Organization classification of myeloid neoplasms and acute leukemia", *Blood* 127(20):2391-2405, doi:10.1182/blood-2016-03-643544
2. Bejar, R., Levine, R., & Ebert, B.L. (2011): "Unraveling the molecular pathophysiology of Myelodysplastic Syndromes", *Journal of Clinical Oncology*, 29, 504–515, doi:10.1200/JCO.2010.31.1175
3. Bennett, J.M. (2002): "The Myelodysplastic Syndromes: Pathobiology and Clinical Management", ISBN 9780203908853 CRC Press
4. Bisanz, A. et. al. (2010): "Summary of the causative and treatment factors of diarrhea and the use of a diarrhea assessment and treatment tool to improve patient outcomes" *Gastroenterology Nursing*, 33(4) 268-281. doi: 10.1097/SGA.0b013e3181e94307
5. Bohnenkamp, S. and LeBaron, V. (2010): "Management of Constipation in Patients with Cancer", *Journal of the Advanced Practitioner in Oncology*, 1(3):211-217, DOI:10.6004/jadpro.2010.1.3.7
6. Demakos, E. and Kurtin, S. (2011): "Disease burden and treatment impact associated with Myelodysplastic Syndromes: Initial estimates", Abstract 354, *Leukemia Research*, 35(supplement 1):S142
7. Fausel, C.A. (2010): "Iron chelation therapy in myelodysplastic syndromes", *American Journal Health-System Pharmacy* 67(7 Supplement 2): S10-15 doi.org/10.2146/ajhp090654
8. Finberg, R. (2012): "Chapter 86. Infections in Patients with Cancer" in D.L. Longo and T.R. Harrison "Harrison's Principles of Internal Medicine", 18th Edition, McGraw-Hill Medical
9. Garcia-Manero, G. (2011): "Integrating Care for Patients with Lower Risk Myelodysplastic Syndrome", *Seminars in Oncology* 38(5):658-666, doi:10.1053/j.seminoncol.2011.06.002
10. Garcia-Manero, G. (2011): "Myelodysplastic syndromes: 2011 update on diagnosis, risk-stratification, and management", *American Journal of Hematology*, 86(6):490–498 doi:10.1002/ajh.22047/10.1002/ajh.22047
11. "General recommendations on immunization: Recommendations of the Advisory Committee on immunization practices (ACIP)", Tilgængelig på URL: www.cdc.gov/mmwr/preview/mmwrhtml/rr5515a1.htm
12. "Genetics Home Reference", US National Library of Medicine (Bethesda, MD). Tilgængelig på URL: ghr.nlm.nih.gov/
13. Giagounidis, A. et.al (2011): "A European survey on the detection and management of iron overload in transfusion-dependent patients with MDS", *Annals of Hematology* 90(6):667-673 doi: 10.1007 / s00277-011-1181-8
14. Greenberg, P.I. et. al. (2011): "Myelodysplastic Syndromes - NCCN Guidelines", *Journal of the National Comprehensive Cancer Network*, 9(1):30–56 doi:10.6004/jnccn.2011.0005
15. Greenberg, P.L. et.al (2012): "Revised International Prognostic Scoring System for Myelodysplastic Syndromes", *Blood*, 120(12), 2454-2465, doi:10.1182/blood-2012-03-420489
16. Hesketh, P.J. (2008): "Chemotherapy-Induced Nausea and Vomiting", *New England Journal of Medicine* 358(23):2482-2494 DOI: 10.1056/NEJMra070654
17. Kamboj, M. and Sepkowitz, K.A. (2007): "Risk of transmission associated with live attenuated vaccines given to healthy persons caring for or residing with an immunocompromised patient". *Infection Control & Hospital Epidemiology*, 28(6):702-7 DOI 10.1086/517952
18. Keogh, J.W.L. and MacLeod, R.D. (2012): "Body Composition, Physical Fitness, Functional Performance,

