

Coraz częstsze nowotwory, coraz lepsze terapie

Ostatnie dekady przyniosły wzrost zachorowań na nowotwory układu krwiotwórczego i limfatycznego. Dzięki zaawansowanym badaniom i coraz większej wiedzy na temat molekularnego podłoża tych chorób, możliwe jest jednak coraz lepsze ich leczenie. Przykład stanowią nowe leki z grupy inhibitorów JAK, stosowane u chorych na mielofibrozę.

Obecnie w hematologii wyróżnia się ponad 140 różnych nowotworów układu krwiotwórczego i limfatycznego^[1]. Najczęściej występują nowotwory należące do trzech głównych grup: **białaczki**, czyli nowotwory wywodzące się z krwinek białych; **chłoniaki**, czyli nowotwory układu limfatycznego oraz nowotwory wywodzące się z układu chłonnego, a **zlokalizowane w szpiku**^{[1][2]}.

Do rzadkich nowotworów wywodzących się z układu krwiotwórczego zalicza się nowotwory mieloproliferacyjne bez mutacji w genie BCR-ABL (charakterystycznej dla przewlekłej białaczki szpikowej), w tym **mielofibrozę, czerwienicę prawdziwą i nadpłytkowość samoistną**^[3].

Od kilkudziesięciu lat obserwowana jest **zwiększona zapadalność na nowotwory krwi**^[4]. Może to wynikać między innymi ze **starzenia się społeczeństw**. W roku 2021 nowotwory złośliwe układu krwiotwórczego i limfatycznego zdiagnozowano w Polsce u ponad 10 tys. pacjentów^[5].

W ostatnich latach widoczna jest jednocześnie wyraźna poprawa wskaźników przeżyć^[5]. Ma to związek z coraz lepszymi metodami diagnostyki i coraz skuteczniejszymi metodami leczenia^[4]. Powstało wiele nowych terapii, które działają na konkretne zmiany genetyczne leżące u podłoża danego nowotworu krwi. Przykładem jest chociażby mielofibroza, inaczej włóknienie szpiku^[6].

*Większość chorób hematologicznych powoduje zmiany w liczebności składników krwi, które można wykryć dzięki badaniu **morfologii krwi**^[3]. Dlatego jest to podstawowe badanie w diagnozowaniu chorób układu krwiotwórczego i limfatycznego. Każdy z nas powinien robić je przynajmniej **raz do roku**, a tymczasem niemal **połowa Polaków bada krew rzadziej**^[3].*

Mielofibroza należy do nowotworów mieloproliferacyjnych^{[6][7]}. Ta rzadka choroba szpiku kostnego może rozwijać się jako choroba pierwotna lub wtórnie – u chorych na czerwienicę prawdziwą i nadpłytkowość samoistną^{[6][7][8]}.

W chorobie tej dochodzi do pobudzenia aktywności komórek tkanki łącznej (fibroblastów) w szpiku kostnym, a w konsekwencji – do nadmiernego odkładania się włókien kolagenowych i retikuliny^{[6][7]}. Jest to właśnie proces włóknienia szpiku kostnego. W miarę postępu choroby w szpiku powstaje coraz mniej komórek krwi, a ich produkcja przenosi się poza szpik, zwłaszcza do śledziony i wątroby^{[6][7]}. Prowadzi to do znacznego powiększenia tych narządów^{[6][7]}.

W zaawansowanych stadiach mielofibrozy występuje między innymi obniżona liczba krwinek białych, czerwonych oraz płytek krwi^[6].

Przyczyny rozwoju mielofibrozy nie są znane^{[6][7]}. Zidentyfikowano jednak mutacje, które mają w tym istotny udział. Są to mutacje powodujące spontaniczną aktywację szlaku JAK-STAT^{[6][7]}.

Jest to choroba rzadka – w skali światowej zapadalność na mielofibrozę szacuje się na 0,1–1,0 na 100 000 osób^[7]. Brak jest dokładnych danych dotyczących Polski^[7]. Mediana wieku w momencie diagnozy mielofibrozy wynosi 69 lat, ale chorują również osoby młodsze, a nawet dzieci^{[5][8]}.

