

Pierwotne niedobory odporności

Osoczopochodne produkty lecznicze



Wstęp

Niniejsza broszura opisuje terapie oparte na produktach osoczopochodnych stosowanych w leczeniu pierwotnych niedoborów odporności.

Pierwotne niedobory odporności (PNO) są grupą rzadkich schorzeń spowodowanych niewłaściwym funkcjonowaniem niektórych elementów układu odpornościowego (głównie komórek i białek). Zdrowy układ odpornościowy pomaga chronić organizm przed infekcjami spowodowanymi przez mikroorganizmy, takie jak bakterie, wirusy czy grzyby. Osoby cierpiące na PNO są więc w większym stopniu narażone na infekcje niż ludzie zdrowi.

Większość pierwotnych niedoborów odporności jest związana z faktem, że organizm wytwarza zbyt mało czynnych immunoglobulin (IG), zwanych także przeciwciałami lub nie wytwarza ich wcale. Immunoglobuliny są ważną częścią układu odpornościowego, ponieważ rozpoznają i atakują mikroorganizmy powodujące infekcje.

Terapie oparte na produktach osoczopochodnych należą do terapii ratujących życie i są wykorzystywane do leczenia różnych rzadkich schorzeń, włącznie z PNO. Produkty lecznicze w nich stosowane wytwarzane są z osocza pobranego od dawców. Leczenie substytucyjne preparatami immunoglobulin jest głównym rodzajem terapii preparatami osoczopochodnymi stosowanym w leczeniu PNO. Preparaty zawierają immunoglobuliny od zdrowych dawców, które pomagają chronić przed wieloma infekcjami i zmniejszają objawy autoimmunologiczne. Taka terapia stosowana jest w leczeniu różnych pierwotnych niedoborów odporności, na przykład:

- Pospolity zmienny niedobór odporności (CVID)
- Agammaglobulinemia sprzężona z chromosomem X (XLA)
- Zespół hiper-IgM sprzężony z chromosomem X (hyper IgM)
- Zespół Wiskotta-Aldricha (WAS)
- Ciężki skojarzony niedobór odporności (SCID) i inne skojarzone niedobory odporności.

Leczenie substytucyjne preparatami immunoglobulin jest dożywotnią terapią ratującą życie, która musi być prowadzona regularnie, ponieważ pierwotne niedobory odporności są schorzeniami przewlekłymi. Ważne jest, aby nie pomijać kolejnych dawek, ponieważ każde podanie leku zapewnia jedynie tymczasową ochronę przed infekcjami.

Inny rodzaj terapii opartej na produktach osoczopochodnych jest wykorzystywany do leczenia pacjentów z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym (HAE). U osób, które żyją z tym schorzeniem, brakuje składnika układu immunologicznego zwanego inhibitorem C1 (C1-INH) lub nie działa on w prawidłowy sposób, dlatego pacjentom przepisany jest osoczopochodny koncentrat C1-INH, który zapobiega i leczy objawy zapalenia związanego z HAE.

Wczesna diagnoza i dostęp do odpowiedniej terapii pozwala wielu pacjentom z PNO prowadzić normalne, aktywne życie.

Lista powszechnie używanych skrótów

C1-INH	Inhibitor C1
CVID	Pospolity zmienny niedobór odporności
HAE	Dziedziczny obrzęk naczynioruchowy
Hyper IgM	Zespół hiper-IgM sprzężony z chromosomem X
IG	Immunoglobulina (przeciwciała)
IV	Dożylny
PNO	Pierwotne niedobory odporności
SC	Podskórny
SCID	Ciężki złożony niedobór odporności
WAS	Zespół Wiskotta-Aldricha
XLA	Agammaglobulinemia sprzężona z chromosomem X (agammaglobulinemia Brutona)

Pierwotne niedobory odporności — Pierwotne niedobory odporności i osoczopochodne produkty lecznicze (Wydanie pierwsze).

