



Blodcancerförbundet

Ett liv med blodcancer eller annan allvarlig blodsjukdom behöver inte vara ett sämre liv, men det är ett annat liv än det du hade innan. Och i den här nya vardagen kan det vara skönt att veta att du inte är ensam. Att vi är fler i samma situation som vill hjälpa varandra i både goda och svåra stunder. Det är också därför Blodcancerförbundet finns. Vi vet att ensam inte är stark men tillsammans kan vi påverka. Vi kan bidra till forskning, vi kan sprida kunskap och vi kan framförallt stötta varandra.

Hos oss får medlemmar möjlighet att mötas för att utbyta erfarenheter, ge varandra värdefullt stöd och råd samt lära sig mer om hur man bättre handskas med sin sjukdom. Vi arrangerar medlemsdagar med informativa föreläsningar, förmedlar kunskap via webb och filmer, ger ut diagnos-specifika informationsbroschyrer, har en egen medlemstidning och erbjuder stöd i form av stödpersoner med egen erfarenhet av sjukdom.

Blodcancerförbundet ansvarar även för den ideella insamlingsstiftelsen Blodcancerfonden som varje år delar ut pengar till forskning, omvårdnadsprojekt och utbildning av sjukvårdspersonal. Vi är slutligen också intressepolitiskt aktiva och arbetar dedikerat för att lyfta din röst som berörd av de sjukdomar vi representerar gentemot vården, politiker, myndigheter och andra aktörer inom hälso- och sjukvården.

Vi finns här för dig – och dina närmstående



BLODCANCERFÖRBUNDET
Hamngatan 15 B, 172 66 Sundbyberg
08-546 40 540
info@blodcancerforbundet.se
www.blodcancerforbundet.se



Aplastisk anemi

*Ett liv med en blodsjukdom
behöver inte vara ett sämre liv,
men det är ett annat liv än
det du hade innan*



För Kunskap & Livskraft!

Blodcancerförbundet är en ideell riksorganisation till för dem berörda av blodcancer eller annan allvarlig blodsjukdom. Vi består av lokalföreningar med verksamhet i hela landet och representerar dussinet olika sjukdomar. Ett av våra främsta mål är att sprida information om de diagnoser vi som förbund representerar. För att uppnå detta syfte spelar diagnosspecifika informationsbroschyrer såsom denna en viktig roll.

Vår förhoppning är att alla berörda av blodcancer eller annan allvarlig blodsjukdom, närstående samt personal inom vuxnhematologin i Sverige har stor nytta av dessa broschyrer som tagits fram särskilt för er. Detta med god hjälp av läkare, sponsorer och engagerade eldsjälar som bidragit till att informationen i våra uppskattade diagnosbroschyrer kunnat uppdateras. Ert stöd har varit ovärderligt.

BLODCANCERFÖRBUNDET 2017

Blodcancerförbundet tar fullt ansvar för innehållet i denna broschyr.

Förord

Jag vill tacka Blodcancerförbundet för möjligheten att uppdatera denna informationskrift om aplastisk anemi. Aplastisk anemi är en allvarlig och sällsynt blodsjukdom. Den som drabbas remitteras ibland till sjukhus av sin läkare med misstanke om leukemi, och när det sedan visar sig att det är fråga om *aplastisk anemi* innebär detta både lättnad och förvirring.

Den här informationskriften ska vara ett komplement till informationen som ges av läkare och sjuksköterskor och ska hjälpa få överblick och förståelse om sjukdomen och aktuella behandlingsmöjligheter. Förhoppningsvis kan denna informationskrift även besvara några av de många frågor man som patient eller närstående kan ha i en sådan situation.

Krista Vaht

Specialistläkare,
Sahlgrenska Universitetssjukhuset

Innehåll

För Kunskap & Livskraft!

Förord

När blodet blir sjukt	4	Behandling	12
Blod- och blodcancersjukdomar	4	Tålmodskrävande behandling	12
Visste du att?	5	Blodtransfusioner	13
Aplastisk anemi	6	Infektionsrisker	14
Så bildas blodkroppar	6	Skyddande isolering	14
Orsaker till aplastisk anemi	7	Övrig behandling	15
Få fall i Sverige	8	Immunsystemet bromsas	15
Smygande symtom	8	ALG/ATG	16
Diagnos	10	Kortison	17
Så ställs diagnosen	10	Tillväxtfaktorer	18
Två grupper	11	Androgener	18
		Benmärgstransplantation	19
		Hur stor är risken för återfall?	21
		Framtiden	

När blodet blir sjukt

En blodsjukdom är en sjukdom i blodet eller i organen som bildar blod, det vill säga benmärgen och lymfkörtlarna.