Mielofibroza przez wiele lat może przebiegać bezobjawowo^[7]. Ma to miejsce w fazie tzw. przedwłóknieniowej^{[6][8]}. Stopniowe włóknienie szpiku, spadek produkcji krwinek wywołuje objawy takie jak **anemia, obniżenie liczebności białych krwinek oraz zbyt niską liczebność płytek krwi**^[8]. Nasilanie się produkcji krwinek poza szpikiem prowadzi do **powiększenia śledziony i wątroby**^[8]. Powoduje to: **bóle brzucha, uczucie sytości, wzdęcia, zawały śledziony, nadciśnienie wrotne**^[7].

U ponad połowy pacjentów, w momencie postawienia diagnozy występują objawy ogólne^[7]. Najczęściej jest to zmęczenie, na które skarży się 50–70 proc. chorych, ale też nocne poty, świąd, niezamierzona utrata masy ciała, przewlekła gorączka, bóle kości^[7]. **Są to objawy mogące sugerować np. infekcję oddechową, co utrudnia szybkie rozpoznanie**^[4].

*Jednym z objawów mielofibrozy, który znacznie pogarsza jakość życia i skraca czas przeżycia, jest **anemia**^[7]. Występuje ona u ok. 40 proc. pacjentów w momencie diagnozy i z dużym prawdopodobieństwem wystąpi na pewnym etapie choroby u wszystkich pacjentów z mielofibrozą^[7].*

W ostatniej dekadzie pojawiły się leki celowane z grupy inhibitorów kinazy janusowej (inhibitory JAK). Dzięki temu wzrosła skuteczność objawowego leczenia mielofibrozy^[7]. Obecnie w Polsce dwa z nich – *ruksolitynib* i *fedratynib* – są refundowane w ramach programu lekowego B.81^[7].

Obydwa te leki **nasilają jednak ryzyko wystąpienia anemii** u chorych na mielofibrozę^[7]. Odpowiedzią na niezaspokojoną potrzebę pacjentów z mielofibrozą, której towarzyszy anemia, może być kolejny inhibitor JAK – *momelotynib*^[7]. Obecnie nie jest on w Polsce objęty finansowaniem w ramach programu lekowego.

*25 stycznia 2024 r. EMA zarejestrowała **momelotynib** w terapii dorosłych pacjentów z mielofibrozą i umiarkowaną do ciężkiej niedokrwistością, nieleczonych wcześniej inhibitorami JAK oraz uprzednio leczonych ruksolitynibem^[7]. Badania kliniczne wykazały, że momelotynib skutecznie redukuje objętość śledziony i łagodzi inne objawy mielofibrozy, a także jest skuteczny w leczeniu anemii – zastosowanie go zmniejszyło odsetek pacjentów zależnych od transfuzji krwinek czerwonych i zwiększyło poziom hemoglobiny^[7].*

Podstawą leczenia anemii u chorych na mielofibrozę jest transfuzja krwinek czerwonych^[7]. Stanowi ona obciążenie dla organizmu pacjenta i wiąże się z powikłaniami^[7]. Wczesne powikłania tej procedury – występujące do 24 godz. od jej zakończenia – obejmują: **gorączkę, dreszcze, ból w miejscu wkłucia, ból brzucha, zaburzenia ciśnienia tętniczego krwi, zmiany skórne czy wymioty**^[7]. Istnieje też niewielkie ryzyko przeniesienia chorób zakaźnych. Ponadto, przewlekłe stosowane transfuzje mogą powodować powstawanie przeciwciał przeciw antygenom od dawcy

krwinek (alloimmunizację) i nadmierne nagromadzenie żelaza w organizmie^[7]. Jednocześnie, pacjentom w zaawansowanym stadium mielofibrozy bardzo często towarzyszy uzależnienie od transfuzji krwinek czerwonych, co wiąże się z istotnym skróceniem całkowitego przeżycia^[9]. Dlatego jednym z kluczowych celów terapii mielofibrozy powinno być maksymalne wydłużenie czasu, w którym pacjent nie wymaga przetoczeń^[10].

