

Informacja dla Pacjenta
na temat programu „Leczenie przewlekłej białaczki limfocytowej z towarzyszącymi
cytopeniami z autoimmunizacji(anemia i/lub trombopenia autoimmunizacyjna)”

Jadwiga Dwilewicz-Trojaczek
Piotr Boguradzki
Warszawski Uniwersytet Medyczny
Polska Grupa Badawcza Chłoniaków

Charakter i cel badania

Przewlekła białaczka limfocytowa (Chronic lymphocytic leukemia-CLL) stanowi 7% wszystkich nowotworów układu chłonnego. Przebieg kliniczny choroby bywa różny: powolny lub bardziej agresywny. Jeśli choroba jest mało zaawansowana a choroba nie ulega progresji, może pozostawać nieleczone przez miesiące lub lata a leczenie rozpoczyna się dopiero, gdy choroba zaczyna postępować. W przypadku choroby bardziej zaawansowanej lub ulegającej progresji z niskiego stadium zaawansowania konieczne jest włączenie leczenia od razu. O momencie włączenia leczenia decyduje lekarz. Wszyscy chorzy wymagają okresowego badania przez lekarza i wykonywania badań dodatkowych, takich jak morfologia krwi obwodowej. U części chorych w przebiegu białaczki dochodzi do rozwoju niedokrwistości z autoimmunizacji (u 10-25% chorych) lub trombocytopenii z autoimmunizacji (1-2%), rzadko oba te powikłania występują jednocześnie. Zespoły z autoimmunizacji w przebiegu CLL mogą być pierwszym objawem choroby, rozwinąć się w czasie jej trwania lub wystąpić w okresie schyłkowym. Należy podkreślić, że wystąpienie niedokrwistości z autoimmunizacji lub trombopenii z autoimmunizacji zawsze jest bezwzględnym wskazaniem do rozpoczęcia leczenia.

Co to jest niedokrwistość z autoimmunizacji i jak ją leczyć? Jest to niedokrwistość spowodowana rozpadem krwinek czerwonych w wyniku niszczenia ich przez specyficzne przeciwciała (nazywane autoprzeciwciałami), czyli cząsteczki wytwarzane przez komórki układu odpornościowego gospodarza, czyli samego chorego. Proces ten może być bardzo aktywny i może prowadzić do ciężkiej niedokrwistości, nawet zagrażającej życiu. Przetaczanie koncentratu krwinek czerwonych może być w tej sytuacji nieskuteczne, gdyż przetoczone krwinki także szybko ulegają zniszczeniu. Konieczne jest zastosowanie tzw. leczenia immunosupresyjnego, czyli konieczne jest podanie leków niszczących komórki układu odpornościowego, które są odpowiedzialne za wytwarzanie autoprzeciwciał. Do leków tych należą glikokortykoidy(encorton, dexamethason), a jeśli są one nieskuteczne podaje się cyklofosamid, który jest lekiem cytostatycznym, używanym do leczenia nowotworów, w tym przewlekłej białaczki limfocytowej

lub inne leki immunosupresyjne np. cyklosporynę A. Kortykosteroidy i cyklofosfamid stosuje się także w leczeniu przewlekłej białaczki limfocytowej bez towarzyszącej anemii z autoimmunizacji. W ostatnich latach w leczeniu niedokrwistości z autoimmunizacji stosuje się także przeciwciało wytworzone metodą inżynierii genetycznej, które nazywa się Rytuxymab. Lek ten jest uznanym lekiem w leczeniu przewlekłej białaczki limfocytowej. Są również doniesienia, że lek ten daje również dobre wyniki w leczeniu niedokrwistości z autoimmunizacji.

Co to jest trombopenia z autoimmunizacji? Trombopenią nazywamy obniżenie liczby płytek krwi. Płytki krwi są niezbędne do prawidłowego krzepnięcia. Znaczące obniżenie ich liczby powoduje wystąpienie skazy krwotocznej, która objawia się występowaniem wybroczyn, czyli punkcikowatych krwotocznych zmian na skórze i śluzówkach, a nawet krwawień z błon śluzowych jamy ustnej, przewodu pokarmowego, dróg moczowych i dróg rodnych u kobiet. Bardzo rzadko powoduje wylew do ośrodkowego układu nerwowego. Trombopenia z autoimmunizacji spowodowana jest skróconym czasem przeżycia płytek krwi. Płytki krwi spłaszczane są przez autoprzeciwciała wytwarzane przez własne komórki układu odpornościowego. Płytki krwi opłaszczone przez przeciwciała są pożerane przez komórki żerne i niszczone przez nie. Do leczenia trombopenii z autoimmunizacji stosuje się takie same leki jak do leczenia anemii z autoimmunizacji (patrz wyżej). Przetaczanie koncentratu płytek krwi jest zwykle mało skuteczne, gdyż przetoczone płytki krwi są niszczone w podobnym mechanizmie jak płytki własne.

