



Aplastisk anemi



Blodcancerförbundet – för kunskap och livskraft!

Ett liv med blodsjukdom behöver inte vara ett sämre liv, men det är ett annat liv än det du hade innan. I den här nya vardagen kan det vara skönt att veta att du inte är ensam. Att vi är fler i samma situation som vill hjälpa varandra i både goda och svåra stunder. Det är därför Blodcancerförbundet finns. Vi vet att ensam inte är stark, men tillsammans kan vi bli starkare och påverka både vår gemensamma och din egen situation.

BLODCANCERFÖRBUNDET ÄR EN ideell riksorganisation till för de som är berörda av blodcancer eller annan allvarlig blodsjukdom. Vi består av lokalföreningar med verksamhet i hela landet. Vårt uppdrag är att alla som drabbas ska ha god information, kunskap, stöd och hjälp för sin vård. Förbundet arbetar intressepolitiskt för att lyfta din röst gentemot vården, politiker, myndigheter och andra aktörer inom hälso- och sjukvården.

Vi följer och påverkar utvecklingen inom forskningen som gjort stora framsteg de senaste decennierna. Forskningen är fortsatt livsviktig för bot och bättre behandlingar. Förbundet har genom vår egen ideella stiftelse Blodcancerfonden en insamling till forskning som årligen delar ut medel till forskning och utbildning av hematologisk personal. Eftersom vi tycker att patientens erfarenhet och röst är så viktig har vi en patientpanel till hjälp i prioriteringarna av ansökningarna.

HOS OSS OCH våra lokalföreningar får medlemmar möjlighet att mötas för att utbyta erfarenheter, ge varandra värdefullt stöd och råd samt lära sig mer om hur man bättre handskas med sin sjukdom. Vi kan erbjuda stödpersoner med egen erfarenhet av blodcancersjukdom och diagnosspecifika stödgrupper på Facebook. Som medlem får du vår medlemstidning Haema, med aktuella frågor och forskning, fyra gånger om året.

I din hand håller du en av våra diagnosspecifika informationsbroschyrer. Att sprida information om de diagnoser vi som förbund representerar är att av våra viktigaste uppgifter. Vår förhoppning är att alla berörda av blodcancer eller annan allvarlig blodsjukdom och deras närstående känner sig välinformerade och får en god vård.

**Vi finns här för dig
– och dina närstående!**

Broschyren är uppdaterad och faktagranskad 2025. Blodcancerförbundet tar fullt ansvar för innehållet.

Bilder: Blodcancerförbundet, Pixabay Royalty free och Shutterstock.

Tryck: Lenanders Grafiska, Kalmar. Form: Göran Hagberg.

BLODCANCERFÖRBUNDET

08-546 40 540

info@blodcancerforbundet.se

www.blodcancerforbundet.se



Innehåll

Förord.....	4
När blodet blir sjukt.....	5
Visste du att?.....	5
Aplastisk anemi.....	6
Så bildas blodkroppar	6
Orsaker till aplastisk anemi	6
Få fall i Sverige	7
Smygande symtom	7
Diagnos	9
Så ställs diagnosen	9
Två grupper	9
Behandling	10
Tålamodskrävande behandling	10
Blodtransfusioner	10
Infektionsrisker	11
Skyddande isolering	12
Övrig behandling	12
Immunsystemet bromsas	12
ALG/ATG	12
Kortison	14
Tillväxtfaktorer	14
Androgener	15
Benmärgstransplantation	15
Hur stor är risken för återfall?	17
Framtiden.....	18

Förord

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

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

Krista Vaht
Specialistläkare,
Sahlgrenska Universitetssjukhuset



När blodet blir sjukt

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

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

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

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

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

VISSTE DU ATT?

- Många blod- och blodcancersjukdomar har åtskilliga undergrupper vars behandling kan skilja sig åt ganska väsentligt. Be därför din läkare skriva ner namnet på just din specifika diagnos.
- Du som patient har rätt till en så kallad second opinion som innebär rätten att komplettera din läkares bedömning med ett utlåtande från en annan läkare.
- Det är din läkares ansvar att rådgöra och informera om kliniska studier där du kan få tillgång till en behandling du annars inte skulle erbjudas.
- Det är lagstadgat att erbjudas en kontaktsjuksköterska som bland annat ansvarar för att en skriftlig individuell vårdplan upprättas för dig.
- Du som patient har rätt att ta del av din patientjournal som bör vara skriven begripligt och med lättförståeligt språk.
- Många sjukhus erbjuder en kurator, en del har psykologer medan de flesta sjukhus har en sjukhuspräst att prata med.
- Den vård man får ska enligt Patientlagen så långt det går planeras och genomföras i samråd med dig som vårdtagare.

