

Mielofibroza: pacjenci czekają na kolejną opcję leczenia

W ostatnich latach bardzo poprawiły się w Polsce możliwości leczenia mielofibrozy, choroby mającej wiele „twarzy”. Dziś zarówno eksperci, jak i chorzy czekają na dostęp do kolejnej opcji terapeutycznej, która szczególnie „sprawdza się” w przypadku pacjentów z niedokrwistością.

Mielofibroza to choroba należąca do grupy **nowotworów mieloproliferacyjnych** (związanych z niekontrolowanym dzieleniem się komórek szpikowych), podobnie jak przewlekła białaczka szpikowa, czerwienica, nadpłytkowość. Prekursory płytek krwi (megakariocyty) wydzielają szereg cytokin prozapalnych, które między innymi stymulują **włóknienie szpiku**. Staje się on mało wydolny, co może powodować niedobory białych i czerwonych krwinek oraz płytek krwi. Postępujące włóknienie szpiku i jego niewydolność powoduje, że krwiotworzenie przenosi się do śledziony i do wątroby powodując powiększanie się tych narządów. Szczególnie powiększa się śledziona, często do bardzo dużych rozmiarów.

Średnia wieku w momencie zachorowania na mielofibrozę to 65 lat, jednak około 10 procent pacjentów w momencie postawienia diagnozy ma poniżej 40 lat. – *Warto co roku wykonywać morfologię krwi, dzięki niej można wcześniej wykryć wiele chorób hematologicznych, m.in. mielofibrozę. Duża aktywność cytokin zapalnych może powodować takie objawy jak bóle kości, świąd skóry, intensywne poty, stany gorączkowe, chudnięcie. Większość pacjentów ma powiększoną śledzionę: często jest to pierwszy sygnał mielofibrozy –* zaznacza prof. Joanna Góra-Tybor, konsultant ds. hematologii w województwie łódzkim, kierownik Oddziału Hematoonkologii z Pododdziałem Chemioterapii Diennej Wojewódzkiego Wielospecjalistycznego Centrum Onkologii i Traumatologii im. M. Kopernika w Łodzi.

Obecność nieswoistych objawów potwierdzają pacjentki ze Stowarzyszenia Hematoonkologiczni. – *U mnie pierwsze objawy to były bóle kości; miałam wrażenie, jakby ktoś wbijał mi gwoździe w kości. Zauważyłam też nieprawidłowości w wynikach badań krwi. Gdy trafiłam do hematologa, szybko została postawiona diagnoza: mielofibroza –* mówi Monika Skóra-Kamińska, która od 8 lat zмага się z chorobą.

– *Mnie zaniepokoiła przeciągająca się powyżej trzech miesięcy infekcja. Wykonałam morfologię, wyniki nie były dobre. Początkowo leczono mnie w kierunku boreliozy. Gdy trafiłam do hematologa, pierwszą diagnozą była przewlekła białaczka szpikowa. Dopiero drugi hematolog zalecił wykonanie trepanobiopsji, której wyniki wskazały na mielofibrozę –* zaznacza Monika Sieńska-Pieczczyńska, która zachorowała w wieku 33 lat, a obecnie już od 16 zмага się z mielofibrozą.

– *U mojego męża pierwszym objawem była niska hemoglobina; mąż był honorowym dawcą krwi, i za którymś razem odmówiono mu dawstwa właśnie z powodu złych wyników. Jednak mielofibrozę zdiagnozowano dopiero po tym, gdy sam wyczuł mocno powiększoną śledzionę. Wyglądało to, jakby miał bardzo duży guz; nic dziwnego, bo śledziona miała prawie*

26 cm. *Diagnoza nowotworu była szokiem, bo mąż był bardzo aktywny fizycznie, jeździł na rowerze, na nartach – mówi Katarzyna Lisowska, której mąż zмага się z chorobą już od 15 lat.*

