



Improving Lives • Finding the Cure

PRÍRUČKA PACIENTA

Publikácia Medzinárodnej nadácie pre myelóm

Venované zlepšeniu kvality života pacientov s myelómom počas prevencie a liečby ochorenia



Mnohopočetný myelóm Rakovina kostnej drene

Prípravil Brian G. M. Durie, M. D.
Vydané v roku 2012/2013

Zlepšujeme životy • Hľadáme liek

10 KROKOV K LEPŠEJ STAROSTLIVOSTI™

JEDINEČNÝ SÚHRN INFORMÁCIÍ O DIAGNÓZE A LIEČBE

Jedným z najviac skľučujúcich aspektov po stanovení diagnózy mnohopočetný myelóm (MM) je zistenie a pochopenie toho, že ide o neznáme a pomerne komplikované ochorenie. Od stanovenia diagnózy po dlhodobé prežívanie na vašej ceste s mnohopočetným myelómom vás bude sprevádzať **10 krokov k lepšej starostlivosti™**:

1. Oboznámte sa s ochorením. Nechajte si stanoviť správnu diagnózu.
2. Testy, ktoré naozaj potrebujete.
3. Možnosti počiatočnej liečby.
4. Podporná starostlivosť a ako sa k nej dostať.
5. Transplantácia: Potrebujete ju?
6. Zhodnotenie odozvy: Zaberá liečba?
7. Konsolidačná a/alebo udržiavacia liečba.
8. Sledovanie myelómu: Monitorovanie bez záhad.
9. Recidíva: Potrebujete zmenu liečby?
10. Nové skúšania: Ako ich nájsť.

Navštívte stránku **10.steps.myeloma.org**, získajte lepší prehľad o ochorení a diagnóze a krok za krokom sa oboznámte s najlepšími testami, liečbou, podpornou starostlivosťou a momentálne dostupnými klinickými skúšaniami.

Ako vždy vás Medzinárodná nadácia pre myelóm (IMF) vyzýva k tomu, aby ste všetky zdravotné záležitosti prediskutovali so svojim lekárom. Nadácia je tu pre vás, aby vám poskytla nástroje na pochopenie a lepšie zvládanie mnohopočetného myelómu. Navštívte webovú stránku IMF myeloma.org alebo zavolajte na linku nadácie na čísle 800-452-CURE (2873), na ktorej vám s vašimi otázkami a problémami poradia výskolení odborníci. Medzinárodná nadácia pre myelóm je tu preto, aby vám pomohla.



Improving Lives • Finding the Cure

Obsah

Úvod	4
Krok č. 1: Oboznámte sa s ochorením, nechajte si stanoviť správnu diagnózu	4
Čo je myelóm?	4
Základné fakty o myelóme	5
Prečo je nutné myelóm liečiť	6
Čo spôsobuje zdravotné problémy vyvolané myelómom	7
Krok č. 2: Testy, ktoré naozaj potrebujete	7
Rôzne typy myelómu	7
Stanovenie štádia myelómu	8
Testovanie pri stanovovaní diagnózy	11
Krok č. 3: Možnosti počiatocnej liečby	11
Počiatočná liečba alebo liečba prvej línie	11
Krok č. 4: Podporná starostlivosť a ako sa k nej dostať	12
Čo robiť, ak nezaberá liečba prvej línie	13
Otázky pre vášho lekára	13
Pojmy a definície	17
Medzinárodná nadácia pre myelóm	27

Úvod

Medzinárodná nadácia pre myelóm (IMF) sa venuje vzdelávaniu a podpore pacientov a ich rodín.

Jedným z najviac skľučujúcich aspektov po stanovení diagnózy mnohopočetný myelóm (MM) je zistenie a pochopenie toho, že ide o neznáme a pomerne komplikované ochorenie. Pacienti a ich blízki sa často cítia ako keby prešli zrakdom do iného sveta, kde ich bežný slovník prestal fungovať. Medzinárodná nadácia pre myelóm (IMF) vydala Príručku pre pacientov, ktorá má byť vašim sprievodcom v tomto „novom svete“ a poskytnúť vám nástroje na lepšie pochopenie a zvládanie myelómu.

Príručka pre pacientov zostavená Medzinárodnou nadáciou pre myelóm sa zameriava na to, čo robíť okamžite po diagnostikovaní myelómu a preto sa venuje prvým štyrom z **10 krokov k lepšej starostlivosti**. Viac podrobností k témam, ako je transplantácia, podporná starostlivosť, individuálne lieky, čo robíť pri recidíve a klinické skúšania, nájdete v ostatných brožúrkach na stránke myeloma.org. Ak máte akékoľvek otázky alebo obavy, je vám k dispozícii linka Medzinárodnej nadácie pre myelóm alebo email na adrese TheIMF@myeloma.org. Zavolajte na bezplatné číslo 800-452-CURE (2873) v Spojených štátoch a Kanade, alebo 818-487-7455 z iných častí sveta. Zavolajte nám! Medzinárodná nadácia pre myelóm je tu preto, aby vám pomohla.

Krok č. 1: Oboznámte sa s ochorením, nechajte si stanoviť správnu diagnózu

Čo je myelóm?

Mnohopočetný myelóm je rakovina kostnej drene. Zámerom tejto brožúrky je poskytnúť vám základné informácie a nápady, ako sa s týmto ochorením vyrovnáť.

Napriek tomu, že v súčasnosti na myelóm neexistuje liek, je to pozoruhodne dobre liečiteľné ochorenie. Mnohí pacienti po stanovení diagnózy naďalej vedú plnohodnotný a produktívny život po mnoho rokov, ba až desaťročí. S pokročilým výskumom sa celkové vyhliadky pre pacientov neustále zlepšujú. Oboznámenie sa s ochorením a pochopenie možností znižuje úzkosť a pomôže vám vyrovnáť sa s diagnózou.

Myelóm je veľmi individuálne ochorenie. Myelóm často postupuje pomaly, hoci niekedy môže prebiehať aj omnoho agresívnejšie. Kvalifikovaní odborníci na liečbu myelómu budú schopní stanoviť najlepší prístup vo vašom konkrétnom prípade. Ak sa vo vašom okolí nenachádza špecialista na liečbu myelómu, môžete nájsť odborníka, ktorý bude spolupracovať s lekárom, ktorý vám poskytuje starostlivosť v mieste bydliska. Zatiaľ, čo váš zdravotnícky tím zhodnotí každú situáciu a odporučí vám najlepší prístup, vy ako pacient zohráte dôležitú úlohu a pomôžete im v rozhodovaní o individuálnej liečbe. Je dôležité, aby boli pacienti a ich rodiny dostatočne informovaní, kládli otázky a vážne sa zamýšľali nad alternatívnymi stratégiami alebo možnosťami. Hlavným posolstvom Medzinárodnej nadácie pre myelóm je „sila poznatkov.“ Dokonalé oboznámenie sa s vašim ochorením vám pomôže urobiť najlepšie rozhodnutia.

Myelóm je doslovne „óm,“ alebo nádor, ktorý postihuje „myelo“ alebo krvotvorné bunky v kostnej dreni. Postihnuté bunky sú plazmatické bunky (typ bielych krviniek), čo sú bunky produkujúce protilátky (bunky produkujúce imunoglobulíny). Zhubná alebo rakovinová plazmatická bunka sa nazýva myelómová bunka. Myelóm sa nazýva „mnohopočetný“, keďže sa často objavujú mnohopočetné škvrny alebo oblasti v kosti, kde rastie. Myelóm sa môže javiť aj ako nádor a/alebo oblasť úbytku kosti. V každom prípade sa nádor alebo diera v kosti nazýva „lézia.“ Oblasť úbytku kosti vyvolaného myelómom sa nazývajú aj „lytické lézie.“ Myelóm nie je „mnohopočetný“ len v jedinom zriedkavom prípade – ak je to „solitérny plazmocyóm,“ čo je myelómový nádor, ktorý sa môže jednotlivo objaviť buď v kostnej dreni, alebo mimo nej.

Myelóm postihuje miesta, kde je kostná dreň za bežných podmienok u dospelého človeka aktívna. Táto dreň sa nachádza v dutom priestore v kostiach chrbtice, lebky, panvy, hrudného koša a oblastiach v okolí ramien a bokov. Oblasť, ktoré zvyčajne nebyvajú postihnuté, sú končatiny: ruky, chodidlá, predlaktia a predkolenia. To je veľmi dôležité, lebo fungovanie týchto dôležitých končatín zostáva zvyčajne plne zachované.

Myelóm je možné odhaliť už v predrakovinovom štádiu (pozri tabuľku 1). V niektorých prípadoch sa myelómové bunky tvoria v kostnej dreni veľmi pomaly. Najranejšie štádium sa nazýva monoklonálna gamapatia nejasného významu (MGUS). Nie je to nádorové ochorenie. Pri monoklonálnej gamapatii nejasného významu predstavujú myeló-

mové bunky menej než 10% buniek kostnej drene. Riziko prechodu z MGUS do aktívneho myelómu je veľmi nízke: len 1% šanca za každý rok sledovania. Aj keď už myelómové bunky zaberajú 10–30% celkovej kostnej drene, ich rast môže byť veľmi pomalý a predstavovať indolentný/tlejúci alebo asymptomatický myelóm. Monoklonálna gamapatia nejasného významu aj indolentný myelóm sa môžu vyvíjať veľmi pomaly počas mnohých rokov a nevyžadovať aktívnu liečbu. Je veľmi dôležité stanoviť správnu diagnózu rozlíšením medzi MGUS a indolentným myelómom a aktívnym alebo symptomatickým myelómom, ktorý liečbu vyžaduje.

Základné fakty o myelóme

Existuje množstvo faktorov, ktoré sú schopné vyvolať myelóm alebo spôsobiť v kostnej dreni rast populácie abnormálnych alebo už poškodených pre-myelómových buniek. Spôsobiť alebo vyvolať myelóm môže množstvo rôznych faktorov: vystavenie sa toxickým chemikáliám, jadrové ožiarenie, čokoľvek, čo potláča alebo ovplyvňuje imunitný systém či infekcia rakovinotvornými vírusmi. Medzi identifikované toxické chemikálie patrí benzén, dioxíny (ako sú dioxíny v herbicídoch, Agent Orange, smutne známy oranžový dažď, je herbicíd) a celý rad poľnohospodárskych chemikálií, rozpúšťadiel, pohonných látok, výfukových plynov a čistiacich látok.

Závažné vystavenie rádiácii nie je celkom bežné, ale objavilo sa v Japonsku pri atómových testoch a na miestach, kde sa nachádzali reaktory, ako aj vo výrobných prevádzkach. Identifikovalo sa množstvo vírusov vrátane HIV (AIDS vírus), vírusov hepatitídy a vírusov herpesu. Niektoré retrovírusy, ako je SV40 (Simian Vírus 40), kontaminant vo vakcínach proti detskej obrne, sa takisto spomínajú v súvislosti s patogenézou myelómu.

Pri myelóme do určitej miery zohráva úlohu aj rodinný výskyt: približne 3–5% diagnostikovaných myelómov sa objaví u členov rodiny, ktorých príbuzným už predtým diagnostikovali MGUS alebo myelóm. Potenciálny skrining/skoré testovanie môžete prediskutovať so svojím lekárom, ak máte rodinného príslušníka s myelómom alebo MGUS.

Myelóm sa vyskytuje u dospelých. Priemerný vek výskytu myelómu je v prvej polovici šiesteho decénia. Len 5–10% pacientov má menej než 40 rokov. Myelóm sa vyskytuje častejšie u mužov a v niektorých rasových skupinách, ako sú černoši.

Každý rok sa v Spojených štátoch objaví približne 20 000 nových prípadov myelómu. Výskyt sa pohybuje od ~0,5–1/100 000 u Aziatov po až ~10–12/100 000 u černošských mužov. Zdá sa, že výskyt myelómu sa zvyšuje v mnohých častiach sveta, obzvlášť v Ázii. Momentálne je v Spojených štátoch viac než 100 000 pacientov s myelómom podstupujúcich liečbu tohto ochorenia.

TABUĽKA 1: Definície MGUS a myelómu

NÁZOV	DEFINÍCIA
Monoklonálna gamapatia nejasného významu (MGUS)	<ul style="list-style-type: none"> • Monoklonálny proteín je prítomný, no zvyčajne < 3,0 g/dl • Kritériá CRAB alebo ostatné indikátory aktívneho myelómu nie sú splnené • Monoklonálne plazmatické bunky kostnej drene < 10 %
Asymptomatický alebo tlejúci mnohopočetný myelóm (SMM)	<ul style="list-style-type: none"> • Vyššie štádium ochorenia než MGUS: m-komponent v sére > 3,0 g/dl a/alebo plazmatické bunky kostnej drene > 10 %, no • Bez kritérií CRAB alebo iných indikátorov aktívneho myelómu
Aktívny alebo symptomatický myelóm	<ul style="list-style-type: none"> • Prítomný monoklonálny proteín a • Jedno alebo viac „CRAB“ kritérií a/alebo indikátorov poškodenia orgánov*

* **poškodenie orgánov klasifikované anglickou skratkou „CRAB“** alebo akýkoľvek iný závažný klinický problém spájaný s progresiou myelómu, ako je recidivujúca infekcia alebo neuropatia bez spojitosti s liečbou

C – zvýšená hladina vápnika (calcium) (> 10 mg/dl)

R – renálna dysfunkcia (kreatinín > 2 mg/dl)

A – anémia (hemoglobín < 10 g/dl alebo > 2g/dl pokles z normálnej hodnoty pacienta)

B – ochorenie kostí (bone) (lytické lézie alebo osteoporóza)

Jedno alebo viac „CRAB“ kritérií alebo iné výrazné problémy potrebné na stanovenie diagnózy symptomatického myelómu

Prečo je nutné myelóm liečiť

Neliečený myelóm môže spôsobiť množstvo zdravotných problémov vrátane poškodenia kostí, zvýšenia hladiny vápnika v krvi, zlého krvného obrazu (obzvlášť anémie), náchylnosti na infekcie a poškodenia obličiek. Keďže často bývajú postihnuté kosti chrbtice a pretože myelómové proteíny produkované myelómovými bunkami môžu spôsobiť poškodenie nervov, bežne sa objavujú problémy s chrbticou alebo nervami, ktoré môžu vyžadovať urgentnú pozornosť.