Grudzień 2013

© Międzynarodowe Zrzeszenie Pacjentów z Pierwotnymi Niedoborami Odporności (IPOPI), 2013

Wydane przez IPOPI: www.ipopi.org

Dlaczego ważny jest wybór lekarza i preferencje pacjenta

Terapie PNO są zwykle dostępne w ośrodkach specjalizujących się w diagnozie i leczeniu osób z PNO. Wybór rodzaju terapii zależy od wielu czynników, jak rodzaj PNO i współistnienie innych schorzeń.

Dostępnych jest kilka terapii opartych o produkty osoczipochodne i ponieważ są to produkty biologiczne, mają one wyjątkowe cechy. Wszystkie terapie są skuteczne, jednak różne sposoby ich wytwarzania wpływają na przykład na to, czy są one odpowiednie dla danego pacjenta, na czas podawania oraz na potencjalne skutki uboczne. Osoczipochodne produkty lecznicze nie są lekami generycznymi.

Ważne jest aby być świadomym wszystkich opcji leczenia i omówić najbardziej odpowiednią terapię ze swoim lekarzem. Rodziny i opiekunowie powinni także uczestniczyć w podejmowaniu tych decyzji.

W podejmowaniu decyzji o rodzaju terapii należy rozważyć następujące aspekty:

- skuteczność
- okresy pomiędzy kolejnymi dawkami
- skutki uboczne
- czas podawania
- podawanie w domu lub w szpitalu/przychodni
- możliwość samodzielnego podawania po odpowiednim przeszkoleniu
- łatwość stosowania
- bezpieczeństwo
- bolesność.

Leczenie substytucyjne preparatami immunoglobulin

Leczenie substytucyjne preparatami immunoglobulin prowadzone jest w formie wlewu dożylnie lub podskórnie.

Podanie dożylne: oznacza podanie immunoglobulin bezpośrednio do krwiobiegu przez żyłę. Główną zaletą tej drogi podania jest to, że można podawać większe dawki immunoglobulin w porównaniu z drogą podskórną, więc wystarczy to robić tylko co 3 lub 4 tygodnie. Jednak każdy wlew zajmuje ok. 2–4 godzin i jest zwykle wykonywany przez lekarza lub pielęgniarkę w szpitalu lub przychodni. Pielęgniarka lub odpowiednio przeszkolony opiekun może także zrobić to w domu pacjenta. W trakcie lub po podaniu dożylnym mogą pojawić się łagodne skutki uboczne (szczegóły znajdują się w rozdziale na temat skutków ubocznych).

Podanie podskórne: ta droga podania polega na infuzji pod skórę ramienia, brzucha, ud lub pośladków, z wykorzystaniem przenośnej pompy infuzyjnej (pompy strzykawkowej) lub metodą szybkiego wstrzyknięcia. Metoda szybkiego wstrzyknięcia to prosty sposób podania immunoglobuliny pod skórę za pomocą strzykawki, w wygodnym dla pacjenta tempie.

Każde podanie podskórne zajmuje mniej czasu (1–2 godziny) niż dożylne, więc łatwiej jest

je wpasować w codzienne obowiązki i może być bardziej wygodne. Jednak ponieważ tą drogą można podawać jedynie niewielkie dawki immunoglobulin, muszą one być zwykle wykonywane przynajmniej raz w tygodniu. Większe dawki można podawać w kilka miejsc jednocześnie. Pacjent lub opiekun może dokonywać wlewów podskórnych w domu, po przeszkoleniu przez personel medyczny. Decydując się na terapię domową, pacjenci i ich opiekunowie powinni umieć przestrzegać dawkowania oraz prowadzić dziennik terapii, co jest kluczowe przy podejmowaniu decyzji czy jest to najlepsza droga podania dla danego pacjenta.