Referencer

- Quality of Life, and Fatigue Benefits of Exercise for Prostate Cancer Patients: A Systematic Review”, *Journal of Pain and Symptom Management* 43(1): 96-110 DOI: [dx.doi.org/10.1016/j.jpainsymman.2011.03.006](https://doi.org/10.1016/j.jpainsymman.2011.03.006)
19. Komrokji, R.S. et.al (2011): “Management of Lower-Risk Myelodysplastic Syndromes: The Art and Evidence”, *Current Hematologic Malignancy Reports* 6(2):145-153 doi:10.1007/s11899-011-0086-x.
 20. Kurtin, S.E. and Demakos, E.P. (2010): “An update on the treatment of Myelodysplastic Syndromes”, *Clinical Journal of Oncology Nursing*, 14(3): E24–E39 DOI: 10.1188/10.CJON.E24-E3
 21. Kurtin, S.E. (2011): “Current Approaches to the Diagnosis and Management of Myelodysplastic Syndromes”, *Journal of the Advanced Practitioner in Oncology* 2(Supplement 2):7-18
 22. Kurtin, S.E. (2012): “Myeloid Toxicity of Cancer Treatment”, *J. Adv. Pract. Oncol.* 3(4):209-224 DOI: 10.6004/jadpro.2012.3.4.2
 23. Kurtin, S.E. et.al (2012): “Initial treatment of Myelodysplastic Syndromes”, *Clinical Journal of Oncology Nursing*, 16 (3, Suppl.1), 23–35, doi:10.1188/12.CJON.S1.23-35
 24. Kurtin, S.E. et. al. (2012): “Patient and Family Resources for Living With Myelodysplastic Syndromes”, *Clinical Journal of Oncology Nursing*, 16(3)(Supplement):58-64 doi:10.1188/12.CJON.S1.58-64
 25. Kurtin, S.E. (2012): “Myeloid Toxicity of Cancer Treatment” *Journal of Advanced Practitioner of Oncology* (3):209-224 DOI: 10,6004 / jadpro.2012.3.4.2
 26. Kurtin, S.E, et.al (2012) “Treatment of Myelodysplastic Syndromes: Practical tools and effective management”, *Clinical Journal of Oncology Nursing*, 16(3, Suppl. 1), 23–35. doi:10.1188/12.CJON. S1.23-35
 27. Kushi, L.H. et.al (2012): “American Cancer Society guidelines on nutrition and physical activity for cancer prevention” *CA: A Cancer Journal for Clinicians*, 62(1):30-67 doi: 10.3322/caac.20140
 28. Kwiatkowski, JL (2010): “Oral Iron Chelators”, *Hematol Oncol Clin N Amer.* 24(1):229-24 dx.doi.org/10.1016/j.hoc.2009.11.001
 29. Loscalzo, M.J. (2008); “Palliative Care: An Historical Perspective”, *ASH Education Book* 2008(1):465, doi:10.1182/asheducation-2008.1.465.
 30. Luthy, K.E. et.al (2006): “Safety of live-virus vaccines for children with immune deficiency”, *J. of American Academy of Nurse Practitioners*, 18(10):494-503 DOI: 10.1111/j.1745-7599.2006.00163.x
 31. Malcovatti, L. (2009): “Red blood cell transfusion therapy and iron chelation in patients with Myelodysplastic Syndromes”, *Clin Lymphoma* 9(Supplement 3):S305-S311 <http://dx.doi.org/10.3816/CLM.2009.s.029>
 32. “Medline Plus” Tilgængelig på URL: www.nlm.nih.gov/medlineplus/medlineplus.html
 33. Miller, J. and Starks, B. (2010): “Deciphering Clues in the CBC count”, *Nursing July*; 40(7): 52-5 doi:10.1097/01.NURSE.0000383454.33035.4b
 34. Muehlbauer, PM et.al (2009): “Putting evidence into practice: evidence-based interventions to prevent, manage, and treat chemotherapy- and radiotherapy-induced diarrhea”, *Clinical Journal of Oncology Nursing*, 13(3):336-341. doi:10.1188/09.CJON.336-341
 35. Mukhopadhyay, S. et.al (2007): “The role of iron chelation activity of wheat grass juice in patients with myelodysplastic syndrome”, *J Clin Oncol* 27:15s, 2009 (suppl; abstr 7012)
 36. National Comprehensive Cancer Network (NCCN): “NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology (NCCN Guidelines), Myelodysplastic Syndromes”, Version 2. Tilgængelig online på https://www.nccn.org/professionals/physician_gls/f_guidelines.a.sp
 37. Palesh, O.G. et.al (2010): “Prevalence, demographics, and psychological associations of sleep disruption in patients with cancer: University of Rochester Cancer Center-Community Clinical Oncology Program”, *Journal of Clinical Oncology* 28(2): 292-8 DOI:10.1200/JCO.2009.22.5011

