



PIERWOTNE NIEDOBORY ODPORNOŚCI

TERAPIA SUBSTYTUCYJNA  
IMMUNOGLOBULINAMI  
**JEDEN ROZMIAR NIE PASUJE DO WSZYSTKICH**



## SKRÓTY

IG	Immunoglobuliny (Przeciwciała)
IPOPI	Międzynarodowa Organizacja Pacjentów ds. Pierwotnych Niedoborów Odporności
IV	Dożylny preparaty immunoglobulin
PNO	Pierwotny Niedobór Odporności
SC	Podskórne preparaty immunoglobulin

Terapia substytucyjna immunoglobulinami: jeden rozmiar nie pasuje do wszystkich (wydanie pierwsze)  
International Patient Organisation for Primary Immunodeficiencies (IPOPI), 2016  
Opublikowane przez IPOPI ([www.ipopi.org](http://www.ipopi.org))

## WSTĘP

**Niniejsza ulotka wyjaśnia różnorodność czynników, które pacjenci z pierwotnymi niedoborami odporności (PNO) powinni rozważyć i omówić ze swoim lekarzem, dokonując wyboru terapii substytucyjnej immunoglobulinami.**

Pierwotne niedobory odporności (PNO) to rzadkie choroby, występujące, gdy poszczególne elementy układu odpornościowego nie funkcjonują poprawnie lub po prostu ich brak. Istnieje ponad 280 różnych typów pierwotnych niedoborów odporności począwszy od objawów przebiegających w łagodny sposób, a skończywszy na potencjalnie zagrażających życiu. Najczęstsze PNO powodują brak białek zwanych immunoglobulinami (IG). Ponieważ IG zazwyczaj pomagają układowi immunologicznemu rozpoznawać i neutralizować infekujące zarazki (mikroorganizmy takie jak: bakterie, wirusy lub grzyby), brak IG powoduje, że ludzie są podatni na infekcje. Terapia immunoglobulinami ma na celu ochronę przed infekcjami jest zatem najważniejszą terapią dla pacjentów z PNO. IG może także pomóc w zmniejszeniu objawów autoimmunologicznych, wywołanych, gdy układ odpornościowy wytwarza przeciwciała skierowane przeciwko własnym tkankom. Terapia substytucyjna IG trwa przez całe życie, ratuje życie pacjenta i musi być wykonywana regularnie.

Produkty IG są wytwarzane z ludzkiego osocza (jasnożółtego ciekłego składnika krwi, pobranego od zdrowych dawców) i innych składników. Produkty IG są niejako rodzajem „biologicznego” leku. Produkty IG okazały się skuteczne i mają bardzo dobry profil bezpieczeństwa. Wybierając leczenie substytucyjne IG należy wziąć pod uwagę ważne czynniki takie jak: dawkowanie oraz metodę, miejsce i częstotliwość leczenia. Obecnie jest wiele dostępnych rodzajów produktów IG w zależności od miejsca twojego zamieszkania. Różnią się one pod względem składników i sposobu ich wytwarzania, a to może mieć wpływ na reakcje pacjentów na nie. Dlatego każdy produkt IG powinien być wybierany indywidualnie, zgodnie z potrzebami i preferencjami każdego pacjenta. Natomiast, zmiana produktu może być wskazana dla pacjentów, którzy nie reagują dobrze na dany produkt lub mają kłopotliwe efekty uboczne przy korzystaniu z określonego produktu.

Jeśli jesteś pacjentem, powinieneś znać dostępne opcje i omówić je z lekarzem, która jest najbardziej odpowiednia dla ciebie. Rodziny i opiekunowie pacjentów powinni również brać udział w podejmowaniu tych decyzji. Niniejsza broszura wyjaśnia czynniki wyboru preparatu IG, koncentrując się na trzech ważnych pytaniach:

- Infuzja dożylna lub podskórna?
- Terapia w szpitalu lub w domu?
- Który preparat jest dla mnie najlepszy?

Pamiętaj, że różne produkty IG nie są wymienne ani mieszalne. Dlatego po dokonaniu wyboru terapii substytucyjnej IG należy upewnić się, że dokładnie wiesz, którego produktu używasz, aby zawsze otrzymać ten wybrany dla ciebie. Każda zmiana terapii może być dokonana jedynie po konsultacji z lekarzem prowadzącym.

Terapia substytucyjna immunoglobulinami powinna zostać dobrana indywidualnie do każdego pacjenta zgodnie z jego potrzebami i preferencjami - jeden rozmiar nie pasuje do wszystkich.