Proponujemy Pani/Panu udział w badaniu, w którym zastosujemy łącznie trzy leki stosowane do leczenia niedokrwistości z autoimmunizacji lub trombopenii z autoimmunizacji: dexamethason, cyklofosfamid i rytuxymab. Wszystkie te leki są stosowane do leczenia przewlekłej białaczki limfocytowej, nawet jeśli nie towarzyszy jej niedokrwistość lub małopłytkowość z autoimmunizacji. Na podstawie przeprowadzonych badań klinicznych dowiedziono, że dają one najlepsze wyniki leczenia przewlekłej białaczki limfocytowej. Sądzymy, że zaproponowane leczenie doprowadzi także do ustąpienia objawów lub całkowitego ustąpienia anemii lub trombopenii z autoimmunizacji i doprowadzi do remisji przewlekłej białaczki limfocytowej..

Stosowanie fludarabiny lub cladribiny, leków które stosuje się do leczenia przewlekłej białaczki limfocytowej, dające dobre wyniki w leczeniu tej choroby, nasila ryzyko wystąpienia cytopenii z autoimmunizacji (anemia, trombopenia). Leki te są przeciwwskazane do leczenia przewlekłej białaczki limfocytowej z towarzyszącą niedokrwistością lub małopłytkowością z autoimmunizacji.

Zanim zdecyduje się Pani/Pan wziąć udział w tym Badaniu, proszę uważnie przeczytać tę informację i wszelkie wątpliwości przedyskutować z lekarzem prowadzącym. Uczestnicząc w Badaniu nie ponosi Pani/Pan żadnych dodatkowych kosztów. Jest to badanie, w którym zbierane są tylko wyniki rutynowego postępowania, związanego z Pani/Pana leczeniem. Zbierane informacje dotyczyć będą 6 miesięcznego okresu terapii lekami: deksametazon, cyklofosfamid i rytuksymab . Badanie jest prowadzone pod kierownictwem dr _____ [imię i nazwisko lekarza prowadzącego].

Badanie to jest programem lokalnym, a docelowa liczba pacjentów biorących w nim udział będzie wynosić ok. 40.

UDZIAŁ W BADANIU

Uczestnictwo w niniejszym Badaniu jest dobrowolne. Może Pani/Pan odmówić udziału lub wycofać się w dowolnym momencie bez ponoszenia konsekwencji ani utraty jakichkolwiek korzyści, które Pani/Panu przysługują niezależnie od uczestnictwa w Badaniu

ZADANIA PACJENTA

Będzie Pani/Pan poproszona/y o informowanie lekarza lub pielęgniarki o stanie swego zdrowia w czasie trwania obserwacji. W szczególności powinna/powinien Pani/Pan skontaktować się z nimi niezwłocznie w wypadku zaistnienia jakiegokolwiek zmiany w stanie Pani/Pana zdrowia lub samopoczucia, jak również w przypadku hospitalizacji.

Informacje zebrane dzięki Pani/Pana uczestnictwu w tym Badaniu mogą przynieść istotne korzyści dla przyszłych pacjentów.

POUFNOŚĆ DANYCH

W trakcie trwania Badania informacje o Pani/Panu, takie jak dokumentacja związana z Pani/Pana udziałem w Badaniu, informacje na temat ogólnego stanu Pani/Pana zdrowia oraz wyniki badań laboratoryjnych będą zbierane przez lekarza na kartach obserwacji.

Dane medyczne nie będą ujawniane osobom postronnym, niemniej jednak pracownicy Niezależnej Komisji Bioetycznej, oraz odpowiednich władz mogą uzyskać dostęp do tych informacji medycznych, które dotyczą bezpośrednio omawianego Badania.

Wyniki Badania mogą również zostać wykorzystane w ramach prezentacji lub publikacji naukowych.

Jeżeli zdecyduje się Pan/Pani wycofać z udziału w Badaniu w dowolnym momencie, zgromadzone do tej pory dane na Pana/Pani temat mogą zostać wykorzystane i przetwarzane jako część bazy danych badania

UZYSKANIE DODATKOWYCH INFORMACJI

Zachęca się Panią/Pana do zadawania pytań w dowolnym momencie w trakcie trwania Badania. Z wszelkimi ewentualnymi problemami lub dodatkowymi pytaniami na temat Programu lub przysługujących Pani/Panu praw pacjenta prosimy zwracać się do lekarza prowadzącego.

Imię, Nazwisko lekarza

telefon