V počiatočných štádiách liečby myelómu je dôležité rozlišovať medzi urgentnými problémami, ako je poškodenie kostí, infekcia, poškodenie obličiek alebo útlak (kompresia) nervov, ktoré vyžadujú okamžitú pozornosť, a celkovou plánovanou liečbou ochorenia. Niekedy urgentnú starostlivosť nemožno odďaľovať. Odporúčame vám však poradiť sa s hematológom/onkológom špecializujúcim sa na myelóm. Môžete s ním prebrať napríklad možnosti núdzového chirurgického zákroku v porovnaní s rádioterapiou. Je tiež dôležité zaistiť, aby zostali všetky možnosti liečby do budúca otvorené.

TABUĽKA 2: Zdravotné problémy spojené s myelómom

ÚČINKY ZVÝŠENÉHO POČTU MYELÓMOVÝCH BUNIEK V KOSTNEJ DRENI CRAB kritériá	PRÍČINA	VPLYV NA PACIENTOV
C – zvýšená hladina vápnika v krvi (calcium)	Uvoľňovanie vápnika z poškodenej kosti do krvného obehu.	<ul style="list-style-type: none"> • psychická zmatenosť • dehydratácia • zápcha • únava • slabosť • problémy s obličkami alebo poškodenie obličiek
R – renálne problémy – poškodenie obličiek	Abnormálne monoklonálne proteíny vytvárané myelómovými bunkami sa uvoľňujú do krvného obehu, pričom môžu prejsť do moču a spôsobiť poškodenie obličiek. Vysoká hladina vápnika v krvi, infekcie a iné faktory môžu tiež spôsobiť poškodenie obličiek alebo zvýšiť jeho stupeň.	<ul style="list-style-type: none"> • pomalá cirkulácia • únava • psychická zmatenosť
A – anémia	Znížený počet a aktivita červených krviniek v kostnej dreni.	<ul style="list-style-type: none"> • únava • slabosť
B – Bone damage – Poškodenie kostí <ul style="list-style-type: none"> • rednutie kostí (osteoporóza) alebo • oblasti s väčším poškodením (nazývané lytické lézie), zlomenina, alebo zrútenie stavcov 	Myelómové bunky aktivujú osteoklasty, ktoré odbúrávajú kosť a blokujú osteoblasty, ktoré za bežných podmienok poškodenú kosť opravujú.	<ul style="list-style-type: none"> • bolesť kostí • opuch kostí • zlomenina alebo zrútenie kosti • poškodenie nervov alebo miechy
Dodatočné typy orgánovej dysfunkcie	Lokálne alebo systémové účinky myelómu, iné než kritériá CRAB.	<ul style="list-style-type: none"> • neuropatia • recidivujúce infekcie • krvácavé problémy • iné individuálne problémy
Abnormálna funkcia imunitného systému	Myelómové bunky znižujú počet a aktivitu normálnych plazmatických buniek schopných vytvárať protilátky proti infekcii.	<ul style="list-style-type: none"> • náchylnosť na infekciu • pomalé zotavovanie z infekcie

Po vyriešení **urgentných záležitostí** je možné detailnejšie prediskutovať plány celkovej liečby. Zvyčajne zostáva čas aj na získanie nezávislého názoru iného odborníka alebo konzultáciu s nezávislým odborníkom, aby sa zaistilo náležité preskúmanie všetkých možností. Aj keď sa plány zdajú jasné, v prípade akýchkoľvek obáv, otázok či pochybností je lepšie nečakať a vyriešiť ich čo najskôr. Je nesmierne dôležité, aby ste sa na pláne liečby zhodli so svojim ošetrovúcim lekárom.

Čo spôsobuje zdravotné problémy pri myelóme

Zdravé plazmatické bunky vytvárajú imunoglobulíny, čo sú komplexné proteíny, ktoré nazývame „protilátky.“ Myelómové bunky nevytvárajú normálne fungujúce protilátky, ale namiesto toho vytvárajú abnormálny imunoglobulín, ktorý je známy ako „monoklonálny proteín.“ Táto diverzia imunitného systému má za následok zníženú tvorbu normálnych protilátok potrebných na boj s infekciou.

Mnohé zdravotné problémy spojené s myelómom spôsobuje nahromadenie myelómových buniek (pozri tabuľku 2). Avšak na rozdiel od iných typov nádorových ochorení môže myelóm pacientom spôsobiť množstvo zvláštnych komplikácií, pretože myelómové bunky nielenže vytvárajú nádory, ale tiež uvoľňujú mnohé proteíny a iné chemikálie priamo do kostnej drene a krvného obehu.

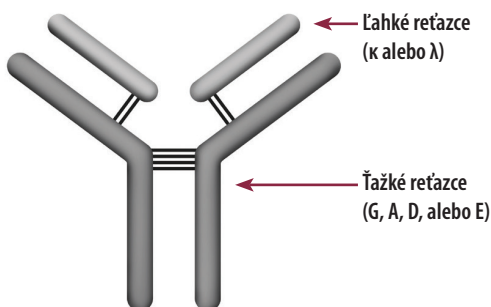
- **Lokálne účinky v kostnej dreni.** Účinky v kostnej dreni zahŕňajú zníženie tvorby krviniek a poškodenie okolitej kosti. Dôsledkom bývajú bežné príznaky myelómu, ako je anémia, náchylnosť na infekciu, bolesť kostí, fraktúry kostí a zvýšená hladina vápnika v krvi.
- **Účinky mimo kostnej drene.** Účinky mimo kostnej drene spôsobuje najmä monoklonálny proteín vytváraný myelómovými bunkami. Ako sa myelómové bunky hromadia v kostnej dreni, imunoglobulín alebo protilátkový proteín, ktorý je pre myelóm špecifický, sa uvoľňuje do krvného obehu. Tento špecifický imunoglobulínový proteín alebo monoklonálny proteín vytváraný myelómovými bunkami môže spôsobiť poškodenie tkaniva vo vzdialenejších oblastiach – celkom bežné je napríklad poškodenie obličiek. Proteín môže ovplyvňovať zrážavosť a/alebo cirkuláciu krvi a môže potenciálne spôsobiť poškodenie iného orgánu alebo tkaniva. Liečba myelómu znižuje lámavosť kostí a rast nádoru, ako aj rôzne účinky myelómových proteínov a chemikálií.

Krok č. 2: Testy, ktoré naozaj potrebujete

Rôzne typy myelómu

Existujú rôzne typy a podtypy myelómu. Tieto sú založené na type imunoglobulínu (proteínu) vytváraného myelómovou bunkou. Za bežných okolností majú rôzne imunoglobulíny v tele rôzne funkcie. Každý imunoglobulínový proteín pozostáva z dvoch ťažkých a dvoch ľahkých reťazcov (pozri obrázok 1). Existuje päť typov ťažkých proteínových reťazcov: G, A, D, E, a M a dva typy ľahkých proteínových reťazcov: kappa (κ) a lambda (λ alebo L). Stanovenie typu myelómu (vykonávané spolu s testom nazývaným „imunofixácia“ [IFE]) identifikuje ťažké aj ľahké reťazce. Väčšina pacientov s myelómom, približne 65 %, má typ myelómu IgG (G) s ľahkými reťazcami κ alebo λ . Ďalším najčastejším typom je myelóm typu Ig (A), tiež s ľahkými reťazcami κ alebo λ . (pozri tabuľku 3). Myelómy typu IgM, IgD, a IgE sú pomerne zriedkavé.

Obrázok 1: Štruktúra imunoglobulínu



Okrem celej molekule kombinácie ľahkých a ťažkých reťazcov vytvára približne 30 % pacientov voľné ľahké reťazce (oddelené od ťažkých reťazcov). U približne 10 % pacientov myelómové bunky vytvárajú len ľahké reťazce a nevytvárajú ťažké reťazce. To sa nazýva „myelóm s ľahkými reťazcami“ alebo „Bence Jonesov“ myelóm. Zriedkavo (u približne 1–2 % pacientov) myelómové bunky vytvárajú veľmi málo alebo žiaden monoklonálny proteín akéhokoľvek typu. Takýto stav sa nazýva „nesekrečný“ myelóm. Avšak, Freelite® test (test na zistenie prítomnosti ľahkých reťazcov v sére) môže odhaliť aj najmenšie množstvá ľahkých reťazcov v krvi u približne 70 % týchto pacientov.

Existujú nepatrné rozdiely v správaní sa rôznych typov myelómu. IgG myelóm spĺňa bežné kritériá

myelómu. Ig typ môže niekedy byť charakterizovaný nádormi mimo kosti. IgD typ môže byť sprevádzaný leukémiou plazmatických buniek a častejšie spôsobuje poškodenie obličiek. Myelómy s ľahkými reťazcami alebo Bence Jonesove myelómy najčastejšie spôsobujú poškodenie obličiek a/alebo vedú k ukladaniu ľahkých reťazcov v obličkách a/alebo nervoch alebo iných orgánoch. V závislosti od charakteristických znakov depozít ľahkých reťazcov sa tento stav nazýva buď ochorenie z ukladania amyloidu, alebo ochorenie z ukladania ľahkých reťazcov (LCDD Light Chain Deposition Disease). Ďalšie dve súvisiace ochorenia imunoglobulínov sú Waldenströмова makroglobulinémia, ktorá sa spája s IgM monoklonálnym proteínom, a POEMS syndróm, čo je skratka pre zriedkavé ochorenie, s ktorým súvisí

monoklonálny proteín, neuropatia, zväčšenie orgánov, endokrinné ochorenia a zmeny na koži.

Stanovenie štádia myelómu

Pri diagnostikovaní myelómu sa množstvo myelómu u jednotlivých pacientov líši. Tento stav sa nazýva štádiom myelómu. Najčastejšie používaný systém klinického stanovenia štádia – Durie/Salmonov systém pre stanovenie štádia ochorenia (DSS) je uvedený v tabuľke 4 a demonštruje koreláciu medzi množstvom myelómu a spôsobeným poškodením, ako je ochorenie kostí alebo anémia. „Zmeraná masa myelómovej bunky“ pre tento systém pre stanovenie štádia sa vyráta podľa štúdií, v rámci ktorých sa meralo množstvo myelómoveho proteínu (M-proteín výbežok) na myelómovú bunku, čo sa nazýva „syntetická

TABUĽKA 3: Typy myelómu a súvisiace ochorenia

TYP OCHORENIA	OPIS
Myelóm: IgG κ alebo λ Ig κ alebo λ Zriedkavejšie podtypy: IgD, E, alebo M	<ul style="list-style-type: none"> • Typický myelóm: väčšina pacientov. • Monitorovaný sledovaním monoklonálnych proteínov v sére s použitím elektroforézy bielkovín séra (SPEP) (IgG) a/alebo kvantitatívnym meraním (QIG) imunoglobulínu (IgA/D/E). V prípade Ig myelómu je kvantitatívne meranie imunoglobulínu často spoľahlivejšie.
Iba myelóm s ľahkými reťazcami alebo Bence Jonesov (BJ) myelóm: Typy κ alebo λ	<ul style="list-style-type: none"> • Bence Jonesov myelóm: približne 15–20 % pacientov. • Monitorovaný sledovaním monoklonálnych ľahkých reťazcov v moči s použitím elektroforézy bielkovín moču (UPEP) a/alebo meraním voľných ľahkých reťazcov v sére (Freelite®).
Nesekrečný myelóm: Typy κ alebo λ	<ul style="list-style-type: none"> • Zriedkavejší myelóm: 1–2 % pacientov. • Keďže SPEP aj UPEP sú negatívne (bez monoklonálnych výbežkov v sére alebo moči), ochorenie sa monitoruje pomocou testov Freelite®.
IgM myelóm: Podtypy κ alebo λ	<ul style="list-style-type: none"> • IgM myelóm je veľmi zriedkavý podtyp. • Bežne sa produkcia IgM objaví pri ochorení nazývanom Waldenströмова makroglobulinémia, ktorá sa skôr podobá na lymfóm (rakovina lymfatických uzlín) než na myelóm, čo je rakovina kostnej drene.
Amyloidóza: AL alebo podtypy imunoglobulínu s ľahkými reťazcami typu κ alebo λ	<ul style="list-style-type: none"> • Pri amyloidóze sa ľahké reťazce ukladajú skôr lineárne (β-pleated) v tkanivách než by sa rozpadali a/alebo vylúčili v moči. • Existuje množstvo druhov amyloidózy s ukladaním rôznych typov proteínov. Pri Alzheimerovej chorobe sa napríklad proteíny ukladajú v mozgu. • Pri amyloidóze vyvolanej v spojitosti myelómom sa ľahké reťazce môžu ukladať v mnohých tkanivách, vrátane pokožky, jazyka, srdca, obličiek, nervov, pľúc, pečene a čriev. • Tkanivá sa farbja pozitívne pri farebnom teste s použitím farbiva „červená Kongo“, ktorý je diagnostický. Detailnejšie testovanie pomocou spektroskopie a/alebo elektrónového mikroskopu môže byť vhodné aj potrebné.
Ochorenie z ukladania ľahkých reťazcov (LCDD): podtypy κ alebo λ	<ul style="list-style-type: none"> • Pri LCDD sa ľahké reťazce ukladajú menej organizovane (náhodne sa križia). • Tkanivá sa farbja pozitívne pri priamom κ alebo λ imunofarbení. Farbenie červenou Kongo je zvyčajne negatívne. • Existujú rôzne vzory tkanivových depozít často postihujúce pohrudnicu (pleurum) alebo peritoneum (okolie čriev) či očí.
POEMS syndróm: Zvyčajne IgG alebo λ (zriedkavo κ podtyp)	<ul style="list-style-type: none"> • POEMS syndróm je komplexné ochorenie zahŕňajúce polyneuropatiu, zväčšenie orgánov, endokrinopatiu, monoklonálnu gamopatiu a zmeny na koži. Diagnostikuje a lieči sa inak než myelóm. Pozri text a diskusiu.

miera M-komponentu.“ Vykonal sa tiež štúdie telesného metabolizmu M-proteínu, ktoré umožnili spätnú kalkuláciu na stanovenie presného počtu myelómových buniek v tele. To viedlo k pochopeniu skutočnosti, že u niektorých pacientov, ktorí vytvárajú veľké množstvo proteínu, môže byť počet myelómových buniek pomerne nízky. Naopak, u pacientov s nízkou produkciou proteínu môže byť počet myelómových buniek nečakane vysoký. Zmysel tohto vzťahu sa dá určit porovnaním percentuálneho podielu myelómových buniek kostnej drene s hladinami myelómového

proteínu v krvi a/alebo moči. Najčastejšie používaný prognostický systém pre stanovenie štádia založený na faktoroch – (Medzinárodný systém pre stanovenie štádia ochorenia, alebo ISS) je uvedený v tabuľke 5, a je výsledkom spolupráce viac ako dvadsiatich výskumných inštitúcií na celom svete. Prognóza (z gréckych slov, ktoré znamenajú „vedieť vopred“) pre pacientov s myelómom je lepšia, ak sa s liečbou začne skoro a ochorenie kostí alebo iné komplikácie tak nemusia ani nastať.