Blod- och blodcancer-sjukdomar

Generellt sett kan blodsjukdomar delas in i tre huvudgrupper: cancersjukdomar, sjukdomar som har med blodets koagulering att göra samt blodbrist. En blodsjukdom kan antingen vara medfödd eller utvecklas någon gång under livet, samt därtill vara godartad eller elakartad.

BEGREPPET BLODCANCER å andra sidan används ofta som ett samlingsnamn för ett flertal olika cancersjukdomar i blod, benmärg eller körtlar. Blodcancerförbundet är unika på så sätt att vi representerar diagnoser där sjukdomarnas symptom, behandlingen av dessa och prognoserna kan skilja sig åt kraftigt beroende på vilken blod- eller blodcancersjukdom det rör sig om. Uppemot



5 000 personer insjuknar årligen i någon av de diagnoser som vårt förbund företräder, vilka omfattas av alla blod- och blodcancersjukdomar förutom blödarsjuka.

Dessa diagnoser är en heterogen grupp med allt ifrån mycket akuta fall som kräver omedelbar behandling, till långsamt fortskridande sjukdom där det räcker med att följa utvecklingen över tid. Vidare är könsfördelningen bland våra sjukdomar generellt sett jämn. Överlag är det dock till stor del äldre personer som diagnostiseras av blod- eller blodcancer, där de underliggande orsakerna i majoriteten av fallen är okända.

Visste du att?

- Många blod- och blodcancersjukdomar har åtskilliga undergrupper vars behandling kan skilja sig åt ganska väsentligt. Be därför din läkare skriva ner namnet på just din specifika diagnos.
- Du som patient har rätt till en så kallad second opinion som innebär rätten att komplettera din läkares bedömning med ett utlåtande från en annan läkare.

- Det är din läkares ansvar att rådgöra och informera om kliniska studier där du kan få tillgång till en behandling du annars inte skulle erbjudas.
- Det är lagstadgat att erbjudas en kontaktsjuksköterska som bland annat ansvarar för att en skriftlig individuell vårdplan upprättas.
- Du som patient har rätt att ta del av din patientjournal som bör vara skriven begripligt och lättförståeligt språk.
- Många sjukhus erbjuder en kurator, en del har psykologer medan de flesta sjukhus har en sjukhuspräst att prata med.
- Den vård man får ska enligt Patientlagen *så långt det går planeras och genomförs i samråd med dig som vårdtagare.*
- Blodcancerförbundet erbjuder utbildade stödpersoner med egen erfarenhet av sjukdom till dig som patient och dina närstående. Ring gärna 08-546 40 540 (kl 09–12 vardagar) för mer information om hur du kan få en egen stödperson!

Aplastisk Anemi

Aplastisk anemi är en sällsynt sjukdom som bara drabbar strax över tjugo personer varje år i Sverige

Ordet *aplastisk* kommer från två grekiska ord som tillsammans betyder *oförmåga att utvecklas till ny vävnad*. *Aplastisk anemi* används för att beskriva benmärgens oförmåga att bilda de celler som cirkulerar i blodet. För patienten betyder detta blodbrist (anemi) till följd av för få röda blodkroppar, infektionskänslighet beroende på en brist på vita blodkroppar och blödningstendens beroende på brist på blodplättar.

Så bildas blodkroppar

Alla slags blodkroppar produceras av benmärgen. Benmärgen finns inuti många av de stora benen och fungerar som en noggrant kontrollerad fabrik som producerar huvudsakligen tre typer av celler:

- Röda blodkroppar (erythrocyter) innehåller äggviteämnet hemoglobin som transporterar syre till kroppens alla vävnader.
- Vita blodkroppar (leukocyter) finns av huvudsakligen tre slag, monocyter, granulocyter och lymfocyter.

- Blodplättar (trombocyter) är nödvändiga för att blodet skall kunna levra sig.

TILLVÄXT OCH UTVECKLING av normala blodkroppar är noggrant kontrollerad i benmärgen så att denna skall producera de olika cellerna i de antal som erfordras för att bibehålla ett gott hälsotillstånd. Detta ställer mycket stora krav på benmärgen som bildar tre miljoner röda och 120 000 vita blodkroppar per sekund. Även om det alltså finns många olika typer av blodkroppar är alla dessa bildade från ett enda slags cell som kallas stamcell.

Stamcellerna utgör bara en mycket liten andel av cellerna i benmärgen men de bildar via en serie av hittills ofullständigt kända mekanismer de olika celltyper som slutligen ger de blodkroppar som man finner i det cirkulerande blodet. När stamcellerna delar sig bevaras dock en av cellerna så att antalet stamceller förblir oförändrat. Vid aplastisk anemi har antalet stamceller minskats och därutöver har förmågan att bilda mogna blodkroppar påverkats.