Leczenie: zależne od przebiegu choroby

Leczenie mielofibrozy zależy przede wszystkim od stopnia rozwoju choroby. U niektórych pacjentów z wczesną postacią mielofibrozy wystarczy obserwacja, jednak w wielu przypadkach od początku konieczne jest podjęcie leczenia. Jedynym sposobem wyleczenia jest obecnie allotransplantacja szpiku. W przypadku chorych na mielofibrozę jest ona jednak obarczona wysokim ryzykiem i proponowana tylko pacjentom z bardziej zaawansowaną chorobą, z potwierdzonymi mutacjami o złym rokowaniu, pozostających w dobrym stanie ogólnym

– Jeśli chodzi o farmakoterapię, to mamy aktualnie dostępny dobrze znany w onkologii lek: hydroksykarbamid, który może spowodować zmniejszenie śledziony, stabilizować podwyższone krwinki czerwone, białe, nie wpływa jednak na przebieg choroby. We wczesnym stadium stosuje się też interferon alfa, który może spowolnić postępujące włóknienie szpiku – zaznacza prof. Góra-Tybor.

Przełomem w leczeniu mielofibrozy są **inhibitory kinazy JAK**. Mają one wpływ na molekularne podłoże choroby, w której przebiegu bardzo ważna jest aktywacja szlaku JAK-STAT. Inhibitory kinazy JAK hamują ten szlak. – *Pierwszym zarejestrowanym lekiem był ruksolitynib, który powodował zmniejszenie objętości śledziony, a także zmniejszenie objawów ogólnych, cytokinowych, oraz przedłużenie przeżycia chorych. Podobnie działa drugi z inhibitorów JAK2: fedratynib, który może być stosowany jako druga linia leczenia, ale też już od samego początku. Te dwa leki mamy dostępne w ramach programu lekowego, zależy nam jednak na tym, by mieć **dostęp także do trzeciego zarejestrowanego inhibitora JAK, czyli momelotynibu, dlatego że oprócz hamowania kinazy JAK ma on **dotatkowe działania**, które powodują **korzystny wpływ na tworzenie krwinek czerwonych**** – podkreśla prof. Góra-Tybor.*

Anemia – poważny problem chorych

Niedokrwistość jest bardzo poważnym problemem chorych na mielofibrozę. – *Anemia dotyczy aż 40 proc. pacjentów już w momencie rozpoczęcia leczenia. W ciągu roku od diagnozy 60 proc. pacjentów doświadcza niedokrwistości, a w czasie dalszego leczenia nawet 100 proc. chorych w niektórych grupach ma anemię. Mielofibroza sama powoduje spadek produkcji krwinek czerwonych, nasila ją jeszcze stan zapalny oraz stosowane leczenie inhibitorami JAK2: ruksolitynibem i fedratynibem – zaznacza prof. Tomasz Sacha z Katedry i Kliniki Hematologii Collegium Medicum Uniwersytetu Jagiellońskiego w Krakowie.*

W przypadku wielu pacjentów niedokrwistość jest tak silna, że konieczne są przetoczenia krwi. Ratują życie, jednak konsekwencją może być immunizacja i przetadowanie żelazem organizmu, co obciąża wiele organów, m.in. serce.

– Momelotynib blokuje kinazę JAK1 i Jak2, ale też obniża poziom hepcydyny, zwiększając dostępność żelaza i pobudzając erytropoezę, czyli tworzenie krwinek czerwonych. Lek ten ma rejestrację w grupie chorych, u których stężenie hemoglobiny jest mniejsze niż 10 g/%. Bardzo

zależy nam, żeby ten lek znalazł się w refundacji dla naszych pacjentów – zaznacza prof. Tomasz Sacha.

– Dzięki dodatkowemu mechanizmowi działania może on pobudzić tworzenie czerwonych krwinek. Chcielibyśmy go stosować od początku u pacjentów, którzy mają dużą niedokrwistość, a także u tych chorych, którzy wyraźnie reagują pogłębieniem niedokrwistości przy stosowaniu innych inhibitorów JAK – dodaje prof. Góra-Tybor.