TABUĽKA 4: Durie/Salmonov systém pre stanovenie štádia ochorenia

ŠTÁDIUM	KRITÉRIÁ	ZMERANÁ BUNKOVÁ MASA MYELÓMU (Myelómové bunky v miliardách/m ² v celom tele)
ŠTÁDIUM I (nízka bunková masa)	Všetky z nasledujúcich kritérií: <ul style="list-style-type: none"> Hodnota hemoglobínu > 10 g/dl Hodnota vápnika v sére je normálna alebo < 10,5 mg/dl Röntgen kostí s normálnou kostnou štruktúrou (stupnica 0), alebo len solitárny kostný plazmocytóm Nízke úrovne produkcie M-komponent IgG hodnota < 5 g/dl; Ig hodnota < 3 g/dl M-komponent s ľahkými reťazcami v moči pri elektroforéze < 4 g/24 h 	600 miliárd
ŠTÁDIUM II (stredná bunková masa)	Nezodpovedá štádiu I ani štádiu III	600 až 1 200 miliárd
ŠTÁDIUM III (vysoká bunková masa)	Jedno alebo viac z nasledujúcich kritérií: <ul style="list-style-type: none"> Hodnota hemoglobínu < 8,5 g/dl Hodnota vápnika v sére > 12 mg/dl pokročilé lytické lézie na kostiach (scale 3) Vysoká miera produkcie M-komponent IgG value > 7 g/dl Ig value > 5 g/dl Bence Jonesov proteín > 12 g/24 h 	> 1 200 miliárd
PODKLASIFIKÁCIA (buď A alebo B)	<ul style="list-style-type: none"> A: relatívne normálna funkcia obličiek (Hodnota kreatinínu v sére) < 2,0 mg/dl B: abnormálna funkcia obličiek (hodnota kreatinínu v sére) > 2,0 mg/dl <i>Priklady: Štádium I (nízka bunková masa s normálnou funkciou obličiek); Štádium IIIB (vysoká bunková masa s abnormálnou funkciou obličiek)</i>	

TABUĽKA 5: Medzinárodný systém pre stanovenie štádia mnohočetného myelómu

ŠTÁDIUM	HODNOTY
ŠTÁDIUM 1	$\beta 2M < 3,5$ $ALB \geq 3,5$
ŠTÁDIUM 2	$\beta 2M < 3,5$ $AB < 3,5$ alebo $\beta 2M 3,5 - 5,5$
ŠTÁDIUM 3	$\beta 2M > 5,5$
Poznámka: $\beta 2M$ = sérový $\beta 2$ mikroglobulín v mg/l ALB = sérový albumín v g/dl	

TABUĽKA 6: Prognostické faktory

TEST	VÝZNAM
Sérový $\beta 2$ mikroglobulín (S $\beta 2M$)	vyššia hodnota naznačuje vyššie štádium
Sérový albumín (S Alb)	nížšia hodnota naznačuje vyššie štádium
C-reaktívny proteín (CRP)	zvyšuje sa s aktívnym ochorením
Sérová LDH (laktátdehydrogenáza)	zvyšuje sa s aktívnym ochorením
Abnormálne chromozómy podľa cytogenetiky kostnej drene a analýzy FISH	množstvo vymazaných alebo translokovaných chromozómov; môže mať spojitosť s kratším trvaním remisie

TABUĽKA 7: Základné testy

TEST	ÚČEL
<p>Biopsia kostnej drene Špeciálne testovanie sa vykonáva na zhodnotenie prognózy (napr. chromozómy, immune typing, farbenie na zistenie amyloidu)</p>	<p>Ide o najdôležitejší test na určenie prítomnosti aj percentuálneho podielu myelómových buniek v kostnej dreni. V prvom štádiu ochorenia alebo pri soliternom plazmocytóme môže byť nevyhnutné vykonať biopsiu nádorovej masy. Chromozómová analýza (cytogenetické testovanie) môže odhaliť priaznivé alebo nepriaznivé kritériá chromozómov s použitím priamej (farbenie podľa Giemsa) a/alebo FISH analýzy. Pri tomto type testovania je potrebná čerstvá vzorka.</p>
<p>Testovanie krvi Celkový krvný obraz</p> <p>Výšetrenie metabolizmu Špeciálne testovanie proteínov</p> <p>Elektroforéza bielkovín v sére (SPEP) Imunofixácia</p> <p>Freelite test</p>	<ul style="list-style-type: none"> • Zhodnotenie prítomnosti/závažnosti anémie (nízky hemoglobín) • Zhodnotenie nízkeho počtu bielych krviniek • Zhodnotenie nízkeho počtu krvných doštičiek • Zhodnotenie funkcie obličiek (kreatinín a BUN), pečene, hladiny albumínu, vápnika a LDH • Preukázaná prítomnosť monoklonálneho myelómového proteínu („výbežok“ proteín, bielkovina s výbežkom) • Množstvo abnormálneho myelómového proteínu s ťažkými reťazcami • Vykazuje typ myelómového proteínu [napr. ťažký reťazec (G, A, D alebo E), ľahký reťazec, kappa (κ), lambda (λ)] • Môže sa použiť na meranie množstva voľných kappa alebo lambda ľahkých reťazcov, ak sa nezistí abnormalita SPEP alebo UPEP
<p>Testovanie moču Špeciálne testovanie bielkovín podobné testovaniu séra uvedenému vyššie: • Elektroforéza bielkovín v moči (UPEP) • Imunofixácia</p>	<p>Ukáže prítomnosť, množstvo a typ abnormálneho myelómového proteínu v moči.</p>
<p>Testovanie kostí Röntgenové vyšetrenia</p> <p>MRI</p> <p>CT</p> <p>Zobrazovanie pomocou nukleárnej medicíny Zobrazovanie FDG/PET alebo PET/CT Testovanie hustoty kostí</p>	<p>Zhodnotí prítomnosť, závažnosť a oblasti poškodenia kostí: Zostávajú zlatým štandardom pri skúmaní poškodenia kostí myelómom. U väčšiny pacientov röntgenové vyšetrenia preukážu charakteristické myelómové ochorenie kostí (lytické lézie alebo „diery“ v kostiach). Röntgenové vyšetrenia však môžu byť negatívne u približne 25 % pacientov s aktívnym myelómom, a je preto potrebné ďalšie zobrazovanie s cieľom vylúčiť možné postihnutie kostí. Celkové vyšetrenie kostry a hľadanie myelómu pomocou niekoľkých röntgenových vyšetrení býva potrebné na preukázanie úbytku alebo rednutia kosti (osteoporóza alebo osteopénia spôsobená myelómovým poškodením kostí), lytických lézií, a/alebo akejkolvek zlomeniny alebo zrútenia kosti.</p> <p>Využíva sa, ak sú röntgenové vyšetrenia negatívne a/alebo je potrebné podrobnejšie testovanie určitých oblastí ako je chrbtica a/alebo mozog. Dokáže odhaliť prítomnosť a distribúciu ochorenia v kostnej dreni, a to aj v prípade, že röntgenové vyšetrenia nepreukážu poškodenie kostí. Dokáže tiež odhaliť ochorenie mimo kostí, ktoré môže utláčať nervy a/alebo miechu.</p> <p>Sa používa, ak sú röntgenové vyšetrenia negatívne a/alebo je potrebné podrobnejšie testovanie určitých oblastí. Obzvlášť vhodné je na podrobné zhodnotenie malých oblastí možného poškodenia kostí alebo utlačenie nervov.</p> <p>Rutinné vykonávané zobrazenia kostí pri iných typoch rakoviny. Nie sú vhodné pri myelóme a nemali by sa vykonávať za iným účelom, než je vylúčenie iných diagnóz.</p> <p>Omnoho citlivejšia technika skenovania celého tela. Vhodná na monitorovanie ochorenia, obzvlášť pri nesekrečných ochoreniach. CT sa používa na zhodnotenie miest PET-pozitívneho ochorenia.</p> <p>Pomáha pri zhodnotení závažnosti difúzneho úbytku kostí pri myelóme a meraní postupného zlepšovania pri liečbe bisfosfonátmi.</p>

Na vyhodnotenie agresivity myelómu u daného pacienta je možné použiť viacero testov. Vo všeobecnosti platí, že vyššie alebo abnormálne výsledky testu poukazujú na aktívnejší myelóm a možno aj na pravdepodobnosť dlhšej odozvy pri liečbe (tabuľka 6). Sérový beta 2 mikroglobulín ($\beta 2M$), sérový albumín (S Alb), C-reaktívny proteín (CRP) a sérová laktátdehydrogenáza sa hodnotia pomocou krvných testov. Cytogenetiku kostnej drene a FISH analýzu hodnotia špeciálne štúdie vykonávané na vzorke aspirátu kostnej drene.

Cytogenetika a FISH analýza sú štúdie zmien chromozómov, ku ktorým dochádza v myelómových bunkách počas bunkového delenia. V závislosti od ich prítomnosti, absencie a typu je možné vyhodnotiť rizikový status pacienta. Abnormality s vysokým rizikom identifikované prostredníctvom FISH zahŕňajú vymazanie krátkeho ramena chromozómov 17 (del 17p); translokáciu genetického materiálu medzi chromozómami 14 a 16 (t[14;16]); a translokáciu medzi chromozómami 14 a 20 (t[14;20]). Stredné riziko myelómu stanovené analýzou FISH koreluje s translokáciou genetického materiálu medzi chromozómami 4 a 14 (t[4;14]); čo stanovili aj cytogenetické štúdie, ktoré odhaľujú stratu chromozómu 13 a/alebo prítomnosť menej než jednej kópie každého chromozómu. Myelóm so štandardným alebo dobrým rizikom charakterizujú zmeny postihujúce viac než jednu kópiu každého chromozómu; translokáciu t(11;14); a translokáciu t(6;14).

Spolu so získaním ďalších skúseností s novými kombináciami s/alebo bez vlastnej transplantácie je pravdepodobné, že onedlho budú dostupné lepšie prediktory. Je dôležité uviesť si, že korelácie sa týkajú skupín pacientov všeobecne a nemusia plne odrážať výsledky u jednotlivých pacientov.

Testovanie pri stanovovaní diagnózy

Tabuľka 7 sumarizuje typické testovania požadované v čase stanovovania diagnózy (základného testovania).

Krok č. 3: Možnosti počiatkovej liečby

Rozhodnutie o potrebnosti liečby je najdôležitejším počiatkovým rozhodnutím. Ako sme už zdôrazňovali, základné testovanie, stanovenie štádia a prognostická klasifikácia sú nevyhnutné. Liečba sa odporúča pri aktívnom alebo symptomatickom myelóme. Urgencia liečby závisí od špecifických problémov, ktorým musí pacient čeliť.

Počiatková liečba alebo liečba prvej línie

Je dôležité, aby si pacienti našli dostatok času na prediskutovanie ich možností s hematológom alebo hematológom/onkológom. Okrem výsledkov základného testu je potrebné zvážiť aj:

Dôležité základné otázky

- **Každodenné fungovanie:** Ovplyvní liečba schopnosť vykonávať každodenné aktivity?
- **Práca:** Budú potrebné nejaké zmeny alebo prerušenia aktivít?
- **Vek:** Predstavuje faktor pri výbere liečby a očakávaných výsledkoch?
- **Vedľajšie účinky liečby:** Aké závažné budú?
- **Iné zdravotné záležitosti:** Ovplyvnia výber a znášanlivosť liečby?
- **Transplantácia:** Odporúča sa pri transplantácii chemoterapia vysokými dávkami?
- **Rýchlosť odozvy na liečbu:** Ako rýchlo liečba zaberie a ako sa hodnotí?
- **Počiatkové a neskoršie rozhodnutia:** O čom všetkom je potrebné rozhodnúť v prvý deň?

Najlepšie je nechať si otvorené dverka pre prípad transplantácie kmeňových buniek, ak cítite, že by to mohla byť v budúcnosti pre vás možnosť. Vo všeobecnosti platí, že pacienti, ktorí majú menej ako 65 rokov, sa považujú za vhodných kandidátov na transplantáciu kmeňových buniek. V Spojených štátoch Medicare pokryje jednu transplantáciu vlastných kmeňových buniek u oprávnených pacientov až do veku 77 rokov. Oprávnenosť podstúpiť transplantáciu kmeňových buniek je nutné zhodnotiť na individuálnom základe a vziať do úvahy zdravotný stav, iné ochorenia a anamnézu liečby.

Napriek tomu, že klinické skúšania prvej línie (prvá liečba po stanovení diagnózy) sú už dostupné, musíte byť zmierení so skutočnosťou, že vám liečbu vyberú náhodne. Môžete tak „uviaznúť v“ budúcej randomizácii aj liečbe. Uistite sa, že protokolu liečby rozumiete v celom jeho rozsahu.

Dôležitá poznámka: Ak nezaberie jedna liečba, neznamená to, že iná liečba nemôže zabrať výborne a zabezpečiť vynikajúcu remisiu.

Krok č. 4: Podporná starostlivosť a ako sa k nej dostať

Liečby na zmiernenie fyzického a emocionálneho vplyvu ochorenia sú už dostupné.

Skoré zavedenie opatrení podpornej starostlivosti je rovnako dôležité ako začatie terapie prvej línie.