Orsaker till aplastisk anemi

Mycket forskning har genomförts för att klargöra den bakomliggande mekanismen för aplastisk anemi. Dagens kunskap stödjer att de flesta patienter med aplastisk anemi har en så kallad auto-immunt orsakad sjukdom. Detta innebär att patientens immunsystem vänder sig mot den egna benmärgen och förstör stamceller. På senare år har det också visats att patienter med aplastisk anemi kan ha skador i kromosomernas reparationsfunktioner.

VISSA YTTRE FAKTORER såsom läkemedel, kemikalier och virus har också satts i samband med utvecklingen av

sjukdomen. Många olika läkemedel har misstänkts orsaka aplastisk anemi. Det som gör det svårt att fastställa ett samband är att läkemedel som för de flesta individer är oskadliga för blodet kan hos enstaka personer ge upphov till aplastisk anemi. Varför vissa individer verkar mer känsliga är okänt. Man har också misstänkt att vissa kemikalier som används i industrin eller i hushållen kan orsaka sjukdomen. Hepatitvirus, som vanligtvis endast angriper levern, kan hos känsliga individer utlösa aplastisk anemi.

Förvärvad
aplastisk anemi
är inte ärftlig
Fanconis anemi
är ärftlig



FÖRVÄRVAD APLASTISK ANEMI, som är det som vanligen kallas *aplastisk anemi*, är inte ärftlig. Däremot finns det ofta en ärftlighet för autoimmuna sjukdomar hos patienter som får aplastisk anemi. Det finns en typ av ärftlig aplastisk anemi som kallas Fanconis anemi som är helt skild från den förvärvade typen. De flesta fall av Fanconis anemi upptäcks under barndomen eller i tidig vuxen ålder. De båda sjukdomarna kan skiljas åt genom en undersökning av patientens blod som hos misstänkta fall görs på ett tidigt stadium av utredningen.

Benmärgen bildar tre miljoner röda och 120 000 vita blodkroppar per sekund

Misstänkta orsaker

- Autoimmunitet (immunförsvaret angriper kroppens egna celler)
- Läkemedel
- Kemikalier
- Virus

Få fall i Sverige

Det inträffar mellan två till fem nya fall av aplastisk anemi årligen per miljon människor enligt internationell statistik. För Sveriges del är siffran ca 2,3 fall per miljon invånare och år. Sjukdomen kan uppträda i alla åldrar men den förefaller ha en topp i ungdomsåren och hos unga vuxna och därefter stiger ånyo risken i

de högsta åldrarna. Båda könen drabbas av sjukdomen. Sjukdomen är vanligare i andra delar av världen än i Sverige.

Smygande symtom

Symtomen vid aplastisk anemi sammanhänger med de minskade antalen cirkulerande blodkroppar och är inte unika för aplastisk anemi. Likartade symtom kan också återfinnas vid leukemi och så kallad myelodysplastiskt syndrom (MDS) och det är därför patienter med aplastisk anemi till en början kan misstänkas ha en annan blodsjukdom.

BRIST PÅ RÖDA BLODKROPPAR (anemi) utvecklas långsamt och patienten kan ha begränsade problem förutom en tilltagande trötthet och blekhet eftersom kroppen anpassar sig till långsamt utvecklad blodbrist så länge denna inte blivit mycket starkt uttalad. Patienten kan lägga märke till att han eller hon blir andfådd vid gång i trappor och kan få hjärtklappning efter ansträngning. Dessa symtom beror på att blodet inte kan leverera tillräckligt mycket syre till vävnaderna.

Det kanske vanligaste tecknet på sjukdomen är att patienten lätt får blåmärken och/eller blöder från tandköttet när

han eller hon borstar tänderna. Denna blödningsbenägenhet beror på brist på blodplättar. Det gör att blod läcker ut ur fina blodkärl med slemhinneblödningar och blåmärken som följd, även utan att man har lagt märke till något sår. I en del fall är denna tendens till blåmärken märkbar som ett hudutslag av små, röda prickar, särskilt på benen. Dessa små prickar kallas *petekier*. Hos kvinnor kan det låga antalet blodplättar resultera i ymniga och utdragna mensblödningar.

BRISTEN PÅ VITA BLODKROPPAR leder till ökad risk för infektioner men denna brist kan länge förbli oupptäckt. Ibland har patienterna små, smärtande sår i munnen och på tungan eller får så "ont i

halsen" att de söker läkare. Vid aplastisk anemi är det den typ av vita blodkroppar som kallas granulocyter som saknas i första hand. Dessa celler är särskilt viktiga i försvaret mot bakteriella infektioner medan flertalet patienter med aplastisk anemi har en normal förmåga att värja sig mot virusinfektioner.