Aplastisk Anemi

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



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

SÅ BILDAS BLODKROPPAR

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

- Röda blodkroppar (erythrocyter) innehåller äggviteämnet hemoglobin som transporterar syre till kroppens alla vävnader.
- Vita blodkroppar (leukocyter) finns av huvudsakligen tre slag, monocytter, granulocyter och lymfocyter.
- Blodplättar (trombocyter) är nödvändiga för att blodet ska kunna levra sig.

TILLVÄXT OCH UTVECKLING av normala blodkroppar är noggrant kontrollerad i benmärgen så att denna ska producera de olika cellerna i de antal som behövs för att bibehålla ett gott hälsotillstånd. Detta ställer mycket stora krav på benmärgen som bildar tre miljoner röda och 120 000 vita

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

blodkroppar per sekund. Även om det alltså finns många olika typer av blodkroppar är alla dessa bildade från ett enda slags cell som kallas stamcell.

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

ORSAKER TILL APLASTISK ANEMI

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



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

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

Förvärvad aplastisk anemi
är inte ärftlig.
Fanconis anemi
är ärftlig.

Misstänkta orsaker

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

FÅ FALL I SVERIGE

Det inträffar mellan två till fem nya fall av aplastisk anemi årligen per miljon människor enligt internationell statistik. För Sveriges del är siffran ca 2,3 fall per miljon invånare och år. Sjukdomen kan uppträda i alla åldrar men den förefaller ha en topp i ungdomsåren och hos unga vuxna och därefter stiger återigen risken i de högsta åldrarna. Båda könen drabbas av sjukdomen. Sjukdomen är vanligare i andra delar av världen än i Sverige.

SMYGANDE SYMTOM

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

BRIST PÅ RÖDA BLODKROPPAR (anemi) utvecklas långsamt och patienten kan ha begränsade problem förutom en tilltagande trötthet och blekhet eftersom kroppen

anpassar sig till långsamt utvecklad blod-brist så länge denna inte blivit mycket starkt uttalad. Patienten kan lägga märke till att han eller hon blir andfådd vid gång i trappor och kan få hjärtklappning efter ansträngning. Dessa symtom beror på att blodet inte kan leverera tillräckligt mycket syre till vävnaderna.

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

BRISTEN PÅ VITA BLODKROPPAR leder till ökad risk för infektioner men denna brist kan länge förbli oupptäckt. Ibland har patienterna små smärtande sår i munnen och på tungan eller får så "ont i halsen" att de söker läkare. Vid aplastisk anemi är det den typ av vita blodkroppar som kallas granulocyter som saknas i första hand. Dessa celler är särskilt viktiga i försvaret mot bakteriella infektioner medan flertalet patienter med aplastisk anemi har en normal förmåga att värja sig mot virus-infektioner.

Symtom

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



Diagnos

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

SÅ STÄLLS DIAGNOSEN

Diagnosen kan endast ställas efter undersökning av blod och benmärg. Räkning av antalet blodkroppar avslöjar en minskning av alla de tre typerna av blodkroppar.

Hemoglobinet (de röda blodkropparnas färgämne), antalet vita blodkroppar inklusive granulocyter och antalet blodplättar är alla låga i förhållande till normala värden, men till skillnad från förhållandet vid leukemi finns det inga onormala celler i det cirkulerande blodet. Diagnosen bekräftas genom en benmärgsundersökning.

ETT BENMÄRGSPROV TAS under lokalbedövning genom att man för in en nål i mörghålan, vanligen baktill i bäckenbenet, och suger ut en liten mängd benmärg som sedan undersöks i mikroskop på laboratoriet. Därigenom kan man utesluta förekomsten av onormala celler. För att få en uppfattning om benmärgens totala förmåga att producera blodkroppar tar man ett större prov tillsammans med en mängd benvävnad med en så kallad biopsinål.

BÅDA PROCEDURERNA GÅR relativt fort, cirka 20 minuter, men kan ibland vara en smula obehagliga. Dessa undersökningar är dock nödvändiga för att ställa diagnosen aplastisk anemi. Prover behöver tas från mer än ett ställe för att diagnosen ska kunna ställas, eftersom cellhalten i benmärgen kan variera mellan olika ställen. I benmärgen ska det vid en aplastisk

anemi finnas en minskad mängd blodbildande märg och en ökad mängd fettväv. Därutöver får det inte finnas tecken på andra blodsjukdomar.