Okrem manažmentu špecifických symptómov je nesmierne dôležitý aj celý rad podporných opatrení:

- **Fyzická aktivita** – Pacienti by si mali spolu s lekárom ujasniť, či môžu vykonávať fyzické aktivity neobmedzene, alebo či je potrebné vykonať určité zmeny vzhľadom na ochorenie kostí a/alebo jednotlivé oblasti poškodenia kostí. Zvyčajne je možné vykonávať určité fyzické aktivity, ako sú plánované prechádzky alebo plávanie, naťahovacie a posilňovacie cvičenia a/alebo na mieru vypracovaný program cvičenia jógy.
- **Diéta** – pre pacientov s myelómom nebola doteraz zosťavená žiadna špeciálna diéta. Táto oblasť podlieha neustálemu výskumu. Vo všeobecnosti platí, že je možné riadiť sa zásadami „racionálneho stravovania“ odporúčanými pri iných, napríklad srdcových ochoreniach alebo onkologických

ochoreniach všeobecne (napr. rakovina prsníka). Opatrnosť je namieste v dvoch oblastiach:

- **Vitamín C** – vysoké dávky (napr. >1 000 mg/denne) tohto vitamínu môžu byť pri myelóme kontraproduktívne a zvýšiť riziko poškodenia obličiek.
- **Bylinky a vitamínové doplnky** – pohovárajte sa so svojim lekárom alebo lekárnikom onkologického ústavu o užívaní doplnkov stravy zároveň s chemoterapiou alebo inými liekmi. Liekové interakcie môžu spôsobiť zdravotné problémy. Väčšina lekární má zavedené systémy na identifikáciu potenciálnych interakcií s doplnkami užívanými spolu s liekmi.
- **Psychické zdravie** – vaše duševné zdravie zohráva nesmierne dôležitú úlohu v tom, ako bude liečebný plán postupovať. Uistite sa, že vám plánovaná liečba vyhovuje a ste s ňou zmierení. Dohodnite si termín u odborníka, ak sa obávate že by ste mohli upadnúť do depresie, alebo sa toho obávajú ostatní.
- **Pravidelný spánok** – je veľmi dôležitý pre váš imunitný systém.
- **Vykonajte zmeny** – na čo najvyššiu možnú mieru zredukujte alebo eliminujte stres v práci, rodine, alebo pri spoločenských situáciách. Čo najviac sa vyhýbajte kontaktu s deťmi školského veku,

TABUĽKA 8: Ciele liečby myelómu

TYP LIEČBY	CIEĽ	PRÍKLADY	ČAS NA ROZMYSLLENIE
Stabilizačná liečba	Snaha o zabránenie životu nebezpečnému rozvratu vnútorného chemického prostredia organizmu a imunitného systému	Plazmaferéza na zriedenie krvi a snaha zabrániť mŕtvici • Hemodialýza pri zníženej funkcii obličiek • Lieky pre zníženie hyperkalciémie (môže zahŕňať chemoterapiu)	hodiny až dni
Paliatívna liečba	Zmiernenie fyzickej nepohody a zvýšenie pacientovej schopnosti normálne fungovať	• Rádioterapia pre zastavenie deštrukcie kostí • Transfúzia červených krviniek alebo erytropoetínu pre zmiernenie anémie • Ortopedický zákrok pre opravu a/alebo posilnenie kosti	dni až mesiace
Liečba pre navodenie remisie	Zlepšenie symptómov, spomalenie alebo zastavenie priebehu ochorenia	• Liečba zameraná na zničenie malígnych buniek v celom tele • Rádioterapia na zničenie malígnych buniek v mieste nádoru	tyždne až mesiace
Kuratívna liečba	Permanentná remisia*	• Transplantácia kostnej drene ako prostriedok podania vysokej dávky chemoterapie	tyždne až mesiace

* Vyliečenie znamená úplné vymiznutie myelómu, ktoré je zdokumentované len zriedka. Používa sa pojem „funkčné vyliečenie“, ktorý opisuje úplnú remisiu trvajúcu viac ako 4 roky. Po úplnej reakcii na liečbu (vrátane reakcie na molekulárnej úrovni) môže nastať recidíva, odporúča sa preto dlhodobé sledovanie.

davom, a často si umývajte ruky; váš imunitný systém je oslabený ochorením ako aj jeho liečbou. Manažment myelómu je hlavnou prioritou až do remisie a/alebo dosiahnutia stabilnej situácie.

Čo robiť, ak liečba prvej línie nezaberá

Existujú viaceré možnosti liečby nad rámec tejto úvodnej príručky. Neustále sa objavujú nové typy terapie, sú čoraz dostupnejšie a môžu byť na úžitok.

Navštívte, prosím, webovú stránku IMF na adrese myeloma.org a získajte viac informácií a pravidelných aktualizácií, alebo zavolajte do IMF na číslo 800-452-CURE (2873).

Otázky pre vášho lekára

Rozhodnutia týkajúce sa liečby sú nesmierne dôležité pre prežitie a kvalitu života pacienta s myelómom. Ak má pacient urobiť informované rozhodnutie, potrebuje fakty. Niektorí pacienti chcú prediskutovať všetky aspekty svojej situácie, liečby a prognózy. Iní chcú len vedieť, čo robiť v ďalšom kroku. Väčšina lekárov zaujíma k týmto otázkam citlivý prístup a postupuje na základe pacientových želaní. Pacientov podporujeme v tom, aby dali jasne najavo, do akej miery hodlajú ovplyvňovať rozhodnutia týkajúce sa liečby. Okrem toho, nezávisle od toho, ako veľmi pacient lekárovi dôveruje, býva dobrým zvykom obstarat si pred začatím samotnej liečby aj názor iného odborníka na myelóm.

1. Získajte úplný opis liečebného programu:

- **Čo presne je súčasťou liečby?**
- **Aké sú jej ciele?**
- **Počas ako dlhého obdobia sa bude liečba podávať?**
- **Čo zahŕňa?** Ako často musí pacient navštevovať zdravotnícke zariadenie? Je hospitalizácia nutná alebo pravdepodobná? Čo pravdepodobne ovplyvní pacientovu schopnosť normálne fungovať (napr. pracovať a venovať sa iným aktivitám)? Ako sa ľudia cítia pred liečbou, počas liečby a po liečbe? Ako vyzerajú? Ako dlho sa zvyknú zotavovať?
- **Aké programy ďalšieho sledovania a udržiavacej liečby budú potrebné?**
- **Kolko stojí liečebný program?** Pokryje ho zdravotné poistenie?

2. Ako táto liečba zabrala u iných pacientov v podobných situáciách? Účinnosť sa meria rôznymi spôsobmi:

- **Kolko skúseností s touto liečbou existuje? Kolíkí pacienti ju už podstúpili?** Ako dlho boli títo pacienti po liečbe sledovaní?
- **Aké sú nádeje na dosiahnutie úplnej alebo čiastočnej remisie?** Ktoré faktory poukazujú lepšie alebo horšie nádeje?
- **Ako dlho trvala u pacientov remisia?** Ktoré faktory korelujú s dlhodobou alebo krátkodobou remisiou?
- **Aké sú možnosti v prípade recidívy?** (Tieto možnosti môžu byť dočasné.)
- **Aké sú realistické očakávania týkajúce sa zmiernenia symptómov, ako je bolesť kostí, patologické fraktúry, anémia, únava a hyperkalcémia?** Aké sú faktory, ktoré naznačujú, ako liečba môže zmierniť symptómy?
- **Ako dlho prežili ľudia, ktorí podstúpili liečbu?** Kolko pacientov zo skupín podrobených novým typom liečby ešte žije?

3. Rovnako ako pri väčšine typov liečby rakoviny, aj liečba myelómu všeobecne využíva silné lieky a iné opatrenia zamerané na zničenie malígnych buniek a/alebo znovuoobnovenie normálnych telesných chemických a metabolických parametrov. Bežne mávajú vedľajšie účinky. Niektoré sa prejavujú už počas liečby, iné sa prejavujú až po jej ukončení.

- **Aké vedľajšie účinky sa pozorovali u pacientov podstupujúcich túto liečbu?** Kedy sa zvyčajne prejavujú? U akého percenta pacientov sa prejavujú? Aké závažné sú tieto vedľajšie účinky? Sú život ohrozujúce? Sú bolestivé? Sú permanentné? Ako dlho trvajú?
- **Existuje liečba zameraná na vedľajšie účinky?** Má liečba zameraná na zmiernenie vedľajších účinkov sama vedľajšie účinky?

4. Vždy existujú alternatívy. Pri žiadnej alternatíve nezabudnite položiť nasledujúce otázky:

- **Aké sú alternatívy odporúčanej liečby?**
- **Aké sú relatívne pre a proti alternatív?**
- **Aké sú pre a proti alternatívnej liečby v porovnaní so žiadnou liečbou?**

(text pokračuje na strane č. 17)

TABUĽKA 9A: Možnosti liečby prvej línie – u pacientov, ktorí sú vhodnými kandidátmi na transplantáciu

LIEČBA PRVEJ LÍNIE	POZNÁMKY	VÝHODY	NEVÝHODY
Velcade® (bortezomib)	<ul style="list-style-type: none"> Vynikajúca a schválená možnosť liečby prvej línie Zvyčajne sa podáva spolu s dexametazónom 	<ul style="list-style-type: none"> Vykazuje výrazný prínos Dostupné sú mnohé kombinácie Preferovaný v prípadoch obličkovej nedostatočnosti / abnormálnych genetických kritérií 	<ul style="list-style-type: none"> Spôsobuje neuropatiu, ktorá je v tomto prípade čiastočne alebo úplne reverzibilná Pri podkožnom podávaní sa riziko neuropatie výrazne znižuje
Velcade® s dexametazónom	<ul style="list-style-type: none"> Najjednoduchšia možnosť použitia Velcade® v rámci terapie prvej línie 	<ul style="list-style-type: none"> Vynikajúca miera odozvy Nový zlatý štandard pri indukčnej liečbe prvej línie 	<ul style="list-style-type: none"> Podávaný do žily alebo pod kožu Potenciálne vedľajšie účinky: periférna neuropatia
VTD (Velcade®/talidomid/dexametazón)	<ul style="list-style-type: none"> Vysokoúčinná kombinácia Účinnosť a vedľajšie účinky je potrebné prediskutovať s lekárom 	<ul style="list-style-type: none"> Veľmi vysoká miera odozvy v rámci štúdií fázy III Vynikajúce výsledky po transplantácii 	<ul style="list-style-type: none"> Kombinácia podávaná do žily Potenciálne vedľajšie účinky: periférna neuropatia
Zložitejšie kombinácie Velcade® s liekmi Revlimid® (lenalidomide), Doxil® (doxorubicin), Cytosan® (cyklofosamid) alebo inými liečivami	<ul style="list-style-type: none"> Množstvo vysokoúčinných kombinácií Kombinácie liečiv alebo ich postupné dlhodobé podávanie je potrebné zväziť spolu s lekárom 	<ul style="list-style-type: none"> Vynikajúca miera odozvy Niektoré kombinácie umožňujú liečbu bez podávania steroidov 	<ul style="list-style-type: none"> Kombinácia podávaná do žily Možná zvýšená toxicita
Dexametazón plus talidomid*	<ul style="list-style-type: none"> Hodnota a vedľajšie účinky porovnateľné s Rd (pozri nižšie) 	<ul style="list-style-type: none"> Perorálne užívanie vyvolá remisiu u 70 % pacientov 	<ul style="list-style-type: none"> Potrebné zväziť možnú neuropatiu a trombózu hlbokých žíl (krvné zrazeniny)
R alebo Rd (RevloDex)* (Revlimid® podávaný samostatne alebo Revlimid® podávaný spolu s nízkymi dávkami dexametazónu)	<ul style="list-style-type: none"> Veľmi efektívna alternatíva Tal/Dex Často preferovaná lekármi a pacientmi 	<ul style="list-style-type: none"> Vynikajúca miera odozvy Perorálne podávanie Vo všeobecnosti dobre tolerovaný a spôsobuje omnoho menej neuropatie ako talidomid 	<ul style="list-style-type: none"> Revlimid podávaný samostatne môže mať za následok menej efektívnu reakciu na liečbu Riziko problémov s krvnými zrazeninami pri kombinácii Rev/dex; vyžaduje podávanie aspirínu alebo iného lieku na riedenie krvi Možnosť zníženého množstva odberu kmeňových buniek
Dexametazón* podávaný samostatne	<ul style="list-style-type: none"> Jednoduchá možnosť včasného manažmentu ochorenia 	<ul style="list-style-type: none"> Pulzný dexametazón podávaný samostatne poskytuje podstatný percentuálny prínos podobne ako VAD 	<ul style="list-style-type: none"> Dexametazón podávaný v rámci intenzívneho dávkovacieho režimu môže byť horšie znášaný
VAD (vinkristín/adriamycín/dexametazón)	<ul style="list-style-type: none"> Pred objavením nových liekov bola táto kombinácia liekom prvej voľby V súčasnosti sa využíva ako „záložná liečba“ 	<ul style="list-style-type: none"> Poskytuje remisiu u 70 % pacientov Nespôsobuje poškodenie normálnych kmeňových buniek Môže byť základom pre transplantáciu kmeňových buniek 	<ul style="list-style-type: none"> Podanie do žily vyžaduje centrálny žilový katéter, môže spôsobiť infekciu a komplikácie s krvnými zrazeninami Vinkristín môže spôsobiť poškodenie nervov Existujú už nové možnosti, ktoré sú účinnejšie a menej toxické

* Môžu sa využívať pri plánovanom odbere transplantátu alebo bez neho. Viac podrobností o možnosti liečby nájdete v iných publikáciách IMF. Ak si ich želáte objednať, kontaktujte IMF na čísle 800-452-2873 alebo navštívte našu webovú stránku na adrese myeloma.org

TABUĽKA 9B: Dodatočné možnosti liečby prvej línie – u pacientov, ktorí nie sú vhodnými kandidátmi na transplantáciu