Symtom

- Trötthet
- Blekhet
- Andfåddhet
- Hjärtklappning
- Blåmärken
- Blödningar i tandköttet
- Ymniga mensblödningar
- Infektioner



Diagnos

Metoder för diagnostisering av aplastisk anemi är undersökning av blod, benmärg och benvävnad

Så ställs diagnosen

Diagnosen kan endast ställas efter undersökning av blod och benmärg. Räkning av antalet blodkroppar avslöjar en minskning av alla de tre typerna av blodkroppar. Hemoglobinet (de röda blodkropparnas färgämne), antalet vita blodkroppar inklusive granulocyter och antalet blodplättar är alla låga i förhållande till normala värden, men till skillnad från förhållandet vid leukemi

finns det inga onormala celler i det cirkulerande blodet. Diagnosen bekräftas genom en benmärgsundersökning.

ETT BENMÄRGSPROV tas under lokalbedövning genom att man för in en grov nål i mörghålan, vanligen baktill i bäckenbenet, och suger ut en liten mängd benmärg som sedan undersöks i mikroskop på laboratoriet. Därigenom kan man utesluta förekomsten av onor-

mala celler. För att få en uppfattning om benmargens totala förmåga att producera blodkroppar tar man ett större prov tillsammans med en liten mängd benvävnad, varvid man använder en så kallad biopsinål. Även detta sker under lokalbedövning.

BÅDA PROCEDURERNA går relativt fort; de tar ungefär 20 minuter, men kan ibland vara en smula obehagliga. Dessa undersökningar är emellertid nödvändiga för att ställa diagnosen aplastisk anemi. Prover behöver tas från mer än ett ställe för att diagnosen skall kunna ställas, eftersom cellhalten i benmärgen kan variera mellan olika ställen. I benmärgen skall det vid en aplastisk anemi finnas en minskad mängd blodbildande märg och en ökad mängd fettväv. Därutöver får det inte finnas tecken på andra blodsjukdomar.

DET KAN IBLAND VARA SVÅRT att skilja aplastisk anemi från andra sjukdomar som påverkar benmärgen. Några viktiga

sådana är svår vitaminbrist (B12 och/eller folsyra), myelodysplastiskt syndrom (MDS) och paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH). Olika specialundersökningar till exempel undersökning av kromosomerna används för att skilja upp de olika sjukdomarna.

Två grupper

När läkaren ställer diagnosen aplastisk anemi är det viktigt att han uppskattar hur allvarlig benmärgsskadan är. Detta sker med ledning av benmargens utseende och antalet cirkulerande blodkroppar. Man brukar tala om *svår aplastisk anemi* och *icke-svår aplastisk anemi* för att göra en grov distinktion mellan två grupper som dock går över i varandra. Skälet för denna distinktion är att den gör det lättare att avgöra vilken typ av behandling som har de största förutsättningarna att lyckas för den enskilda patienten.

Det kan ibland vara svårt att skilja *aplastisk anemi* från andra sjukdomar som påverkar benmärgen.



Behandling

Det som avgör val av behandling för den enskilda patienten är om det rör sig om *svår aplastisk anemi* eller *icke-svår aplastisk anemi*

Tålamodskrävande behandling

Det är viktigt att patienten vet om att aplastisk anemi är en *envis* eller *kronisk* sjukdom. Det krävs mycket *tålamod* hos den sjuke, hos de anhöriga och hos läkare och sjuksköterskor som behandlar patienten. Det finns två huvudlinjer att följa i behandlingen av aplastisk anemi och oftast kombineras de två linjerna.

DEN FÖRSTA LINJEN är så kallad *understödjande* behandling som innebär att man genom transfusion ersätter de röda blodkroppar och blodplättar som fattas. Dessutom försöker man förhindra att det tillstöter infektioner, vanligen genom att ge antibiotika. Man är numera på det klara med att patienter med aplastisk anemi kan tillfriskna utan annan slags behandling än denna, men

det kan ta månader eller till och med år och sker sällan hos patienter med *svår aplastisk anemi*.

DEN ANDRA BEHANDLINGSLINJEN avser att påskynda *benmärgens återhämtning*. Detta kan ske på två sätt, antingen genom att ersätta den defekta *benmärgen* genom en *benmärgstransplantation* eller att ge läkemedel som tillfälligt hämmar kroppens *immunsystem* och därmed stoppa *förstörelsen av stamceller*. Båda metoderna har sina för- och nackdelar och de utesluter inte *nödvändigtvis* varandra.

Blodtransfusioner

Tyngdpunkten i den *understödjande* behandlingen ligger i transfusion av röda blodkroppar och blodplättar. Syftet med detta är att få patienten att känna *största möjliga välbefinnande* i väntan på att *benmärgen* skall återfå sin funktion.