Konieczność regularnych transfuzji jest bowiem również istotnym problemem dla systemu opieki zdrowotnej: stanowi znaczne obciążenie dla personelu medycznego oraz infrastruktury szpitalnej. **Nie wszystkie szpitale dysponują pełnym zapleczem transfuzjologicznym, co zmusza pacjentów do podróży do specjalistycznych ośrodków hematologicznych.** Może to być uciążliwe, szczególnie dla osób starszych lub z ograniczoną mobilnością. Ponadto priorytetowo przyjmowani są pacjenci z ostrymi stanami, co może prowadzić do opóźnień u osób z chorobami przewlekłymi.

*Dlatego finansowanie leczenia **mometynibem** w ramach programu lekowego zostało uznane przez hematologów za **jeden z priorytetów na rok 2025**^[4].*

Mielofibroza istotnie pogarsza jakość życia pacjentów, a tylko nieliczna grupa chorych może być poddana allogenicznemu przeszczepieniu komórek macierzystych szpiku (tj. od dawcy rodzinnego lub niespokrewnionego)^{[7][8]}. Mediana przeżycia całkowitego w tej chorobie wynosi około 5–6 lat, a 10-letnie przeżycie jest o 81 proc. rzadsze niż w populacji ogólnej^[7]. Dlatego dostęp do wszystkich skutecznych leków celowanych, które pozwalają indywidualnie dobrać terapię optymalną dla danego chorego, jest tak ważny.



Komunikat prasowy przygotowany przez *Stowarzyszenie Dziennikarze dla Zdrowia* w związku z warsztatami z cyklu *Quo Vadis Medicina* pod hasłem: *Pacjenci hematoonkologiczni – wyzwania i nadzieje, maj 2025.*

Referencje:

¹ *Kompleksowa opieka hematoonkologiczna – model organizacji diagnostyki i leczenia nowotworów układu krwiotwórczego i chłonnego u osób dorosłych*, opracowanie analityczne AOTMiT, 26.06.2019. [Publikacja online](#) [dostęp: 26.05.2025].

² *Hematokoalicja. Raport dotyczący sytuacji pacjentów hematoonkologicznych w Polsce*, HTA Registry i Onkocafe, Kraków i Warszawa 2022. [Publikacja online](#) [26.05.2025].

³ J. Góra-Tybor, *Nowotwory mieloproliferacyjne BCR-ABL ujemne*, Hematoonkologia.pl, 02.09.2019. [Publikacja online](#) [26.05.2025].

⁴ E. Lech-Marańda, *Hematologia w Polsce – 2024 rok*, Instytut Hematologii i Transfuzjologii, 2024. [Publikacja online](#) [26.05.2025].

⁵ M. Markłowska-Tomar, K. Lisowska, *Hematologia: nowe otwarcie. Raport*, Stowarzyszenie Hematoonkologiczni, Fundacja Per Humanus, Fundacja Rzecznicy Zdrowia, Warszawa 2024. [Publikacja online](#) [26.05.2025].

⁶ Momelotynib (Omjjara®) w leczeniu pacjentów z mielofibrozą pierwotną lub wtórną. Analiza problemu decyzyjnego, HTA Consulting, Kraków 2025. [Publikacja online](#) [26.05.2025].

⁷ Mielofibroza, artykuł w serwisie Hematoonkologia.pl, bez daty. [Publikacja online](#) [26.05.2025].

⁸ Odpowiedzi na najczęstsze pytania zadawane przez chorych na mielofibrozę. Poradnik dla pacjentów, oprac. M. Sobas, Novartis, 2019. [Publikacja online](#) [26.05.2025].

⁹ A. Tefferi i in., „Mayo Clin Proc.” 2012, nr 87(1), s. 25–33. C. Elena i in., „Haematologica” 2011, nr 96(1), s. 167–170.

¹⁰ A. Gołos, J. Góra-Tybor, Niedokrwistość u chorych na mielofibrozę — możliwości terapii, „Acta Haematologica Polonica” 2024. Publikacja [dostępna online](#) [27.05.2025].