LIEČBA PRVEJ LÍNIE	VÝHODY	NEVÝHODY
MP (melfalan + prednizón)	<ul style="list-style-type: none"> • Perorálne podávanie • Dobrá znášanlivosť • Poskytujete vynikajúce remisie u približne 60 % pacientov • Lekári sú dobre oboznámení s protokolom 	<ul style="list-style-type: none"> • Môže spôsobiť poškodenie kmeňových buniek kostnej drene, a preto znížiť šance na úspešnú transplantáciu kmeňových buniek • Plný prínos sa prejaví postupne po niekoľkých mesiacoch • Nie je to ideálna kombinácia, ak je potrebná promptná odozva a/alebo plánuje transplantácia kmeňových buniek
Dexametazón plus melfalan	<ul style="list-style-type: none"> • Táto kombinácia vyvolá rýchlejší prínos než MP 	<ul style="list-style-type: none"> • Podávanie melfalanu od začiatku poškodzuje kmeňové bunky • Dexametazón môže spôsobovať ťažkosti u starších pacientov (ak sa preň rozhodnete, zväzťe užívanie 1 deň/mesiac)
MPT (MP + talidomid)	<ul style="list-style-type: none"> • Perorálne užívanie • Dobrá znášanlivosť • Častejšia remisia v porovnaní s MP 	<ul style="list-style-type: none"> • Rovnako ako pri MP • Talidomid sa spája s rizikom neuropatie a/alebo problémov s krvnými zrazeninami (DVT)
VMP (Velcade® + MP)	<ul style="list-style-type: none"> • Vo všeobecnosti dobrá znášanlivosť • Bez rizika krvných zrazenín • Častejšia remisia v porovnaní s MP 	<ul style="list-style-type: none"> • Rovnako ako pri MP • Velcade sa podáva do žily alebo pod kožu • Výrazné riziko rozvoja neuropatie
MPR (MP + Revlimid®)	<ul style="list-style-type: none"> • Perorálne užívanie • Dobrá znášanlivosť • Častejšia remisia v porovnaní s MP 	<ul style="list-style-type: none"> • Riziko problémov s krvnými zrazeninami pri podávaní Revlimidu (potrebne podávanie aspirínu alebo iného lieku na riedenie krvi) • Potenciálne zvýšené riziko druhej primárnej malignity
<p>Niekedy sa používa množstvo iných terapií ako je cyklofosamid a Etoposid® (VP-16).</p> <p>Medzi možné kombinácie patrí:</p> <ul style="list-style-type: none"> • VBMCP (M2 protokol) • VMCP/VBAP (SWOG protokol) • ABCM (UK MRC protokol) 	<ul style="list-style-type: none"> • Kombinácie poskytujú agresívnejší prístup, ak sa považuje za potrebný • Symptómy aktívneho ochorenia je možné kontrolovať rýchlejšie a prvá remisia môže byť kvalitnejšia 	<ul style="list-style-type: none"> • Viac vedľajších účinkov v porovnaní s jednoduchšími liečebnými režimami • Bez pridaného dlhodobého prínosu • Vedľajšie účinky môžu znížiť kvalitu života a ohroziť oprávnenosť zaradenia do nových protokolov

Viac podrobností o možnosti liečby nájdete v iných publikáciách IMF. Ak si ich želáte objednať, kontaktujte IMF na čísle 800-452-2873 alebo navštívte našu webovú stránku na adrese myeloma.org

TABUĽKA 10: Podporná starostlivosť

SYMPTÓM	LIEČBA	POZNÁMKY
Únava a slabosť v dôsledku anémie	<ul style="list-style-type: none"> • Transfúzia krvi (balené červené krvinky: po znížení počtu bielych krviniek a vyšetrení vírusov) pri ťažkej anémii • Erytropoetín pri miernej až stredne závažnej anémii vyvolanej terapiou 	Liečby sú jednoduché, zvyčajne vysokoprirodnosť a zlepšujú celkový stav a pocity pacienta.
Bolesť kostí	<ul style="list-style-type: none"> • Bisfosfonát (napr. Aredia® 90 mg intravenózne počas 2–4 hodín mesačne; Zometa® 4 mg do žily počas 15–45 minút mesačne) • Lieky na tíšenie bolesti podľa potreby (napr. Tylenol®, perorálne deriváty morfinu, Fentanyl® „náplast na bolesť“) 	Zmiernenie bolesti kostí je dôležité samo o sebe a zlepšuje fyzickú aktivitu, ktorá potom zlepšuje silu kostí a hojenie a zlepšuje emocionálny stav. Dlhodobá liečba bisfosfonátmi môže potenciálne, aj keď zriedkavo, spôsobiť poškodenie obličiek a čeluste. Základom prevencie je uvedomovanie si týchto rizík.
Horúčka a/alebo preukázaná prítomnosť infekcie	<ul style="list-style-type: none"> • Vhodné antibiotiká • Neupogen® ak je to potrebné, na zvýšenie nízkeho počtu bielych krviniek • Intravenózne podávaný gamaglobulín pri závažných infekciách • Testy je potrebné vykonávať podľa potreby na diagnostikovanie presného typu infekcie (okrem nebezpečných biopsií/ kultivácií) 	Napriek tomu, že antibiotiká je potrebné zvoliť po náležitom zvážení, je nesmierne dôležité dostať infekcie okamžite pod kontrolu. Odporúča sa mať antibiotiká stále poruke pre použitie v núdzi (obzvlášť pri cestovaní).
Gastrointestinálne vedľajšie účinky	<ul style="list-style-type: none"> • Vhodné lieky na zmiernenie nauzey, vracania, zápchy alebo hnačky • Udržiavajte adekvátny príjem potravy a tekutín 	O príznakoch sa poraďte s poskytovateľmi zdravotnej starostlivosti; ťažké symptómy môžu vyžadovať hospitalizáciu.
Krvné zrazeniny a tromboembolické príhody	<ul style="list-style-type: none"> • Zrazeniny predstavujú urgentné zdravotné situácie; liečba sa stanoví podľa typu príhody a rizikových faktorov pacienta • Je možné predpísať aspirín alebo lieky proti tvorbe zrazenín 	Riziko je možné znížiť cvičením, znížením hmotnosti a nefajčením.
Periférna neuropatia	<ul style="list-style-type: none"> • Lieky proti bolesti • Prispôbenie, dávkovacieho režimu a/alebo spôsobu podania • Fyzikálna liečba, vitamín a iné doplnky 	O príznakoch sa poraďte s poskytovateľmi zdravotnej starostlivosti. Skorý zásah môže zabrániť permanentnému poškodeniu a umožniť pokračovanie liečby. Dávkovanie si neprispôbujte sami. Neužívajte doplnky bez konzultácie s lekárom.
Vedľajšie účinky steroidov	<ul style="list-style-type: none"> • Užívajte ich spolu s jedlom skoro ráno • Sledujte príznaky a symptómy infekcie, ako aj zmeny hladiny cukru v krvi • Lieky na prevenciu pásového oparu a kvasinkovej infekcie 	Vedľajšie účinky a symptómy nahláste poskytovateľom zdravotnej starostlivosti. Neprestávajte užívať lieky ani nemeňte ich dávkovanie na základe vlastného rozhodnutia.

Letáky s informáciami pre pacientov o prevencii vzniku krvných zrazenín a tromboembolických príhod, zvládání vedľajších účinkov spojených s užívaním steroidov, zvládání myelosupresie, prevencii periférnej neuropatie a zvládání gastrointestinálnych vedľajších účinkov sú dostupné od IMF. Ak si ich želáte objednať, kontaktujte IMF alebo navštívte našu webovú stránku na adrese myeloma.org

Keďže ide o zriedkavé ochorenie, existuje len obmedzený počet lekárov a centier špecializujúcich sa na myelóm. Je veľmi bežné, že pacienti s myelómom sa snažia získať názor nezávislého odborníka z výskumného centra, zatiaľ čo sa aj naďalej spoliehajú na miestneho odosielajúceho lekára, ktorý im podáva a sleduje ich liečbu.

Správne rozhodnutia o liečbe vyžadujú informovanosť, premyslené kladenie otázok, riadne zamyslenie a odvahu. No predovšetkým vyžadujú, aby pacient a tí, ktorí ho podporujú, vzali proces liečby takisto do vlastných rúk. Keďže neexistuje známy liek, pretože neexistujú žiadne záruky, pretože každý človek je iný, konečné rozhodnutie závisí od preferencií a priorit pacienta.

Pojmy a definície

Akútny: náhly nástup príznakov alebo ochorenia.

Albumín: Jednoduchý vodorozpustný proteín nachádzajúci sa v krvnom sére a tkanivách mnohých zvierat a rastlín.

Alkylačná látka: Chemoterapeutický liek ako je melfalan alebo cyklofosamid. Alkylácia označuje spôsob, ktorým sa tieto látky viažu na deoxyribonukleovú kyselinu myelómových buniek a blokujú ich delenie.

Alogénny: Pozri „transplantácia.“

Amyloidóza: Stav v ktorom sa ľahké reťazce myelómu (Bence Jonesov proteín) ukladajú v tkanivách a orgánoch celého tela. Častejšie k tomu dochádza v prípade lambda než kappa Bence Jonesových proteínov. U pacientov s amyloidózou sa proteíny s ľahkými reťazcami viažu na určité tkanivá, ako je srdce, nervy a obličky a nevylučujú sa z tela obličkami.

Analgetikum: Akýkoľvek liek, ktorý uľaví od bolesti. Aspirín a acetaminofén sú mierne analgetiká.

Analóg: Chemická zlúčenina štruktúrou podobná na inú zlúčeninu, od ktorej sa mierne líši zložením.

Anémia: Pokles hladiny hemoglobínu, zvyčajne pod 10 g/dl, pričom normálna hladina je 13-14 g/dl. Myelóm v kostnej dreni blokuje tvorbu červených krviniek a spôsobuje dýchavičnosť, slabosť a únavu.

Anestézia: Strata citu alebo vedomia. Lokálna anestézia spôsobuje stratu citu v časti tela. Celková anestézia človeka uspi.

Angiogenéza: Tvorba krvných ciev, ktoré zvyčajne prevádzka rast malígnych tkanív, vrátane myelómu.

Antibiotiká: Lieky používané na liečbu infekcie.

Antiemetikum: Liek, ktorý zabraňuje alebo zmierňuje nevoľnosť a vracanie.

Antigén: Akákoľvek cudzorodá látka (ako je baktéria, vírus, toxín alebo nádor), ktorá po vniknutí do tela alebo vytvorení sa v tele spôsobí, že imunitný systém začne vytvárať prirodzené protilátky.

Antimykotikum: Liek používaný na liečbu hubovej infekcie.

Antineoplastikum: Liek ktorý zabraňuje, zabíja alebo blokuje rast a šírenie rakovinových buniek.

Apendikulárny skelet: Dlhé kosti (napr. rúk a nôh) pripojené k chrbtici, hrudníku a panve.

Apoptóza: Bežný bunkový proces zahŕňajúci geneticky naprogramované kroky vedúce k bunkovej smrti.

Aspirácia kostnej drene: Odobratie vzorky tekutiny a buniek z kostnej drene ihlou na vyšetrenie pod mikroskopom.

Aspirácia: Proces odobratia tekutiny alebo tkaniva či oboch, zo špecifickej oblasti.

Asymptomatický myelóm: Myelóm, ktorý nevykazuje príznaky alebo symptómy ochorenia. Nazýva sa tiež indolentný, tlejúci alebo raný myelóm.

Axiálny skelet: Lebka, chrbtica a panvová oblasť kostry.

B bunky: Biele krvinky, z ktorých sa vyvinú plazmatické bunky v kostnej dreni a sú zdrojom protilátok. Známe tiež ako B lymfocyty.

Bazofil: Typ bielej krvinky. Bazofily sú granulocyty.

Bence Jonesov proteín: myelómový monoklonálny proteín prítomný v moči. Množstvo Bence Jonesov proteínu sa vyjadruje v gramoch za 24 hodín. Za bežných podmienok veľmi malé množstvo proteínu (< 0,1 g/24 h) môže byť prítomné v moči, ale je to skôr albumín než Bence Jonesov proteín. Prítomnosť akéhokoľvek množstva Bence Jonesovho proteínu je abnormálna.

Benígny: nezhubný, nepreniká do okolitých tkanív alebo nešíri sa do iných častí tela. MGUS je benigne ochorenie.

Beta 2 mikroglobulín (β2M): Napatrný proteín prítomný v krvi. Vysoké hladiny sa objavujú u pacientov s aktívnym myelómom. Nízke alebo normálne hladiny a objavujú u pacientov s raným myelómom a/alebo neaktívnym ochorením. Približne 10% pacientov má myelóm, ktorý neprodukuje β2M. V čase recidívy sa hladina β2M môže zvýšiť predtým,

než sa objavia zmeny hladiny myelómového proteínu. Faktory, ako je vírusová infekcia, môžu niekedy spôsobiť zvýšené hladiny $\beta 2M$ v sére.

Biele krvinky: Všeobecný pojem označujúci rôzne bunky, zodpovedné za boj s prenikajúcimi baktériami, infekciou a alergénmi. Tieto bunky sa začínajú vyvíjať v kostnej dreni a dostávajú sa do ostatných častí tela. Špecifické biele krvinky zahŕňajú neutrofile, granulocyty, lymfocyty a monocyty.

Biopsia kostnej drene: Odobratie vzorky tkaniva z kostnej drene ihlou, aby sa zistilo, či sú rakovinové. Ak sa zistí prítomnosť rakovinových plazmatických buniek, patológ odhadne, koľko kostnej drene je postihnutej. Biopsia kostnej drene sa zvyčajne vykonáva spolu s aspiráciou kostnej drene.

Biopsia: Odobratie vzorky tkaniva na mikroskopické vyšetrenie a uľahčenie stanovenia diagnózy.

Bisfosfonát: Typ lieku, ktorý sa viaže na povrch kosti, kde dochádza k jeho vstrebaniu (alebo zničeniu) a chráni kosť pred účinkom osteoklastu.

BUN – Blood Urea Nitrogen – hladina močoviny/urey v krvi: meranie hladiny močoviny v krvi. Močovina sa vylučuje obličkami. BUN je laboratórny krvný test na zhodnotenie toho, ako dobre obličky fungujú. Ochorenia, ako je myelóm, ktoré často poškodzujú fungovanie obličiek, vedú rýchlo k zvýšeniu hladiny močoviny v krvi.