Anemin är relativt lätt att hålla under kontroll med hjälp av transfusion av röda blodkroppar. I svåra fall av *aplastisk anemi* fordras det att man ger sådana transfusioner varannan eller var tredje vecka. Långsiktigt kan detta skapa problem genom att järn lagras upp i

kroppen. Blodplättar kan också utan *svårighet* ges som transfusion men de håller sig inte kvar i *cirkulationen* lika länge och det kan bli *nödvändigt* att ge dem ett par gånger i veckan eller i svåra fall ännu oftare. Det finns också en risk att utveckla så kallade *antikroppar* vilket gör att *nyttan av transfusioner* med blodplättar minskar efter hand. Transfusion av vita blodkroppar ges aldrig i *förebyggande syfte*, men kan i *undantagsfall* ges för att *behandla svåra infektioner*.

Avgör behandling:
svår aplastisk anemi
eller *icke-svår*
aplastisk anemi

DET BÖR UNDERSTRYKAS att blodtransfusioner måste företas med *största försiktighet* för att undvika *oönskade reaktioner*. Alla givare undersöks beträffande eventuella *virusinfektioner* inklusive *hepatitvirus* och *HIV*, så från den *synpunkten* är transfusionerna nu nästan *riskfria*. Man gör också allt för att försäkra sig om att man ger rätt blod till rätt mottagare. Kravet på kontroller att så sker leder någon gång till att den *lämpligaste tidpunkten* för en transfusion passeras. Även med de mest *rigorösa förberedelser* för att finna *lämpligt och riskfritt material* för transfusionen kan den ge *upphov till feber och frysningar*. Sådana *symtom* kan förebyggas eller hävas genom att man ger *kortison*.



Infektionsrisker

Förebyggande av bakteriella infektioner är en viktig del av vården och behandlingen av patienter med aplastisk anemi. De flesta människor tänker sig att infektioner är någonting man får från sin omgivning eller från andra människor. Hos patienter med aplastisk anemi uppstår flertalet infektioner från dem själva, det vill säga orsakas av mikroorganismer som vi alla bär på men som är ofarliga så länge antalet vita blodkroppar är normalt.

Det är viktigt att påpeka att patienter med aplastisk anemi kan ha mycket varierande infektionskänslighet. Vissa patienter har mer framträdande brist på röda blodkroppar och blodplättar men relativt normalt antal vita blodkroppar och därmed ett relativt normalt infektionsförsvar medan andra har mycket lågt antal vita blodkroppar och därmed är mycket känsliga för infektioner. Infektionsrisken är större tidigt efter en transplantation eller mer aggressiv immunsupprimerande behandling.

ETT SÄTT ATT MINSKA RISKEN för infektioner är att ge antibiotika i förebyggande syfte. Detta används dock alltmer sällan eftersom det finns risk att motståndskraftiga (resistenta) bakterier utvecklas. Det är därför viktigt att minska risken

för att nya och möjligen mer aggressiva infektioner tillförs utifrån. Patienter med låga antal granulocyter uppmanas därför att undvika folkträngsel och nära kontakter med personer som är infekterade, till exempel förkylda eller har ont i halsen. I samma syfte kan de också ordineras en speciell diet, byggd på föda med lågt innehåll av bakterier vilket i stort sett betyder måltider på nykokta ingredienser och undvikande av sallader och osköld frukt.

OM PATIENTEN FÅR EN INFEKTION måste denna omedelbart behandlas med lämpliga antibiotika. Det är viktigt att varje temperaturstegring verkligen tas på allvar och att snabb kontakt tas med den läkare som har hand om behandlingen.

Vid feber kontakta läkare!

Skyddande isolering

Mycket av behandlingen vid aplastisk anemi kan ske i öppen vård, även om patienten till att börja med vanligen tas in på sjukhus för utredning. Sjukhus innebär inga ofarliga miljöer för patienter som inte bör riskera att bli infekterade. Av det skälet placerar man vanligen patienter med aplastisk anemi och lågt antal vita blodkroppar i enkelrum där de kan vara isolerade från sjukhusmiljön i övrigt. Metoderna för sådan isolering varierar mellan olika sjukhus. Isoleringen av patienterna kan

naturligtvis innebära vissa problem, särskilt för patienter som mår bra. Saker som video, radio och böcker är till god hjälp när det gäller att fördriva tiden och hålla patientens humör uppe.

Övrig behandling

Man är numera överens om att det i flertalet fall av aplastisk anemi finns en del stamceller kvar i benmärgen som, om de kan stimuleras, kommer att återställa benmärgens innehåll av blodproducerande celler. Vad man inte vet är hur man hos den enskilde patienten skall kunna åstadkomma en sådan stimulering. Ofta måste man prova sig fram med olika terapiformer för att finna den rätta och det kan ta lång tid.