DET KAN IBLAND vara svårt att skilja aplastisk anemi från andra sjukdomar som påverkar benmärgen. Några viktiga sådana är svår vitaminbrist (B12 och/eller folsyra), myelodysplastiskt syndrom (MDS) och paroxysmal nokturnhemoglobinuri (PNH). Olika specialundersökningar till exempel undersökning av kromosomerna används för att skilja på de olika sjukdomarna.

TVÅ GRUPPER

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

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



Behandling

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

TÅLAMODSKRÄVANDE BEHANDLING

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

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

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

BLODTRANSFUSIONER

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

Anemin är relativt lätt att hålla under kontroll med hjälp av transfusion av röda blodkroppar. I svåra fall av aplastisk anemi krävs det att man ger sådana transfusioner varannan eller var tredje vecka. Långsiktigt kan detta skapa problem genom att järn lagras upp i kroppen. Blodplättar kan också utan svårighet ges som transfusion men de håller sig inte kvar i cirkulationen lika länge och det kan bli nödvändigt att ge dem ett par gånger i veckan eller i svåra fall ännu oftare. Det finns också en risk att utveckla så kallade antikroppar vilket gör att nyttan av transfusioner med blodplättar minskar efter hand. Transfusion av vita blodkroppar ges aldrig i förebyggande syfte, men kan i undantagsfall ges för att behandla svåra infektioner.

DET BÖR UNDERSTRYKAS att blodtransfusioner måste företas med största försiktighet för att undvika oönskade reaktioner. Alla givare undersöks beträffande eventuella virusinfektioner inklusive hepatitvirus och HIV, så från den synpunkten är transfusionerna nu nästan



helt riskfria. Man gör också allt för att försäkra sig om att man ger rätt blod till rätt mottagare.

Kravet på kontroller att så sker leder någon gång till att den lämpligaste tidpunkten för en transfusion passeras. Även med de mest rigorösa förberedelser för att finna lämpligt och riskfritt material för transfusionen kan den ge upphov till feber och frysningar. Sådana symtom kan förebyggas eller hävas genom att man ger kortison.

Vid feber kontakta
läkare.



INFEKTIONSRISKEN

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

Det är viktigt att påpeka att patienter med aplastisk anemi kan ha mycket varierande infektionskänslighet. Vissa patienter har

mer framträdande brist på röda blodkroppar och blodplättar men relativt normalt antal vita blodkroppar och därmed ett relativt normalt infektionsförsvar. Andra har mycket lågt antal vita blodkroppar och därmed är mycket känsliga för infektioner. Infektionsrisken är större tidigt efter en transplantation eller mer aggressiv immunsupprimerande behandling.

ETT SÅTT ATT MINSKA RISKEN för infektioner är att ge antibiotika i förebyggande syfte. Detta används dock alltmer sällan eftersom det finns risk att motståndskraftiga (resistenta) bakterier utvecklas. Det är därför viktigt att minska risken för att nya och möjligen mer aggressiva infektioner tillförs utifrån. Patienter med låga antal granulocyter uppmanas därför att undvika folkträngsel och nära kontakter med personer som är infekterade, till exempel är förkyllda eller har ont i halsen. I samma syfte kan en speciell diet ordinerar, med lågt innehåll av bakterier vilket i stort sett betyder måltider på nykokta ingredienser och att man ska undvika sallader och osköljd frukt.

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

SKYDDANDE ISOLERING

Mycket av behandlingen vid aplastisk anemi kan ske i öppen vård, även om patienten till att börja med vanligen tas in på sjukhus för utredning. Sjukhus är ingen ofarlig miljö för patienter som bör undvika att bli infekterade. Av det skälet placeras man vanligen patienter med aplastisk anemi och lågt antal vita blodkroppar i enkelrum där de kan vara isolerade från sjukhusmiljön i övrigt. Metoderna för sådan isolering varierar mellan olika sjukhus. Isoleringen av patienterna kan naturligtvis innebära vissa problem, särskilt för patienter som mår bra. Internetuppkoppling för laptop/läsplatta och radio och böcker är till god hjälp när det gäller att fördriva tiden och hålla patientens humör uppe.