Bunka: Základná jednotka každého živého organizmu.

Bunková diferenciácia: Proces, počas ktorého mladé nezrelé (nešpecializované) bunky naberajú individuálne charakteristiky a preberajú svoju zreľú (špecializovanú) formu a funkciu.

Bunková proliferácia: zvyšovanie počtu buniek v dôsledku ich rastu a delenia.

CAT alebo CT: Test, ktorý pomocou röntgenového vyšetrenia vytvorí trojdimenzionálny obraz orgánov a štruktúr vo vnútri tela, používaný na zisťovanie malých oblastí poškodenia kostí alebo postihnutia mäkkých tkanív.

Cysta: nahromadenie tekutiny alebo polotuhého materiálu v puzdre.

Cytokín: Látka vylučovaná bunkami imunitného systému, ktorá stimuluje rast/aktivitu určitého typu bunky. Cytokíny sa tvoria lokálne (napr. v kostnej dreni) a cirkulujú v krvnom obehu.

Červené krvinky (erytrocyty): Bunky v krvi, ktoré obsahujú hemoglobín a vymieňajú kyslík za oxid

uhličitý vo všetkých častiach tela. Tvorbu červených krviniek stimuluje hormón (erytropoetín) vylučovaný obličkami. Pacienti s myelómom s poškodením obličky nevytvárajú dostatok erytropoetínu a môžu začať trpieť anémiou. Pomôcť im môžu injekcie syntetického erytropoetínu. Ďalšou alternatívou je transfúzia krvi, obzvlášť v akútnych prípadoch. Syntetický erytropoetín predstavuje podpornú terapiu využívanú počas liečby myelómu, pomocou ktorej sa predchádza anémii.

DEX (duálna fotónová röntgenová absorpciometria): Meranie množstva úbytku kosti; najlepšie meranie hustoty kostí.

Dexametazón: Silný kortikosteroid podávaný samostatne alebo spolu s inými liekmi.

Diagnóza: Proces identifikácie ochorenia podľa jeho príznakov a symptómov.

Dialýza: Ak obličky pacienta už nie sú schopné filtrovať krv, krv sa čistí pomocou dialyzačného prístroja.

DLT (dávku limitujúca toxicita): Vedľajšie účinky, ktoré sú dostatočne závažné na to, aby sa nepokračovalo v liečbe.

DNA: Základ dedičnosti; veľká molekula, ktorá nesie genetické informácie, ktoré bunky potrebujú na replikáciu a tvorbu proteínov.

Edém: Opuch, abnormálne nahromadenie tekutiny v určitej časti tela.

Elektroforéza: Laboratórne testy, pri ktorých sú molekuly séra (krvi) alebo moču pacienta podrobené separácii podľa ich veľkosti a elektrického náboja. U pacientov s myelómom elektroforéza krvi alebo moču umožňuje výpočet množstva myelómového proteínu (M-proteín), ako aj identifikáciu špecifického M-výbežku charakteristického pre každého pacienta. Elektroforéza sa využíva ako nástroj diagnózy a zároveň ďalšieho sledovania.

Enzym: Látka, ktorá ovplyvňuje mieru, pri ktorej sa v tele odohrávajú chemické zmeny.

Erytrocyty: Červené krvinky, ktoré vpravujú do tela bunky kyslík a z bunky transportujú smerom von oxid uhličitý.

Erytropoetín: Hormón tvorený v obličkách. Pacienti s myelómom s poškodením obličiek nevytvárajú dostatočné množstvo erytropoetínu a môžu trpieť anémiou. Pomôcť im môžu injekcie syntetického erytropoetínu. Ďalšou alternatívou je transfúzia krvi, obzvlášť v prípadoch núdze. Syntetický erytropoetín sa využíva ako podporná liečba počas liečby myelómu, s cieľom zabrániť anémii.

Gén: Špecifická sekvencia deoxyribonukleovej kyseliny alebo ribonukleovej kyseliny; biologická jednotka dedičnosti umiestnená na špecifickom mieste chromozómu, ktorá sa nachádza vo všetkých bunkách tela. Ak gény chýbajú alebo sú poškodené, môže sa objaviť nádorové ochorenie.

Genetický: Dedičný, obsahujúci informácie, ktoré sa prenášajú z rodičov na deti prostredníctvom deoxyribonukleovej kyseliny a v génoch.

Génová terapia: Liečba, pomocou ktorej sa menia gény. Využívanie génov na stimuláciu imunitného systému. Pri štúdiách génovej terapie rakoviny sa výskumníci snažia zlepšiť prirodzenú schopnosť tela bojovať s ochorením a dosiahnuť, aby sa nádor stal citlivejším na iné druhy liečby. Liečba sa zameriava na nahrádzanie poškodených alebo chýbajúcich génov ich zdravými kópiami.

Granulocyt: Typ bielej krvinky, ktorá zabíja baktérie. Neutrofil, eozinofil a bazofil sú vlastne granulocyty.

GVHD – (Graft-versus-host disease – reakcia štepu proti hostiteľovi): Ochorenie spôsobené reakciou príjemcu na transplantát: reakcia príjemcových vlastných tkanív na darovanú kostnú dreň.

Hematokrit: Percento červených krviniek krvi. Nízky hematokrit poukazuje na anémiu.

Hematológ: Lekár, ktorý sa špecializuje na problémy krvi a kostnej drene.

Hematologický: Pochádzajúci z krvi, alebo rozširovaný cirkuláciou alebo krvným obehom.

Hemoglobín: Proteín v červených krvinkách, ktorý prenáša kyslík v krvi.

Herpes simplex: Bežný vírus, ktorý spôsobuje pluzgierky v okolí úst. Nazýva sa tiež opar.

Herpes zoster: Vírus, ktorý sa usadí v okolí určitých nervov pacientov, ktorí predtým prekonali ovčie kiahne (varicella), ktorý vyvoláva tvorbu pluzgierov, opuch a bolesť. Nazýva sa tiež pásový opar.

Hormóny: Chemikálie produkované v rôznych žľazách tela, ktoré regulujú aktivitu určitých buniek alebo orgánov.

Hyperkalciémia: Vyššia než normálna hladina vápnika v krvi. Tento stav môže vyvolať množstvo symptómov, vrátane nechutenstva, nauzey, smädu, únavy, svalovej slabosti, nepokoja a zmätku. U pacientov s myelómom sa zvyčajne pri deštrukcii kostí vápnik uvoľňuje do krvného obehu. Často sa spája so zníženou funkciou obličiek, keďže vápnik

môže byť pre obličky toxický. Z tohto dôvodu sa hyperkalciémia lieči okamžite formou do žily podávaných roztokov v spojení s liekmi na zastavenie deštrukcie kostí popri priamej liečbe myelómu.

Chemoterapia: Liečba rakoviny liekmi, ktoré zabíjajú všetky rýchlo sa deliace bunky.

- *kombinovaná chemoterapia* – použitie viac než jedného lieku v rámci jednej chemoterapeutickej liečby rakoviny.

Chromozóm: Zväzok deoxyribonukleovej kyseliny a proteínov v jadre bunky. Chromozómy nesú gény a podieľajú sa na prenose genetickej informácie. Za bežných okolností ľudské bunky obsahujú 46 chromozómov.

Chronický: pretrvávajúci počas dlhého časového obdobia.

IgD, IgE: Dva typy myelómu, ktoré sa objavujú menej často.

IgG, IgA: Dva najbežnejšie typy myelómu. Písmená G a A označujú typ proteínu vytváraného myelómovými bunkami. Myelómový proteín, ktorý je imunoglobulín, pozostáva z dvoch ťažkých reťazcov, (napríklad typ G) v spojení s dvoma ľahkými reťazcami, ktoré sú buď kappa alebo lambda. Preto majú dva najbežnejšie podtypy myelómu identické ťažké reťazce (napr. IgG kappa a IgG lambda). Pojmy ťažký a ľahký označujú veľkosť alebo molekulovú hmotnosť proteínu, pričom sú ťažké reťazce väčšie než ľahké reťazce. Keďže sú ľahké reťazce menšie, skôr sa dostanú do moču, v dôsledku čoho sa v moči nachádza Bence Jonesov proteín.

IgM: Zvyčajne sa spája s Waldenströmovou makroglobulinémiou. V zriedkavých prípadoch to môže byť typ myelómu.

Imunitný systém: Komplexná skupina orgánov a buniek zodpovedajúca za to, že protilátky bránia telo voči cudzorodým látkam, ako sú baktérie, vírusy, toxíny a rakovina.

Imunodeficiencia: Znížená schopnosť tela brániť sa infekcii a ochoreniu.

Imunofixácia: Imunologický test séra alebo moču používaný na identifikáciu proteínov v krvi. U pacientov s myelómom lekárom umožňuje identifikovať typ M-proteínu (IgG, IgA, kappa alebo lambda). Najcitlivejšia rutinná technika farbenia, ktorá presne identifikuje ťažké a ľahké reťazce typ M-proteínu.

Imunoglobulín (Ig): Proteín vytváraný plazmatickými bunkami; nevyhnutná časť imunitného

systemu organizmu. Imunoglobulíny sa viažu na cudzorodé látky (antigény) a pomáhajú ich ničiť. Triedy imunoglobulínov sú IgA, IgG, IgM, IgD, a IgE.

Imunosupresia: Oslabenie imunitného systému, ktoré má za následok zníženie schopnosti bojovať s infekciou a chorobou. Imunosupresia môže byť umelo vyvolaná, ako je tomu v prípade transplantácie kostnej drene, kedy sa zabráni odmietnutiu tkanív darcu príjemcom, alebo vyvolaná ako vedľajší účinok chemoterapie pri liečbe rakoviny.

Imunoterapia: Liečba, ktorá stimuluje prirodzenú schopnosť tela bojovať s nádorovým ochorením. Známa tiež pod názvom biologická liečba.

Incidenca ochorenia: Počet novodiagnostikovaných prípadov ochorenia každý rok.

Indukčná liečba: Počiatková liečba využívaná v snahe dosiahnuť remisiu u pacientov s novo diagnostikovaným myelómom.

Informovaný súhlas: Proces, pri ktorom sa vyžaduje, aby lekár podal pacientovi dostatok informácií o navrhovanom postupe, aby sa pacient mohol informovane rozhodnúť, či podstúpi alebo nepodstúpi liečbu. Okrem toho, že vysvetlí všetky postupy, je lekár povinný venovať sa aj všetkým rizikám, prínosom, alternatívam a potenciálnym nákladom.

Infúzia: Podávanie tekutín alebo liekov do krvného obehu za určitý čas.

Infúzna pumpa: Prístroj, ktorým sa podáva odmerané množstvo tekutín alebo liekov do krvného obehu za určitý čas.

Inhibovať: Zastaviť niečo, brániť niečomu.

Injekcia: Vpravenie lieku do tela pomocou striekačky a ihly.

Interferón: Hormón (cytokín) prirodzene vylučovaný telom ako reakcia na infekciu alebo ochorenie, ktorý stimuluje rast určitých krviniek imunitného systému bojujúcich s ochorením. Interferón sa dá vyrobiť umelo pomocou techník génového inžinierstva a používať ako forma imunoterapie, primárne v udržiavacej (plató) fáze na blokovanie rastu myelómu a oddialenie alebo prevenciu recidívy.

Interleukín: Telom prirodzene vylučovaná chemická látka alebo látka používaná v biologickej terapii. Interleukíny stimulujú rast a aktivitu určitých druhov bielych krviniek. Interleukín-2 (IL-2) je typ modifikátora biologickej odozvy, ktorý stimuluje rast určitých krviniek v imunitnom systéme, ktoré môžu bojovať proti niektorým typom rakoviny.

Interleukín-6 (IL-6) je cytokín, ktorý silne stimuluje osteoklast a aktivitu plazmatických buniek.

Inhibitory angiogenézy: Zložky, ktoré majú odstať prívod krvi do nádorov.

Karcinogén: Akákoľvek látka alebo liek, ktorá spôsobuje alebo stimuluje rast rakoviny.

Katéter: Trubička, ktorá sa zavedie do cievy a pomocou ktorej sa do tela podávajú lieky alebo živiny. Centrálny žilový katéter je špeciálna trubička, ktorá sa chirurgicky zavedie do veľkej žily pri srdci a vychádza z hrudníka alebo brucha. Katéter umožňuje podávanie liekov, tekutín alebo krvných produktov a odber vzoriek krvi.

Klinické skúšanie: Výskumná štúdia nových liečebných postupov zahrňujúca pacientov. Každá štúdia je zameraná na nájdenie lepších spôsobov prevencie, detekcie, diagnostikovania a liečby rakoviny a zodpovedanie vedeckých otázok.

- *kontrolná skupina* – rameno randomizovaného klinického skúšania, ktoré dostáva štandardnú liečbu.
- *koncový bod* – to, čo sa klinické skúšanie pokúša zmerať alebo zistiť; cieľ skúšania. Typickým koncovým bodom býva zmeranie toxicity, miera odozvy a prežitie.
- *experimentálna skupina* – rameno randomizovaného klinického skúšania, ktoré dostáva novú liečbu.
- *randomizované klinické skúšanie* – výskumná štúdia, v ktorej je pacientom náhodne pridelovaná určitá liečba.
- *skúšanie fázy I* – skúšanie vytvorené tak, aby stanovilo MTD (maximálnu tolerovanú dávku) nového lieku alebo novej kombinácie liekov, ktorá dovtedy nebola u ľudí podaná. Zvyčajne býva prvým testovaním novej liečby na ľuďoch, aj keď pri skúšaní kombinovanej liečby fázy I jednotlivé zložky už mohli byť riadne otestované. Pacienti v skúšaní fázy I musia trpieť nádorovým ochorením v pokročilom štádiu, ktoré je refraktórne na akúkoľvek štandardnú liečbu. Pri typických skúšaní fázy I dostávajú liečbu po sebe nasledujúce skupiny („kohorty“) pozostávajúce z 3 až 6 pacientov. Všetci pacienti v kohorte dostávajú rovnakú dávku. Prvá kohorta väčšinou dostáva veľmi nízku dávku a dávka sa postupne zvyšuje v každej nasledujúcej kohorte, až kým u stanoveného počtu pacientov nenastane dávku limitujúca toxicita (DLT). Dávka použitá pri predchádzajúcej kohorte sa považuje za maximálnu

tolerovanú dávku. Táto dávka sa neskôr podáva v rámci skúšania fázy II.