Likaså måste risker och fördelar med olika behandlingsformer vägas mot sjukdomens svårighetsgrad. Det finns två olika huvudalternativ i behandlingen, immunsupprimerande läkemedel och benmärgstransplantation.

Immunsystemet bromsas

Användning av läkemedel för att påskynda benmärgens tillfrisknande vid aplastisk anemi bygger på uppfattningen att sjukdomen ofta orsakas av kroppens egen reaktion mot de blodproducerande stamcellerna – autoimmunitet. Syftet med immunsupprimerande behandling är att bryta en sådan reaktion för att möjliggöra ett tillfrisknande.





ALG/ATG

De celler som tros underhålla aplastisk anemi kallas lymfocyter. De deltar normalt i kroppens immunförsvar, men hos patienter med aplastisk anemi har de angripit patientens egna stamceller. Då ges immunsystemshämmande

behandling som går ut på att lymfocyterna reduceras till antalet. Detta kan göras med hjälp av en behandling med så kallad antilymfocytglobulin (ALG) eller antitymocyoglobulin (ATG). Dessa medel kombineras för det mesta med ett läkemedel som heter cyklosporin.

ALG och ATG ges som dropp under fyra, fem dagar. Bieffekt: Feber, frossa och infektioner.

ALG ELLER ATG ges som intravenöst dropp under fyra-fem dagar. Bieffekter som frysningar och feber på behandlingens första dag är vanliga liksom en senare, fördröjd reaktion med feber och ibland ledsmärtor och hudutslag. Båda dessa reaktioner kan förebyggas

Immunsupprimerande behandling =
läkemedelsbehandling
som bromsar
lymfocyterna i
immunförsvaret

eller mildras genom lämplig behandling. Paradoxalt nog ökar ofta risken för infektion under och omedelbart efter behandlingen och därför innebär denna behandling omkring tre veckors sjukhusvistelse.

Tillfrisknandet kommer inte på en gång och man kan faktiskt inte avgöra om behandlingen har varit framgångsrik eller ej förrän efter tre till fyra månader från det behandlingen givits. Under denna tid kan patienten ofta skötas i öppen vård. En sådan behandling kan upprepas. Upp till 70–75 procent av patienterna svarar på en behandling och omkring hälften av dem som inte svarar på den första kuren svarar på en andra kur. Andelen patienter som svarar på denna behandling varierar med de olika orsakerna till sjukdomen och med svårighetsgraden.

CYKLOSPORIN är ett läkemedel som ges till patienter som genomgått en organ- eller stamcellstransplantation för att förebygga avstötning av det transplanterade organet genom att dämpa lymfocyternas funktion. Som behandling vid aplastisk anemi verkar cyklosporin förmodligen på samma sätt som ATG/ALG genom att hämma lymfocytfunktionen. Cyklosporin kan ges intravenöst men vanligtvis som kapslar eller lösning och har fördelen att endast måttligt öka infektionsrisken. Det har också visat sig

vara ett mycket värdefullt tillskott till behandlingen med ALG/ATG när det gäller att stimulera benmärgens återhämtning, varför kombinationsbehandling idag är regel.

Hos äldre patienter ges ibland cyklosporin som enda behandling då dessa patienter kan ha svårt att tåla biverkningarna av ALG/ATG. Cyklosporin ges oftast under flera månader till flera år efter en ALG/ATG-behandling. Det kan dock ge bieffekter som ökad kroppsbekämpning, skador på njurarna och levern. Behandlingen måste därför övervakas noga vilket görs genom regelbundna kontroller av läkemedelsmängderna i blodet och kontroll av njurfunktion, saltbalans och levervärden.

Cyklosporin är ett läkemedel som ges efter transplantation för att förebygga avstötning.

Kortison

Kortison är ett kroppseget hormon som bildas i binjurarna. Det har en viss effekt på aplastisk anemi men används idag sällan ensamt. Däremot ges det nästan alltid i kombination med ALG/ATG för att minska bieffekterna, såväl de tidiga effekterna som de mer fördröjda. Oftast ges kortison under några veckors tid men kan hos vissa patienter behöva ges längre. Kortison har många

biverkningar, framför allt i höga doser och under långvariga behandlingar. Därför ges så små doser som möjligt under så kort tid som möjligt.

Kortison är ett kroppseget hormon som ges för att minska bieffekter.