Referencer

38. Patient Page (2012): "A healthy diet and physical activity help reduce your cancer risk", CA: A Cancer Journal for Clinicians, 62(1):68-69 doi: 10.3322/caac.20139
39. Platzbecker, U. et.al (2010): "Reduction of 5-azacitidine induced skin reactions in MDS patients with evening primrose oil", Annals of Hematology, 89(4):427-428 doi: 10.1007/s00277-009-0824-5
40. Rangwala, F. et.al (2012): "Gastrointestinal symptoms in cancer patients with advanced disease: new methodologies, insights, and a proposed approach", Current Opinion in Supportive and Palliative Care 6(1):69-76 doi:10.1097/SPC.0b013e32834f689d
41. Rau, T.K. et.al (2012): "Myelodysplastic Syndromes in Children: Where are We Today?", The Ochsner Journal, 12(3):216-220.
42. Ridgeway, J.A. et.al (2012): "Update on the Sciences of Myelodysplastic Syndromes", Clin.J. Oncology Nursing, 16(3), 9-22, doi:10.1188/12.CJON.S1.9-22.
43. Sekeres, M. (2011): "Epidemiology, Natural History, and Practice Patterns of Patients with Myelodysplastic Syndromes in 2010", J Natl Compr Canc Netw 2011;9:57-63; doi:10.6004/jnccn.2011.0006
44. Sekeres, M.A., et. al. (2011): "Perceptions of Disease State, Treatment Outcomes, and Prognosis Among Patients with Myelodysplastic Syndromes: Results from an Internet-Based Survey", The Oncologist 16(6):904-911 doi:10.1634/theoncologist.2010-0199
45. Shah, J., et.al Management of Transfusion-Related Iron Overload in Patients with Myelodysplastic Syndromes. Clin. J Oncol Nurs, 2012; 16; S37-46 DOI: 10.1188 / 12.CJON.S1.37-46
46. Shander, A., & Sweeney, J.D. Overview of current treatment regimens in iron chelation therapy. US Hematol. 2009;2:59-62 <http://doi.org/10.17925/OHR.2009.02.0.56>
47. Smith, L, Bertolotti, P, Curran K., Jenkins B. Gastrointestinal Side-Effects Associated with Novel Therapies in Patients with Multiple Myeloma: Consensus statement of the IMF Nurse Leadership Board. CJON 2008;12(3):37-52
48. Steensma, D. The role of iron chelation therapy for patients with Myelodysplastic Syndromes. J Natl Compr Canc Netw. 2011;9:65-75 doi: 10.6004 / jnccn.2011.0007
49. Steensma, D.P. (2011): "Hematopoietic Growth Factors in Myelodysplastic Syndromes", J. Semin.Oncol. 38(5):635-647, doi:10.1053/j.seminocol.2011.04.014.
50. Sudano, I. et.al (2012): "Nonsteroidal Antiinflammatory Drugs, Acetaminophen, and Hypertension", Current Hypertension Reports, 14:304 doi: 10.1007/s11906-012-0274-7
51. Temel, J.S. et.al (2010): "Early Palliative Care for Patients with Metastatic Non-Small-Cell Lung Cancer", N.Engl. J. Med. 363(8):733-742, doi:10.1056/NEJMoa1000678.
52. "The Merck Manual Home Edition for Patients and Caregivers", Tilgængelig på URL: www.merckmanuals.com/home/index.html
53. Thomas, M.L. et.al (2012): "The Importance of Quality of Life for Patients Living with Myelodysplastic Syndromes", Clinical Journal of Oncology Nursing 16(3):47-57 DOI: 10.1188/12.CJON.S1.47-57
54. Vardiman, J.W. et.al (2009): "The 2008 revision of the World Health Organization (WHO) classification of myeloid neoplasms and acute leukemia: rationale and important changes", Blood 114(5):937-951, doi:10.1182/blood-2009-03-209262.
55. Wolf, M. et.al (2012): "Risk of Unintentional Overdose with Non-Prescription Acetaminophen Products", Journal of General Internal Medicine, 27(12):1587-93 doi: 10.1007/s11606-012-2096