- **skúšanie fázy II** – skúšanie zamerané na zistenie miery odozvy na novú terapiu, ktorá už bola otestovaná v rámci skúšania fázy I. Zvyčajne sa liečba podrobuje 14 až 50 pacientov s jedným typom rakoviny, aby sa zistilo, u kolkých z nich nastane odozva. Sú to väčšinou pacienti s nádorovým ochorením v pokročilom štádiu, ktoré nereaguje na žiadnu štandardnú liečbu a na dôvažok musia mať merateľné ochorenie. Ak sú výsledky skúšania fázy II dostatočne slubné, liečbu je možné otestovať v rámci skúšania fázy III. Ak sú výsledky jednoznačne omnoho lepšie než pri štandardnej liečbe, nie je vždy nutné vykonávať skúšanie fázy III, a liečba sa môže stať štandardnou na základe výsledkov skúšania fázy II.
- **skúšanie fázy III** – skúšanie zamerané na porovnanie dvoch alebo viacerých typov liečby pre daný typ a štádium rakoviny. Koncovým bodom skúšania fázy III zvyčajne býva prežitie alebo prežitie bez ochorenia. Skúšania fázy III sú zvyčajne randomizované, takže si pacienti nemôžu vybrať, ktorý typ liečby budú dostávať. Typické skúšanie fázy III zvyčajne zahŕňa 50 až tisíc pacientov. Niektoré skúšania fázy III majú za cieľ porovnať novú liečbu, ktorá dosiahla priaznivé výsledky počas skúšania fázy II so staršou, dobre známou štandardnou liečbou. Iné skúšania fázy III majú za cieľ porovnať liečby, ktoré sa už bežne využívajú. Niektoré liečby zo skúšania fázy III môžu byť dostupné nad rámec klinického skúšania.

Klinický: Zahŕňajúci priame pozorovanie pacienta.

Kmeňové bunky: Nezrelé bunky, z ktorých sa vyvinú všetky krvinky. Z normálnych kmeňových buniek vznikajú zložky normálnej krvi, vrátane červených krviniek, bielych krviniek a krvných doštičiek. Kmeňové bunky sa za bežných podmienok nachádzajú v kostnej dreni a môžu byť odobraté pre potreby transplantácie.

Kompletné vyšetrenie skeletu (metastatické vyšetrenie): Viacero röntgenových vyšetrení lebky, chrbtice, rebier, panvy a dlhých kostí zameraných na odhalenie lytických lézií a/alebo osteoporózy.

Kostná dreň: Mäkké porézne tkanivo v strede kosti, kde sa tvoria biele krvinky, červené krvinky a krvné doštičky.

Kreatinín: malá chemická zlúčenina, ktorá sa za bežných podmienok vylučuje obličkami. Ak sú obličky poškodené, hladina kreatinínu v sére sa zvyšuje, dôsledkom čoho je zvýšená hladina kreatinínu

v sére. Test zameraný na zistenie zvýšenej hladiny kreatinínu v sére zisťuje fungovanie obličiek.

Krvinky: Nepatrné štruktúry vznikajúce v kostnej dreni; ktoré zahŕňajú červené krvinky, biele krvinky a krvné doštičky.

Krvná doštička: Jedna z troch základných zložiek krvi, pričom ďalšími dvoma sú červené krvinky a biele krvinky. Krvné doštičky reparujú malé poranenia krvných ciev a uvoľňujú látky, ktoré stimulujú tvorbu krvných zrazenín. Krvné doštičky sú hlavnou ochranou proti vykrvácaniu. Nazývajú sa tiež trombocyty.

Krvný obraz: Počet červených krviniek, bielych krviniek a krvných doštičiek vo vzorke krvi.

LDH: Laktátdehydrogenáza je enzým, ktorý je možné použiť na monitorovanie aktivity myelómu.

Leukocyty: Bunky, ktoré telu pomáhajú bojovať s infekciou a ochorením. Nazývajú sa tiež biele krvinky.

Leukopénia: Nízky počet bielych krviniek.

Lézia: Oblasť abnormálnych zmien tkaniva, hrčka alebo absces spôsobený poranením alebo ochorením, ako je rakovina. Pri myelóme označuje slovo „lézia“ plazmocytóm alebo diery v kosti.

Lieková rezistencia: Výsledok schopnosti bunky odolávať účinkom špecifického lieku.

Lymfocyty: Biele krvinky, ktoré bojujú s infekciou a ochorením.

Lytické lézie: Poškodené oblasti na kosti, ktoré sa objavujú ako tmavé miesta na röntgene, keďže už došlo k značnému úbytku zdravej kosti v jednej oblasti. Lytické lézie vyzerajú ako diery v kosti a sú dôkazom jej oslabenia.

Malígny: Rakovinový; schopný prenikať do okolitých tkanív a šíriť sa do ostatných častí tela.

Maximálna tolerovaná dávka – MTD: Najvyššia dávka liečby, ktorú väčšina ľudí môže bezpečne užiť.

Melanóm: Rakovina pigmentových buniek pokožky alebo sietnice oka. Napriek podobne znejúcemu názvu nemá žiadnu súvislosť s myelómom.

Metastázovať: Šíriť sa z jednej časti tela do druhej. Keď rakovinové bunky metastázujú a vytvárajú sekundárne nádory, bunky v metastázujúcom nádore sú rovnaké ako v pôvodnom (primárnom) nádore. Tento pojem sa bežne používa na opis procesu ochorenia pri tuhých nádoroch (napr. prsníka, prostaty) a nie pri myelóme, čo je rakovina krvi.

MGUS (monoklonálna gamapatia nejasného významu): Benigne ochorenie, pri ktorom je M proteín prítomný, bez vypuknutia ochorenia.

Mnohopočetná lieková rezistencia: Rezistencia na štandardnú liečbu, bežne spájaná s rezistenciou na chemoterapeutiká adriamycín a vinkristín. Rezistencia je spôsobená nahromadením p-glykoproteínu vo vonkajšej bunkovej membráne myelómovej bunky. Dôsledkom toho sa lieky dostávajú von z myelómovej bunky namiesto toho, aby sa v nej hromadili a nakoniec ju zabili.

Molekula: Najmenšia časť látky, ktorá si zachováva všetky vlastnosti látky a skladá sa z jedného či viacerých atómov.

Monocyt: Typ bielej krvinky.

Monoklonálne protilátky: Umelo vyrábané protilátky špecificky určené na to, aby našli a naviazali sa na rakovinové bunky pre diagnostické alebo liečebné účely. Môžu sa využívať samostatne alebo sa pomocou nich môžu dopraviť lieky, toxíny, alebo rádioaktívny materiál priamo do nádorovej bunky.

Monoklonálny: Klon alebo duplikát jednej bunky. Myelóm sa vyvinie z jednej malígnej plazmatickej bunky (monoklonu). Typ produkovaného myelómoveho proteínu je tiež monoklonálny – má skôr jednu než viacero foriem (polyklonov). Dôležitým praktickým aspektom monoklonálneho proteínu je skutočnosť, že vyčnieva ako ostrý hrot (M-výbežok) pri elektroforéze séra.

M-proteíny (M-výbežok): Protilátky alebo časti protilátok prítomné v nezvyčajne veľkých množstvách v krvi alebo moči u pacientov s mnohopočetným myelómom. M-výbežok označuje ostrý tvar, ktorý sa objavuje pri elektroforéze bielkovín za prítomnosti M-proteínu. Synonymom je monoklonálny proteín a myelómový proteín. (pozri „monoklonálny“)

MRI (zobrazovanie pomocou magnetickej rezonancie): Diagnostický test využívajúci magnetickú energiu namiesto röntgenovej energie na vytvorenie detailného dvoj- alebo trojrozmerného zobrazenia orgánov a štruktúr vo vnútri tela. Umožňuje veľmi jemné rozlíšenie mäkkých tkanív, obzvlášť pri zásahoch do miechy, ale je menej presný pri kostných léziách.

Myelodysplastický syndróm: Stav, pri ktorom kostná dreň nefunguje ako za bežných podmienok a nevytvára dostatočné množstvo krviniek. Tento stav môže prerásť do akútnej leukémie.

Myeloidný: Týkajúci sa myelocyty, typu bielej krvinky. Mnohopočetný myelóm je nádorové ochorenie nemyeloidného typu.

Myelosupresia: Pokles v produkcii červených krviniek, krvných doštičiek a niektorých bielych krviniek v kostnej dreni.

Nábor: Proces zaraďovania pacientov do klinickej výskumnej štúdie (skúšania) alebo počet pacientov už zaradených do skúšania alebo očakávaný počet pacientov zaradených do skúšania.

Nádor: Abnormálna masa tkaniva, ktorá je výsledkom nadmerného bunkového delenia. Nádory nemajú v tele žiadnu užitočnú funkciu. Nádory môžu byť malígne alebo benígne.

Nádorový marker: Látka v krvi alebo inej telesnej tekutine, ktorá môže naznačovať, že osoba trpí nádorovým ochorením.

Neoplázia: Abnormálna novotvorba buniek.

Neoplazmus: Rast nového tkaniva alebo bunky; nádor môže byť benígny alebo malígny.

Neutrofil: Typ bielej krvinky potrebnej na boj s bakteriálnou infekciou.

Neutropénia: Znížená hladina neutrofilov. Cytotoxická chemoterapia zvykne neutropéniu vyvolať. Naopak, lymfocyty, ktoré sú pri vírusovej infekcii dôležitejšie, nezvyknú byť ovplyvnené cytotoxicou liečbou. Neutropénií je možné predísť alebo ju zmierniť použitím syntetického hormónu s názvom G-CSF (napr. Neupogen).

Onkogén: Gén alebo sekvencia deoxyribonukleovej kyseliny, ktorá za bežných podmienok riadi rast bunky, ale ktorá môže tiež podporiť alebo umožniť nekontrolovaný rast rakoviny, ako poškodenie (mutáciu) po vystavení karcinogénom alebo v prípade, že je poškodený alebo chýba v dôsledku dedičného efektu. Tento gén má potenciál spôsobiť, že sa z normálnej bunky stane rakovinová.

Onkológ: Lekár, ktorý sa špecializuje na liečbu rakoviny. Niektorí onkológovia sa špecializujú na liečbu určitého typu rakoviny.

Osteoblast: Bunka tvoriaca osteoid, ktorý mineralizuje s vápnikom a tvorí novú tvrdú kosť.

Osteoid: Produkt proteínu, ktorý sa mineralizuje s vápnikom a tvorí novú tvrdú kosť.

Osteoklast: Bunka, ktorá sa nachádza v kostnej dreni na spojive medzi kostnou dreňou a kosťou, kde dochádza k úbytku alebo zlomenine starej kosti. V myelóme dochádza k nadmernej stimulácii osteo-

klastov, zatiaľ čo aktivita osteoblastov je blokovaná. Kombinácia zrýchleného úbytku kostí a blokovanej tvorby novej kosti má za následok vznik lytickej lézie.

Osteonekróza čeluste: V minulosti zriedkavý problém s čelustou, v súčasnosti sa pozoruje u malého percenta pacientov liečených bisfosfonátmi. Ochorenie spôsobuje bolesť, opuch a poškodenie kostí v okolí zubných lôžok v čelusti. Dochádza k nekróze alebo úbytku kostí, ktorý môže viesť až k strate zubov, odhaleniu ostrých hrán a kostných výčnelkov či olamovaniu malých ostrých úlomkov alebo odumretej kosti. Prípad je definovaný viac než ≥ 3 mesiace sa nehojacou sa odhalenou kosťou. Symptómy nemusia byť spočiatku pozorovateľné alebo môžu zahŕňať bolesť, opuch, necitlivosť alebo pocit „ťažkej čeluste“ či uvoľňovanie zuba.

Osteoporóza: Znížená hustota kostí sa väčšinou spája s vysokým vekom. Difúzne postihnutie kosti myelómom sa na röntgenovom snímku a pri meraní hustoty kostí zobrazí ako stav podobný osteoporóze.

Pásový opar: pozri „Herpes zoster.“

Paliatívna liečba: Zameraná na zlepšenie kvality života zmiernením bolesti a symptómov ochorenia, ktorá však nemení jeho priebeh.

Patológia: Štúdium ochorenia formou vyšetrenia tkanív a telesných tekutín skúmaním pod mikroskopom. Lekár, ktorý sa špecializuje na patológiu, sa nazýva patológ.

Patologická zlomenina: Zlomenie kosti zvyčajne spôsobené nádorovým ochorením alebo iným ochorením. Ohrozené sú kosti oslabené myelómom, a to pri normálnom i zvýšenom zaťažení.

PET (pozitronová emisná tomografia): Diagnostický test, ktorý využíva sofistikovanú kameru a počítač na vytvorenie obrazu tela. Pozitronová emisná tomografia zobrazí rozdiel medzi zdravými a abnormálne fungujúcimi tkanivami.

Placebo: Inertná (neaktívna) látka často využívaná v rámci klinických skúšaní na porovnanie s experimentálnym liekom.

Plazma: Tekutá zložka krvi, v ktorej sa nachádzajú červené krvinky, biele krvinky a krvné doštičky.

Plazmaferéza: Proces odstraňovania proteínov z krvi. Plazmaferéza sa môže využiť na odstránenie vysokých hladín monoklonálneho myelómového proteínu z krvi pacientov s mnohopočetným myelómom.

Plazmatické bunky: Špeciálne biele krvinky, ktoré vytvárajú protilátky. Maligné bunky myelómu.

Normálne plazmatické bunky vytvárajú protilátky na boj s infekciou. Pri myelóme maligne plazmatické bunky vytvárajú veľké množstvá abnormálnych protilátok, ktorým chýba schopnosť bojovať s infekciou. Abnormálne protilátky sú monoklonálne proteíny alebo M-proteíny. Plazmatické bunky tiež vytvárajú iné chemikálie, ktoré môžu spôsobiť poškodenie orgánov a tkanív (napr. anémiu, poškodenie obličiek a poškodenie nervov).

Plazmocytóm: Zhluk plazmatických buniek na jednom mieste, miesto ich difúzneho rozptylu v kostnej dreni, mäkkých tkanivách alebo kostiach.