	Podanie dożylne	Podanie podskórne
Długość wlewu	2–4 godziny	Pompa infuzyjna: 1–2 godziny Szybkie wstrzyknięcie: 5–20 minut
Częstotliwość	Co 3–4 tygodnie	Pompa infuzyjna: Przynajmniej raz w tygodniu (co 2–3 tygodnie w przypadku małych dzieci i niemowląt) Szybkie wstrzyknięcie: częściej
Miejsce	Zwykle w szpitalu	W domu
Skutki uboczne	Niektórzy pacjenci mogą odczuwać złe samopoczucie w trakcie lub bezpośrednio po zabiegu	Czasami ból i opuchlizna w miejscu wstrzyknięcia

Możliwe skutki uboczne

Większość pacjentów nie odczuwa poważnych skutków ubocznych podczas leczenia substytucyjnego preparatami immunoglobulin, jednak niektórzy z nich mogą doświadczać poniższych objawów:

- bóle głowy
- zawroty głowy, omdlenia lub osłabienie
- dreszcze, gorączka
- nudności lub wymioty
- swędzenie, zaczerwienienie skóry
- bóle stawów
- przyspieszona akcja serca.

Te skutki uboczne są rzadsze przy podaniu podskórnym niż dożylnym. Wlewy podskórne mogą jednak wywołać opuchliznę lub ból w miejscach wstrzyknięcia.

Większość skutków ubocznych ustępuje po zmniejszeniu tempa wlewu i dobrym nawodnieniu organizmu przed i podczas podania (aby uniknąć odwodnienia należy ograniczyć spożycie alkoholu).

Skutki uboczne są częstsze, jeśli współistnieje infekcja wymagająca leczenia. Dlatego bardzo ważne jest poinformowanie lekarza o złym samopoczuciu.

Poważniejsze skutki uboczne, jak aseptyczne zapalenie opon mózgowo-rdzeniowych, zmniejszenie ilości czerwonych krwinek (niedokrwistość hemolityczna), incydenty zakrzepowo-zatorowe (skrzącepliny) oraz poważne reakcje alergiczne, są niezwykle rzadkie.

Należy zwracać uwagę na objawy infekcji i natychmiast zgłaszać je lekarzowi.

Podróże

Do każdej podróży zagranicznej należy odpowiednio się przygotować i omówić plany wyjazdowe ze swoim lekarzem z dostatecznym wyprzedzeniem.

Dziedziczny obrzęk naczynioruchowy

Dziedziczny obrzęk naczynioruchowy jest chorobą spowodowaną przez zbyt niski poziom białka C1-INH lub jego nieprawidłowe funkcjonowanie. Białko C1-INH pomaga organizmowi w zwalczaniu zapaleń poprzez kontrolę inhibitora C1, który jest pierwszym składnikiem układu dopełniacza (częścią układu odpornościowego). Choroba powoduje napady obrzęku, który może obejmować różne części ciała, jak dłonie, stopy, twarz, drogi oddechowe czy jelita. Obrzęki te mogą utrzymywać się kilka dni. Szczególnie niebezpieczny jest obrzęk dróg oddechowych, który wymaga natychmiastowego leczenia. Niektóre osoby mają napady obrzęku raz lub dwa razy w roku, inne co kilka dni. Chociaż czynniki wyzwalające napady HAE nie są dokładnie poznane, wiadomo że mogą je wywoływać drobne urazy, infekcje i stres.

W zapobieganiu i leczeniu ataków HAE stosowane są produkty osoczipochodne zawierające czynnik C1-INH, które są wstrzykiwane lub podawane za pomocą infuzji dożylnych w szpitalu lub w domu. Pacjent lub opiekun może je wykonywać po odpowiednim przeszkoleniu medycznym. Dostępny jest również rekombinowany czynnik C1-INH, opracowany dzięki inżynierii genetycznej.

Obrzęk dróg oddechowych może doprowadzić do śmierci pacjenta, więc istotne jest podanie leku na wczesnym etapie wystąpienia objawów.