Efterskrift

Building Blocks of Hope, som på dansk kaldes "MDS - En vej med Håb", er et globalt patient initiativ til et personligt uddannelsesprogram for patienter og pårørende for at forberede dem på både at deltage i og leve med MDS. Farverne på Building Blocks of Hope logoet er Tucson Teal, Navajo Red, og Desert Sand. De minder om et landskab i det sydvestlige USA med skønheden i nattehimmelen over ørkensandet og fantastiske bjergkæder. Farverne repræsenterer velkomst, varme, stabilitet, helbredelse, lidenskab, og beskyttelse. Disse farver danner basen i Building Blocks of Hope logoet konstrueret med et bølge-lignende mønster indikerende strømmende i liv, helbred og sygdom. Et enkelt rødt bånd som fortsætter op i planten symboliserer styrke og forbedring af knoglemarvsfunktionen. Ideen med et håb for fremtiden og forlængelse af livet efterlignes i den spirende plante. Building Blocks of Hope blev skabt af Sandra Kurtin, som er praktiserende sygeplejerske og klinisk adjunkt i medicin og sygepleje ved University of Arizona Cancer Center, medlem af MDS Foundations forretningsudvalg og bestyrelse, og fortaler for patienter og pårørende som lever med hæmatologiske sygdomme. De enkelte kapitler er udarbejdede i samarbejde med medlemmer af MDS Foundations sygepleje panel og medlemmer af MDS Foundations bestyrelse. Kreativ og teknisk assistance er blevet leveret af Adam Nichols og hans team hos Markations. Organisatorisk og kommunikation assistance er blevet leveret af Tracey Iraca, Sue Hogan, Lea Harrison og MDS Foundations øvrige personale. Knoglemarvsillustrationer er udført af Kirk Moldoff. En særlig tak til vores MDS patienter og deres pårørende for at dele deres erfaringer fra deres liv med MDS. En ekstra tak til MDS Foundations forretningsudvalgsmedlemmer Peter Greenberg, MD, Alan List, MD, Stephen Nimer, MD og Pierre Fenaux, MD, samt til John Bennett, MD for løbende bidrag til MDS Foundation. Også tak til afdøde Bob Weinberg, som generøst donerede sin tid og juridiske ekspertise til MDS Foundation, og delte hans personlige rejse med MDS. Tak til de forskere, det sundhedspersonale og de frivillige, der fortsætter med at arbejde med at forbedre livet for MDS patienter og deres pårørende, og til utallige patienter og deres pårørende, der har deltaget og fortsat deltager i kliniske forsøg, der har ført til en bedre forståelse af og forbedrede behandlingsstrategier for MDS. Vi ville ikke være, hvor vi er uden deres fortsatte engagement. Tak til vores internationale kolleger for deres arbejde med at tilpasse Building Blocks of Hope til kulturen i deres dele af verden. Vi er taknemmelige for alle vores støtter: Deres bidrag muliggør arbejdet i MDS Foundation til støtte for patienter og pårørende som lever med MDS. En særlig tak til min familie for at forstå min passion for dette arbejde. Vi håber, at resultatet vil være et nyttigt redskab for sundhedspersonale, der arbejder med MDS patienter. Sidst men ikke mindst, håber vi at Building Blocks of Hope vil give MDS patienter og deres pårørende kræfter til at leve med MDS.



Med venlig hilsen og de bedste ønsker

Met vriendelijke groet
en de allerbeste wensen,

Sandy Kurtin

*Thank you to Acceleron Pharma, Celgene Corporation, Novartis Pharmaceuticals Corporation
and Takeda Oncology for supporting this resource.*



The Building Blocks of Hope is a registered trademark of Sandra Kurtin.
Trademark serial number 85589597 Official USPTO Notice of Allowance published 8/14/12.