Podporná starostlivosť: Liečba podávaná na prevenciu, kontrolu a zmiernenie komplikácií a vedľajších účinkov a zlepšenie komfortu a kvality života pacienta.

Port (implantovaný): Katéter pripojený na disk veľkosti mince, chirurgicky zavedený pod kožu na hrudníku alebo bruchu. Katéter je zavedený do veľkej žily alebo cievy priamo do krvného obehu. Je ním možné podávať tekutiny, lieky alebo krvné produkty a krv je možné odoberať cez ihlu zapojenú do disku.

Pred-rakovinový: pojem používaný na opis stavu, ktorý môže alebo pravdepodobne prerásť do rakoviny.

Prežitie bez ochorenia: Časové obdobie, ktoré pacient prežije bez zistiteľného nádorového ochorenia.

Prežitie bez progresie: Obdobie, počas ktorého pacient bez vývoja a nádorové ochorenie sa nezhoršuje. Zlepšené prežitie pacienta, ktoré sa dá priamo pripísať podávanej liečbe myelómu. Tento pojem identifikuje pacientov s myelómom, ktorí sú v úplnej remisii oproti tým, ktorí zažili epizódu recidívy alebo progresie.

Prognóza: Predpokladaný výsledok alebo priebeh ochorenia; šanca na uzdravenie; očakávaná dĺžka života.

Progresívne ochorenie: Ochorenie, ktoré sa zhoršuje, čo je zdokumentované testami.

Protilátka: Proteín tvorený určitými bielymi krvinkami (plazmatickými bunkami) na boj s infekciou a ochorením vo forme antigénov, ako sú baktérie, vírusy, toxíny, alebo nádory. Každá protilátka sa môže viazať len na špecifický antigén. Cieľom tejto väzby je pomôcť antigén zničiť. Protilátky môžu pôsobiť rôznymi spôsobmi, v závislosti od povahy antigénu. Niektoré protilátky antigény zneškodnia priamo. Iné spôsobia, že sú antigény zraniteľnejšie a ľahko ich zničia ostatné biele krvinky.

Protokol: Detailný plán liečby vrátane dávkovania podávaných liekov.

Rakovina: Názov ochorenia, pri ktorom sa malígne bunky nekontrolovateľne množia. Rakovinové bunky môžu napadnúť okolité tkanivá a šíriť sa krvným obehom a lymfatickým systémom do iných častí tela.

Remodelácia kostí: Normálny stav (párovanie) medzi osteoklastmi (ktoré kosť odbúrávajú alebo ničia) a osteoblastmi (ktoré tvoria maticu novej kosti) na zachovanie normálneho pomeru medzi tvorbou a deštrukciou kostného tkaniva.

Rádiológ: Lekár, ktorý sa špecializuje na získavanie a výklad zobrazení oblastí vo vnútri tela. Zobrazenia sú tvorené pomocou röntgenových lúčov, zvukových vln, magnetického poľa alebo iného typu energie.

Rádioterapia: Liečba pomocou röntgenových lúčov, gama-lúčov alebo elektrónov zameraná na poškodenie alebo usmrtenie malígnych buniek. Radiácia môže mať zdroj mimo tela (externá radiácia), alebo môže byť jej zdrojom rádioaktívny materiál umiestnený priamo v nádore (implantačná radiácia).

Recidíva: Znovuobjavenie príznakov a symptómov ochorenia po prechodnom období zlepšenia.

Refraktórne ochorenie: Ochorenie, ktoré nereaguje na štandardnú liečbu.

Regresia: Pozastavenie rastu rakoviny.

Rekurencia: Prepuknutie ochorenia po období remisie.

Remisia alebo odozva: Úplné alebo čiastočné vymiznutie príznakov a symptómov rakoviny. Pojmy remisia a odozva sa zamieňajú.

- *úplná remisia* – absencia myelómového proteínu v sére a/alebo moči potvrdená štandardným testovaním; absencia myelómových buniek v kostnej dreni a/alebo iných oblastiach postihnutých myelómom; klinická remisia a zlepšenie ostatných laboratórnych parametrov na normálnu hodnotu. Úplná remisia neznamená to isté ako vyliečenie.
- *veľmi dobrá čiastočná remisia* – je menej než úplná remisia, kedy sa hladiny myelómového proteínu znížia na $\geq 90\%$, ale nevymiznú.
- *čistočná remisia* – odozva menej výrazná než úplná remisia. V rámci štúdií SWOG predstavovala odozvu $> 50\%$ a $< 75\%$. V ostatných štúdiách predstavovala odozvu $> 50\%$.

Ribonukleová kyselina: Jedna z nukleových kyselín, ktorá sa spája s riadením chemických aktivít bunky. Ribonukleová kyselina je jednou z dvoch nukleových kyselín, ktoré sa nachádzajú v každej bunke – druhou je deoxyribonukleová kyselina. Ribonukleová kyselina prenáša genetické informácie z deoxyribonukleovej kyseliny do proteínov produkovaných bunkou.

Röntgen: Vysokoenergetické elektromagnetické žiarenie využívané v nízkych dávkach na diagnostikovanie ochorenia a vo vysokých dávkach na liečbu nádorových ochorení.

Sérový osteokalcín: Proteín produkovaný a vylučovaný osteoblastmi počas formovania osteoidu. Jeho nízka hladina poukazuje na aktívny myelóm. Hladiny nad normál poukazujú skôr na stabilný myelóm.

Stabilné ochorenie: Pojem opisuje stav pacientov, u ktorých nastala určitá odozva na liečbu, ale $s < 50\%$ znížením hladiny myelómového proteínu. Stabilizácia ochorenia nie je zlým ani horším než optimálnym výsledkom (napríklad v porovnaní s úplnou alebo čiastočnou remisiou) za predpokladu, že došlo k stabilizácii myelómu a nedochádza k progresii. V prípade pomalého myelómu môže stabilizácia trvať mnoho rokov.

Stanovenie štádia: Vykonávanie testov na zistenie rozsahu rakoviny v tele.

Steroid: Typ hormónu. Steroidy sa často podávajú pacientom spolu s jedným alebo viacerými protirakovinovými liekmi a zdá sa, že pomáhajú kontrolovať účinky ochorenia na organizmus.

Systémová liečba: Liečba využívajúca látky šírené krvným obehom, ktoré takto zasahujú a ovplyvňujú rakovinové bunky v celom tele.

Štádium: Rozsah postihnutia tela nádorovým ochorením.

Test na ľudský leukocytový antigén (HLA): Krvný test využívaný na nájdenie vhodného darcu a príjemcu krvi alebo kostnej drene pre potreby transfúzie či transplantácie.

TNF (tumor necrosis factor – faktor nádorovej nekrózy): Typ modifikátora biologickej odozvy, ktorý dokáže zlepšiť prirodzenú reakciu tela na ochorenie.

Toxíny: Jedy vylučované určitými zvieratami, rastlinami alebo baktériami.

Transfúzia: Transfer krvi alebo krvných produktov.

Transplantácia: Existujú rôzne typy transplantácie.

- *transplantácia kostnej drene* – tento pojem opisuje proces odberu kmeňových buniek z kostnej drene a ich podanie pacientovi. V dnešnej dobe sa tento pojem používa zriedkavejšie v prípade myelómu, lebo kmeňové bunky sa odoberajú z periférnej alebo cirkulujúcej krvi.
- *transplantácia kmeňových buniek z periférnej krvi* – lekári odoberú zdravé kmeňové bunky z cirkulujúcej krvi pacienta (nie z kostnej drene) a uchovávajú ich predtým, než sa pacientovi podá vysoko-dávkovaná chemoterapia, ktorá zničí rakovinové bunky. Kmeňové bunky sa potom vrátia pacientovi, kde môžu tvoriť nové krvinky a nahradiť krvinky zničené liečbou.
- *alogénna* – infúzia kostnej drene alebo kmeňových buniek jedného jedinca (darcu) inému jedincovi (prijímateľovi). Pacient dostane kostnú dreň alebo kmeňové bunky od darcu, ktorý s ním je kompatibilný, aj keď nie geneticky identický.
- *autológna* – postup, v rámci ktorého sa kmeňové bunky odoberú z krvi z pacienta a vrátia sa mu po ukončení intenzívnej liečby.
- *transplantácia pri zhode nepríbuzných darcov (Matched unrelated donor transplants – MUDs)* – postup transplantácie kmeňových buniek, pri ktorom sa hľadá pacient a kmeňové bunky tak, aby došlo ku genetickej zhode, pričom sa nevyberá spomedzi členov rodiny. Tento postup sa neodporúča u pacientov s myelómom, pretože sa spája s neakceptovateľne vysokou úmrtnosťou.
- *syngeneická* – darovanie kostnej drene alebo kmeňových buniek medzi identickými dvojčatami.

Trombocytopénia: Nízky počet krvných doštičiek v krvi. Normálna hodnota predstavuje 150 000–250 000. Ak klesne počet krvných doštičiek na menej než 50 000, môžu nastať problémy s krvácaním. Závažné krvácanie sa zvyčajne spája so znížením ich počtu na menej než 10 000.

Trombocyty: pozri „Krvné doštičky.“

Účinnosť: Schopnosť dosiahnuť účinok; pri výskume rakoviny pojem „účinnosť“ označuje, či je liečba účinná.

Udržiavacia liečba: Lieky podávané pacientom v remisii na oddialenie recidívy.

Vakcína: Prípravok zabíjajúci mikroorganizmy, živé oslabené organizmy, alebo živé virulentné organizmy, ktorý sa podáva na vytvorenie alebo umelé zvýšenie imunity voči určitému ochoreniu

Vápnik: Minerál, ktorý sa nachádza najmä v tvrdej časti kostnej matice alebo hydroxyapatite.

Vedľajšie účinky: Problémy spôsobené liekmi užívanými pri liečbe ochorenia. Bežné vedľajšie účinky rakoviny chemoterapiou sú únava, nauzea, vracanie, pokles počtu krviniek, strata vlasov a afty/pluzgieriky v ústach.

Vírus: Malý živý organizmus, ktorý môže infikovať bunky a zmeniť ich funkciu. Infekcia vyvolaná vírusom môže u pacienta spôsobiť rozvinutie symptómov. Vzniknuté ochorenie a symptómy závisia od typu vírusu a typu infikovanej bunky.

Volné ľahké reťazce: Časti monoklonálneho proteínu s ľahkou molekulárnou hmotnosťou, ktorú je možné zmerať pomocou citlivého Freelite testu.

Waldenströмова makroglobulinémia: Zriedkavý typ indolentného lymfómu, ktorý postihuje plazmatické bunky. Tvoria sa tak nadmerné množstvá IgM proteínu. Nie je to typ myelómu.

Medzinárodná nadácia pre myelóm



Medzinárodná nadácia pre myelóm (IMF) bola založená v roku 1990 a je najstaršou charitatívnou organizáciou zaoberajúcou sa liečbou myelómu. Má viac než 230 000 členov v 120 krajinách a pomáha pacientom s myelómom, ich rodinným príslušníkom a lekárskej komunite. Nadácia ponúka množstvo programov v oblasti výskumu, vzdelávania, podpory a právneho poradenstva.

VÝSKUM Nadácia má vo svete vedúce postavenie na poli kolaboratívneho výskumu myelómu. Podporuje laboratórny výskum a od roku 1995 už udelila viac ako 100 grantov najlepším z nových aj uznávaných výskumníkov. Okrem toho združuje celosvetovo uznávaných odborníkov unikátnym a úspešným spôsobom – prostredníctvom Medzinárodnej pracovnej skupiny pre myelóm (IMWG), ktorá publikuje v prestížnych lekárskech odborných časopisoch, stanovuje smerovanie hľadania lieku, vychováva ďalšiu generáciu inovatívnych výskumníkov a zlepšuje kvalitu života pacientov prostredníctvom lepšej starostlivosti.

VZDELÁVANIE Nadácia na celom svete organizuje semináre zamerané na vzdelávanie pacientov a ich rodín a workshopy v zdravotníckych zariadeniach aj v regionálnych komunitách. Na týchto stretnutiach poprední odborníci a výskumníci prednášajú najnovšie informácie o myelóme priamo pacientom s myelómom a ich rodinám. Naša bezplatná knižnica obsahuje viac než 100 publikácií pre pacientov i ošetrovateľov ako aj ďalší zdravotnícky personál, pričom do nej každoročne pribúdajú nové tituly. Publikácie sú dostupné vo viac ako 20 jazykoch.

PODPORA Naša bezplatná linka na čísle 800-452-CURE (2873) zamestnáva koordinátorov, ktorí každoročne zodpovedajú otázky a poskytnú podporu a informácie telefonicky či e-mailom tisícim rodín. IMF udržiava sieť viac ako 150 podporných skupín a ponúka školenia stovkám pacientov, opatrovateľov a sestier, ktoré potom vedú tieto skupiny dobrovoľníkov v rámci svojich komunít.

PRÁVNE PORADENSTVO Naše programy zamerané na právne poradenstvo školia a podporujú postihnutých jednotlivcov a radia im v zdravotných otázkach, ktoré ovplyvňujú komunitu pacientov s myelómom. Na celoštátnej aj federálnej úrovni vedie nadácia dve koalície, ktoré sa zaoberajú pokrývaním výdavkov zo zdravotného poistenia. Vyškolili sme tisíce advokátov, ktorí šíria pozitívny vplyv a každý rok riešia tisíce záležitostí životne dôležitých pre komunitu pacientov s myelómom.

Prečítajte si viac o tom, ako Medzinárodná nadácia pre myelóm pomáha zlepšovať kvalitu života pacientov s myelómom, zatiaľ čo pracuje na jeho prevencii a liečbe.

Kontaktujte nás na čísle 800-452-CURE (2873) alebo navštívte našu stránku myeloma.org

Zlepšujeme životy • Hľadáme liek

Medzinárodná nadácia pre myelóm

12650 Riverside Drive, Suite 206
North Hollywood, C 91607 USA

Telefón:
800-452-CURE (2873)
(US & Canada)

818-487-7455
(celosvetovo)

Fax: 818-487-7454

TheIMF@myeloma.org
myeloma.org



Improving Lives • Finding the Cure