Opcje terapeutyczne

Immunoglobuliny są dostępne w większości krajów a Międzynarodowe Zrzeszenie Pacjentów z Pierwotnymi Niedoborami Odporności (IPOPI) przygotowało wyczerpujące zestawienie produktów immunoglobulin dostępnych w różnych krajach, które można znaleźć pod adresem www.ipopi.org. Każdy produkt ma nieco inną charakterystykę, więc jedne produkty mogą być bardziej odpowiednie dla danego pacjenta niż inne. Przed podjęciem decyzji o rozpoczęciu danej terapii należy omówić dostępne opcje leczenia ze swoim lekarzem. Charakterystyczne cechy produktów immunoglobulin, które należy rozważyć są następujące:

Poziom IgA	Poziom powinien być jak najniższy u pacjentów z historią ostrych reakcji alergicznych
Droga podania	Droga podskórna może być bardziej odpowiednia dla pacjentów, którzy wolą leczenie prowadzone w domu lub u pacjentów z trudnym dostępem do żył. Droga dożylna może być bardziej odpowiednia dla niektórych dorosłych pacjentów z powodu dłuższych przerw między podaniami leku, lub u pacjentów, którzy nie chcą przyjmować leku sami. Pacjenci, którzy mają inne problemy zdrowotne lub którym trudno jest dotrzymać harmonogramu dawkowania, mogą skorzystać z leczenia w szpitalu.
Obciążenie płynami	Unikać u pacjentów wymagających ograniczenia płynów i u niemowląt
Stabilizatory	Cukier i aminokwasy są dodawane do immunoglobulin w celu stabilizacji
Sacharoza	Unikać u pacjentów zagrożonych komplikacjami nerkowymi
Głukoza	Unikać u pacjentów z cukrzycą
Aminokwasy	Unikać u pacjentów z historią ostrych reakcji alergicznych i niektórymi chorobami metabolicznymi
Sód	Unikać u pacjentów z ryzykiem chorób sercowo-naczyniowych
Wysokie stężenie	Unikać u pacjentów z ryzykiem chorób sercowo-naczyniowych i niemowląt

This translation was created by an entity other than IPOPI. As such, while every effort is made to ensure the accuracy of the translation IPOPI does not warrant the accuracy, reliability, or timeliness of any information translated and shall not be liable for any losses caused by reliance on the accuracy, reliability, or timeliness of such information.

Pierwotne niedobory odporności

Jak wytwarzane są preparaty immunoglobulin?

Preparaty immunoglobulin są wytwarzane z ludzkiego osocza pobranego od zdrowych dawców. U ludzi zdrowych poziomy immunoglobulin mogą być różne, więc osocze pobiera się od dużej liczby dawców w celu otrzymania wysokiego stężenia przeciwciał.

Ponieważ preparaty immunoglobulin pochodzą z krwi lub osocza dawców, bardzo ważne jest, aby były bezpieczne i wolne od mikroorganizmów, które mogą powodować infekcje. Chociaż wszystkie produkty biologiczne niosą ze sobą niewielkie ryzyko infekcji, leczenie immunoglobulinami jest bardzo bezpieczne, dzięki poniższym krokom:

Selekcja dawców: Procedury wyboru dawców gwarantują, że są oni zdrowi;

Badania: Materiał pobrany od dawców jest badany a zanieczyszczone partie są odrzucane;

Eliminacja wirusów: Dodatkowe kroki podczas procesu produkcyjnego zapewniają dezaktywację lub usunięcie wirusów..

Dalsze informacje i wsparcie

Niniejsza broszura została opracowana przez Międzynarodowe Zrzeszenie Pacjentów z Pierwotnymi Niedoborami Odporności (IPOPI). Dostępne są również inne broszury z tej serii. Więcej informacji odnośnie organizacji zrzeszających pacjentów z niedoborami odporności w 47 krajach na całym świecie znajdą Państwo pod adresem **www.ipopi.org**.



Polska wersja publikacji powstała z inicjatywy Stowarzyszenia na rzecz osób z niedoborami odporności „Immunoprotect”
www.immunoprotect.pl
biuro@immunoprotect.pl

CSL Behring

Polska wersja została sfinansowana z grantu edukacyjnego firmy CSL Behring

Baxter

Publikacja finansowana jako projekt edukacyjny przez firmę Baxter Healthcare Corporation