Również prof. Ewa Lech-Marańda, konsultant krajowy w dziedzinie hematologii, wymienia momelotynib jako **jeden z priorytetów na 2025 rok**. – **W pierwotnej i wtórnej mielofibrozie** czekamy na refundację tego leku – zaznacza prof. Lech-Marańda.

Na refundację bardzo liczą też pacjenci. – *Mąż od diagnozy ma niedokrwistość. Przeszedł kilka linii leczenia, obecnie jest bez leczenia. Czekamy na nowy lek, jest on przeznaczony dla pacjentów z anemią, którzy mają dużą śledzionę, bo nie zmniejszyły jej wcześniej stosowane leki. Refundacja tego leku jest obecnie dla naszej grupy pacjentów priorytetem. Cieszymy się, że są już dostępne dwa inhibitory JAK2, jednak każdy następny lek jest naszym sukcesem, pozwala dłużej żyć, lepiej żyć, łagodzić objawy choroby: spadek hemoglobiny, nocne poty, powiększenie śledziony* – podkreśla Katarzyna Lisowska.

– Obecnie jestem na ostatnim leku, który mamy w refundacji. Z tyłu głowy pojawia się myśl: co będzie dalej, jeśli przestanę na niego reagować? – dodaje Monika Sieńska-Pieczyska.

Nadzieją dla pacjentów są również kolejne terapie, które obecnie znajdują się w badaniach klinicznych. – Część z tych badań jest toczonych w Polsce. Niektóre dotyczą leków dodawanych do ruksolitynibu, najczęściej w opornych i nawrotowych postaciach mielofibrozy, ale też terapii, które można będzie stosować w pierwszej linii – podkreśla prof. Tomasz Sacha.

Wsparcie psychologiczne pacjentów

Oprócz farmakoterapii bardzo ważne dla pacjentów jest wsparcie psychologiczne: zwłaszcza w momencie postawienia diagnozy. – *Gdy dowiedziałam się o diagnozie, przeczytałam w internecie, że zostało mi 2,5-5 lat życia. Przeżyłam szok, wszyscy w rodzinie załamaliśmy ręce. Wtedy pomyślałam, że potrzebuję pomocy i zaczęłam szukać psychoonkologa. Niestety, dostępność do psychoonkologa była wtedy bardzo trudna, musiałam szukać pomocy prywatnie. Te wizyty były kosztowne, ale bardzo mi pomogły* – mówi Monika Sieńska-Pieczyska.

Obecnie niektóre ośrodki hematologiczne oferują wsparcie psychologiczne. Pomocą służą też organizacje pacjentów. Ważna jest wymiana doświadczeń i wspieranie chorych przez tych „bardziej doświadczonych”. – *Staramy się organizować kilkudniowe warsztaty dla pacjentów, nasza grupa jest takim wsparciem psychologicznym* – dodaje Katarzyna Lisowska.

– *Najważniejsza w tej chorobie jest nadzieja, że są coraz skuteczniejsze leki i specjaliści, którzy będą chcieli nas leczyć, że będziemy mogli żyć, również pokazując innym, że*

z mielofibrozą można normalnie funkcjonować; nie zamykając się w domu, tylko realizując swoje marzenia – zaznacza Monika Skóra-Kamińska.



Quo vadis medicina?

Materiał prasowy przygotowany przez *Stowarzyszenie Dziennikarze dla Zdrowia*. Wypowiedzi ekspertów i pacjentów pochodzą z warsztatów naukowo-edukacyjnych dla dziennikarzy zorganizowanych w ramach cyklu *Quo Vadis Medicina?* pod hasłem: „Pacjenci hematoonkologiczni – wyzwania i nadzieje”. Lato 2025.