ÖVRIG BEHANDLING

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

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

IMMUNSYSTEMET BROMSAS

Användning av läkemedel för att påskynda

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



Immunosupprimerande behandling = läkemedelsbehandling som bromsar lymfocyterna i immunförsvaret

ALG/ATG

De celler som tros underhålla aplastisk anemi kallas lymfocyter. De deltar normalt i kroppens immunförvar, men hos patienter med aplastisk anemi har de angripit patientens egna stamceller. Då ges immunsystemshämmande behandling som går ut på att lymfocyterna reduceras till antalet. Detta kan göras med hjälp av en behandling med så kallad antilymfocytglobulin (ALG) eller antitymocytglobulin (ATG). Dessa medel kombineras med läkemedel som heterocyklosporin och eltrombopag. Dessa medel kombineras för det mesta med ett läkemedel som heter cyklosporin.

ALG och ATG

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

ALG ELLER ATG ges som intravenöst dropp under fyra till fem dagar. Bieffekter som



frysningar och feber på behandlingens första dag är vanliga liksom en fördröjd reaktion med feber och ibland ledsmärtor och hudutslag. Båda dessa reaktioner kan förebyggas eller mildras genom lämplig behandling. Paradoxalt nog ökar ofta risken för infektion under och omedelbart efter behandlingen och därför innebär denna behandling omkring tre veckors sjukhusvistelse.

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

med de olika orsakerna till sjukdomen och med svårighetsgraden.

CYKLOSPORIN ÄR ETT läkemedel som ges till patienter som genomgått en organ- eller stamcellstransplantation för att förebygga avstötning av det transplanterade organet genom att dämpa lymfocyternas funktion. Som behandling vid aplastisk anemi verkar cyklosporin förmodligen på samma sätt som ATG/ALG genom att hämma lymfocytfunktionen. Cyklosporin kan ges intravenöst men vanligtvis som kapslar eller lösning och har fördelen att endast måttligt öka infektionsrisken. Det har också visat sig vara ett mycket värdefullt tillskott till behandlingen med ALG/ATG när det gäller att stimulera benmärgens återhämtning, varför kombinationsbehandling idag är regel.

Hos äldre patienter ges ibland cyklosporin som enda behandling då dessa patienter



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

CYKLOSPORIN

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

KORTISON

Kortison är ett kroppseget hormon som bildas i binjurarna. Kortison ges alltid i kombination med ALG/ATG för att minska bieffekterna, såväl de tidiga effekterna som de mer fördröjda. Oftast ges kortison under några veckors tid men kan hos vissa patienter behöva ges längre. Kortison har många biverkningar, framför allt i höga doser och under långvariga behandlingar. Därför ges så små doser som möjligt under så kort tid som möjligt.

KORTISON

är ett kroppseget hormon som ges för att minska bieffekter.

TILLVÄXTFAKTORER

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

TILLVÄXTFAKTORER

stimulerar produktionen av vita och röda blodkroppar.

Syskon är förstahandsval som donatorer vid benmärgstransplantation.



ELTROMBOPAG (Revolade®) som används för att öka blodplättarna, har i studier visats ge förbättrade blodvärden av (hemoglobin, granulocyter, blodplättar) hos aplastisk anemi patienter. Man har sett att eltrombopag binder sig med stamceller och stimulerar dem. Denna behandling är godkänd sedan 2015 för patienter som inte har svarat på immunsupprimerande behandling och där benmärgstransplantation inte är ett alternativ. Ytterligare studier har visat förbättrad effekt för nyinsjuknade patienter och kombinationsbehandling med ATG/ALG samt cyklosporin har visat ge snabbare behandlings-svar samt ökad svarsfrekvens. Eltrobopag ges i tablettform och behandlingstid är vanligtvis 3 till 6 månader.

ANDROGENER

Androgener är ämnen som liknar de manliga könshormonerna och som används av idrottsmän och muskelbyggare som dopingmedel för att öka muskelmassan. De stimulerar också benmärgens aktivitet och var de första medel som introducerades med framgång när det gällde att

stimulera stamcellernas förökning. Eftersom det är manliga hormoner har de bieffekter som kan vara oroande för kvinnliga patienter. Dessa medel används nu alltmer sällan vid behandling av aplastisk anemi.