Tillväxtfaktorer

Benmärgsstimulerande tillväxtfaktorer är naturligt förekommande äggviteämnen som stimulerar produktionen av olika typer blodkroppar och kan nu framställas med hjälp av genteknik. De är ett möjligt tillägg till behandlingen av aplastisk anemi, i första hand som understödande behandling. G-CSF (granulocyte colony stimulating factor) kan ges för att öka antalet vita blodkroppar och minska risken för infektioner. Den vanligaste användningen är idag då patienten fått en infektion, för att om möjligt göra utläkningen av infektionen snabbare. Andra tillväxtfaktorer finns för att påverka bildningen av röda blodkroppar (erythropoietin) och blodplättar men dessa används idag sällan vid aplastisk anemi.

Tillväxtfaktorer stimulerar produktionen av vita och röda blodkroppar.

ELTROMBOPAG (Revolade®) som används för att öka blodplättarna, har i studier visats ge förbättrade blodvärdena

(hemoglobin, granulocyter, blodplättar) hos refraktär aplastisk anemi patienter upp till 40%. Denna behandling är godkänd sedan 2015 för patienter som inte har svarat på immunsupprimerande behandling och där benmärgstransplantation inte är ett alternativ. Ytterligare studier pågår för att utvärdera läkemedelseffekt och säkerhetsprofil för nyinsjuknade patienter.

Syskon är förstahandsval som donatorer vid benmärgstransplantation

Androgener

Androgener är ämnen som liknar de manliga könshormonerna och som används av idrottsmän och muskelbyggare som dopingmedel för att öka muskelmassan. De stimulerar också benmärgens aktivitet och var de första medel som introducerades med framgång när det gällde att stimulera stamcellernas förökning. Eftersom det är manliga hormoner har de bieffekter som kan vara oroande för kvinnliga patienter. Dessa medel används nu alltmer sällan vid behandling av aplastisk anemi.

Androgener är ämnen som liknar manliga könshormoner och ges för att stimulera benmärgen.

Benmärgstransplantation

Den defekta benmärgen vid aplastisk anemi kan ersättas med normal benmärg från en lämplig donator. De bäst passande givarna hittar man bland patientens syskon. Det är en chans på fyra att ett syskon kan passa, det vill säga ha en benmärg som kan transplanteras till patienten. Om det inte finns något lämpligt syskon kan man överväga obesläktade, frivilliga donatorer. Idag finns mer än 28 miljoner donatorer tillgängliga genom många register runt om i världen och i Sverige finns Tobiasregistret, uppkallat efter en patient som led av just aplastisk anemi.

Tekniken består i att benmärg tas från givaren med samma utrustning som används för att ta benmärg för diagnostiska ändamål. Det fordras emellertid stora mängder benmärg så det är nödvändigt att proceduren försiggår under narkos eller i ryggbedövning. Benmärgen ges sedan till patienten som dropp precis som vid en blodtransfusion. Problem med benmärgstransplantation är dels

Obesläktade donatorer kan överväga Tobiasregistret, ett register med frivilliga benmärgsdonatorer





infektioner, och dels risken för avstötning av benmärgen från patientens sida eller dess motsats. Detta då benmärgen framkallar en önskad reaktion hos patienten, så kallad transplantat-mot-värd-reaktion (graft-versus-host disease).

FÖR ATT MINSKA RISKERNA för sådana reaktioner behandlas patienten med läkemedel både före och under lång tid efter transplantationen. Det finns idag möjlighet att använda andra stamcellskällor såsom stamceller skördade från donatorns blod eller navelsträngs-stamceller. Det har visats att benmärg ger de bästa transplantationsresultaten och den stamcellskällan används därför i första hand.

FÖRE TRANSPLANTATIONEN ges vanligtvis ett cytostatikum (cellgift) som heter cyklofosamid, ibland kombinerat med ALG/ATG, och efter transplantation ges cyklosporin. Om man använder en obesläktad givare kan andra förbehandlingsåtgärder, till exempel strålbehandling, bli aktuella. En benmärgstransplantation gör det vanligen nödvändigt för patienten att bli kvar på sjukhus i drygt en månad, men om transplantationen har haft ett lyckosamt förlopp kan patienten se fram mot ett normalt liv. Det behövs dock flera års noggrann uppföljning innan man kan tala om patienten som *botad*.

HOS YNGRE PATIENTER kan benmärgstransplantation vara det bästa alternativet eftersom komplikationerna till behandlingen har minskat kraftigt de senaste åren. Benmärgstransplantation är ofta den bästa behandlingen för patienter under 20 till 30 år med svår aplastisk anemi, under förutsättning att en syskondonator finns tillgänglig. Chanserna till en lyckosam utgång är då cirka 90 procent om behandlingen sätts in tidigt efter diagnos.

Myelodysplastiska Syndrom MDS
= sjukdom med nya rubbningar i
benmärgen

ÄVEN HOS ÄLDRE PATIENTER upp till över 60 år eller hos patienter som inte har någon syskondonator kan benmärgstransplantation bli aktuell. I sådana fall rekommenderas dock att immunsystemshämmande behandling prövats först eftersom riskerna för allvarliga komplikationer orsakade av transplantationen då är större.



Bieffekter vid benmärgstransplantation:

- Infektioner
- Risk för avstötning
- GVH *graft-versus-host* där den donerade benmärgen attackerar mottagarens vävnad

Hur stor är risken för återfall?

Framgångsrik behandling av aplastisk anemi behöver inte innebära ett återställande av normalt antal blodkroppar. Det första steget på vägen till hälsa är att förbättra benmärgsfunktionen tillräckligt mycket för att patienten inte längre skall behöva transfusioner. Ett sådant tillstånd med en viss grad av anemi och ett lågt antal blodplättar kan kvarstå under åtskilliga år under vilka patienten har en synbart god hälsa. Till slut kan benmärgen vara helt återställd. Efter immunsystemshämmande behandling finns en relativt stor risk för återfall som kan komma framför allt när sådan behandling avslutas, men också många år senare. Hos en del av patienterna kan det många år efter behandling uppträda nya rubbningar i benmärgen som kräver ytterligare utredning och behandling, till exempel så kallade myelodysplastiska syndrom (MDS). Därför är det nödvändigt att patienter med aplastisk anemi kontrolleras regelbundet, kanske en gång om året, i många år efter sin behandling.



Hur blir jag medlem?

Du blir medlem i Blodcancerförbundet genom inträde i en av våra drygt femton lokala föreningsverksamheter. Priset för medlemskap är 100–250 kr beroende på lokalförening och typen av medlemskap. Det finns många sätt att bli medlem i någon av Blodcancerförbundets föreningar, till exempel genom att:

GÅ IN PÅ www.blodcancerforbundet.se/bli_medlem och fylla i webbformuläret på sidan

RINGA FÖRBUNDSKANSLIET PÅ 08-546 40 540 (vardagar mellan 09.00–12.00)

SKICKA EN E-POST TILL info@blodcancerforbundet.se. Ange namn, adress, födelsedatum, e-postadress, telefonnummer samt diagnos. Skriv också om det gäller medlemskap som patient, anhörig eller stödjande

FYLLA I SVARSPOSTTALONGEN på nästa sida i denna broschyr och skicka den kostnadsfritt till förbundskansliet.

BLODCANCERFÖRBUNDET

ADRESS: Hamngatan 15B, 172 66 Sundbyberg

TEL: 08-546 40 540

MAIL: info@blodcancerforbundet.se

HEMSIDA: www.blodcancerforbundet.se

Följ oss gärna på

FACEBOOK: www.facebook.com/blodcancerforbundet

TWITTER: www.twitter.com/BCF_1982

INSTAGRAM: www.instagram.com/blodcancerforbundet1982

LINKEDIN: www.linkedin.com/company/the-swedish-blood-cancer-association

Mer information – länkar

WEBBSIDA: www.blodcancerforbundet.se/att_leva_med_blodcancer

STÖDPERSON: www.blodcancerforbundet.se/stodperson

VÅR APP: www.blodcancerforbundet.se/appen_blodcancerstodet

Medlemskap

Fyll i talongen nedan för att ansluta dig till Blodcancerförbundet

Namn

Födelsedatum.....

Adress.....

Postadress.....

Telefon.....

e-post.....

Diagnos.....

MEDLEMSKAP FÖR Patient Anhörig Stödjande

Namn

Födelsedatum.....

Adress.....

Postadress.....

Telefon.....

e-post.....

Diagnos.....

MEDLEMSKAP FÖR Patient Anhörig Stödjande

Blodcancerförbundet

SVARSPOST

20676570

174 20 Sundbyberg

Frankeras ej.
Mottagaren
betalar portot

Framtiden

Trots att aplastisk anemi är en allvarlig blodsjukdom så har prognosen förbättrats avsevärt de senaste decennierna

Behandlingen av aplastisk anemi är svår, tidskrävande och full av motgångar, men kan med tålamod och omsorg bli framgångsrik för många patienter. Under de senaste tjugo åren har behandlingsresultaten förbättrats kraftigt, från att den stora majoriteten av alla patienter dog i sin sjukdom inom första året från diagnos, fram till de resultat vi ser idag där en majoritet av patienterna kan bli botade eller leva utan symtom under många år.

FORSKNING PÅGÅR också ständigt rörande denna sjukdom. För varje år som går ökar förståelsen av hur benmärgen fungerar och varje framsteg på detta område förbättrar utsikterna till en framgångsrik behandling.

De flesta patienter med aplastisk anemi blir i dag botade eller lever symtomfria i många år