ANDROGENER

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

BENMÄRGSTRANSPLANTATION

Den defekta benmärgen vid aplastisk anemi kan ersättas med normal benmärg från en lämplig donator. De bäst passande givarna hittar man bland patientens syskon. Det är en chans på fyra att ett syskon kan passa, det vill säga ha en benmärg som kan transplanteras till patienten. Om det inte finns något lämpligt syskon kan man överväga obesläktade, frivilliga donatorer. Idag finns mer än 38 miljoner donatorer tillgängliga genom många register runt om i världen och i Sverige finns Tobiasregistret, uppkallat efter en patient som led av just aplastisk anemi.

Tekniken består i att benmärg tas från givaren med samma utrustning som används för att ta benmärg för diagnostiska ändamål. Det fordras emellertid stora mängder benmärg så det är nödvändigt att proceduren genomförs under narkos eller i ryggbedövning. Benmärgen ges sedan till patienten som dropp precis som vid en blodtransfusion. Problem med benmärgstransplantation är dels infektioner, och dels risken för avstötning av benmärgen från patientens sida eller dess motsats. Detta då benmärgen framkallar en oönskad reaktion hos patienten, så kallad transplantat-mot-värd-reaktion (graft-versus-host disease).

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

Obesläktade donatorer kan överväga Tobiasregistret, ett register med frivilliga benmärgsdonatorer.



FÖRE TRANSPLANTATIONEN ges vanligtvis ett cytostatikum (cellgift) som heter cyklofosamid kombinerat med ALG/ATG, och efter transplantation ges cyklosporin.

Om man använder en obesläktad givare kan andra förbehandlingar, till exempel strålbehandling, bli aktuella. En benmärgstransplantation gör det vanligen nödvändigt för patienten att bli kvar på sjukhus i drygt en månad, men om transplantationen har haft ett lyckosamt förlopp kan patienten se fram mot ett normalt liv. Det behövs dock flera års noggrann uppföljning innan man kan tala om patienten som botad.

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

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

Bieffekter vid benmärgstransplantation:

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



HUR STOR ÄR RISKEN FÖR ÅTERFALL?

Framgångsrik behandling av aplastisk anemi behöver inte innebära ett återställande av normalt antal blodkroppar. Det första steget på vägen till hälsa är att förbättra benmärgsfunktionen tillräckligt mycket för att patienten inte längre ska behöva transfusioner. Ett sådant tillstånd med en viss grad av anemi och ett lågt antal blodplättar kan kvarstå under åtskilliga år under vilka patienten har en synbart god hälsa. Till slut kan benmärgen vara helt återställd. Efter immunsystems-hämmande behandling finns en relativt stor risk för återfall som kan komma.

Framför allt när sådan behandling avslutas, men också många år senare. Hos en del av patienterna kan det många år efter behandling uppträda nya rubbningar i benmärgen som kräver ytterligare utredning och behandling, till exempel så kallade myelodysplastiska syndrom (MDS). Därför är det nödvändigt att patienter med aplastisk anemi kontrolleras regelbundet, kanske en gång om året, i många år efter sin behandling.

MYELOYDYSPLASTISKA SYNDROM MDS är en sjukdom med nya rubbningar i benmärgen.

Framtiden

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

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

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





BLODCANCERFONDEN

Forskningen om allvarliga blodsjukdomar har gjort stora framsteg de senaste decennierna och är fortsatt livsviktig för bättre behandlingar och bot.

Vi följer och påverkar utvecklingen inom blodcancer och andra allvarliga blodsjukdomar och administrerar insamlingar till forskning om dessa genom vår ideella stiftelse Blodcancerfonden.

Blodcancerfonden delar årligen ut medel till forskning och utbildning av hematologisk personal samt delar ut utmärkelserna "Årets hematologisjuksköterska" och "Årets hematologiska avhandling".

Ditt stöd, testamente eller din donation gör skillnad!

Ge en gåva: www.blodcancerforbundet.se/stod-oss



Du behövs som medlem!

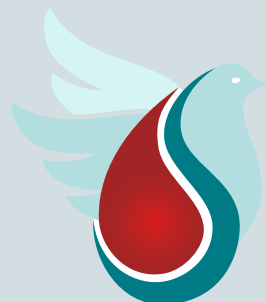
Du kan bli medlem som patient, anhörig/närstående eller vara stödmedlem.

Medlemsavgiften varierar mellan 150–250 kronor/år för en enskild medlem. Familjemedlemskap finns.

Information och ansökningsformulär:
www.blodcancerforbundet.se/medlem

Du kan också kontakta oss på:
Telefon: 08–546 40 540

Epost: info@blodcancerforbundet.se



**BLODCANCER
FÖRBUNDET**