## TERAPIA DOŻYLNIA CZY PODSKÓRNA?

Immunoglobulina może zostać podana dożylnie (jako kroplówka) lub podskórną (pod skórę uda, brzucha lub ramienia). Obie metody są równie efektywne choć każda z nich posiada zalety i wady w zależności od indywidualnych preferencji pacjenta. Wybór terapii może wpłynąć na to, czy terapia musi być udzielona w poradni lub szpitalu czy też można ją podać w domu (patrz poniżej).

### Terapia dożylna (IV)

Główną zaletą wlewu dożylnego jest to iż umożliwia podawanie dużych dawek IG, co może być bardzo ważne dla niektórych pacjentów. Ponadto wlew dożylny odbywa się co 3-4 tygodnie. Niektórzy pacjenci wolą dłuższy czas pomiędzy kolejnymi dawkami. Jednakże wadą jest jednak to, że każda infuzja dożylna trwa 2-4 godziny lub dłużej, zwykle w szpitalu lub klinice z udziałem lekarza lub pielęgniarki. Czasami wlewy dożylny mogą być podawane w domu w obecności pielęgniarki lub wyszkolonego członka rodziny. Ta metoda wymaga dostępu do odpowiedniej żyły. Ponadto niektórzy pacjenci mogą poczuć się źle w trakcie lub po infuzji (patrz poniżej).

W pewnych przypadkach podczas terapii dożylnych wprowadza się rodzaj rurki (cewnika) do żyły i pozostawia w niej na stałe, aby umożliwić łatwiejszy dostęp do tego rodzaju terapii. Jest to tzw. cewnik „wszczepiany” lub „wszczepialny”. Mimo tego że cewniki założone na stałe mogą być przydatne w niektórych sytuacjach, niestety zwiększają ryzyko infekcji i zakrzepów krwi, mogą zawięść i wymagają wymiany. Nie są więc odpowiednie do rutynowego stosowania u osób z PNO.

### Infuzja podskórna (SC)

To jest rodzaj terapii, w której podaje się IG pod skórę nogi, brzucha lub ramienia za pomocą igły i przenośnej pompy infuzyjnej lub ręcznej szybkiej techniki „rapid push” czyli „pchania” tłoku strzykawki.

Infuzje podskórne trwają tylko 1-2 godziny, więc mogą być wygodniejsze. Jednak można podawać tylko małe dawki IG. Oznacza to, że większość infuzji podskórnych musi być podawana częściej niż wlew dożylny - zwykle co najmniej raz w tygodniu. Większe dawki immunoglobuliny można podawać podskórną za pomocą więcej niż jednego miejsca wstrzyknięcia. Nowy rodzaj infuzji podskórnej zawiera rekombinowaną ludzką hialuronidazę, aby zwiększyć przepływ immunoglobuliny do tkanki podskórnej i krwioobiegu. Znany jako ułatwiony SCIG (lub FSCIG), pozwala pacjentom na infuzje podskórne co trzy lub cztery tygodnie, podobnie jak w przypadku infuzji dożylnych.

Technika „rapid push” jest preferowana przez niektórych pacjentów, ponieważ może oferować jeszcze większą wygodę i elastyczność niż wlewy za pomocą pompy infuzyjnej. Ta metoda wykorzystuje strzykawkę do przepchnięcia roztworu IG przez rurkę i pod skórę w miejscu wstrzyknięcia za pomocą igły. Technika „rapid push” zazwyczaj wykorzystuje mniejszą dawkę IG przyjmowaną codziennie i zajmuje tylko kilka minut. Jednak nie wszyscy pacjenci są fizycznie w stanie to zrobić.

Terapia podskórna lub metoda „rapid push” są przydatne, gdy występują problemy z podawaniem wlewów dożylnych, na przykład, gdy odpowiednia żyła nie jest dostępna. Terapie podskórne mogą być wykonywane w domu przez samych pacjentów lub przez rodziców i opiekunów, gdy zostaną odpowiednio przeszkoleni. W dodatku, istnieje mniejsze

prawdopodobieństwo wystąpienia pewnych skutków ubocznych w przypadku stosowania metody podskórnej w porównaniu z metodą dożylną (patrz poniżej).

Jeśli metoda podawania IG zostanie zmieniona z terapii dożylną na podskórną lub odwrotnie, całkowita dawka IG może wymagać korekty - to jest ważna rzecz wymagająca omówienia z lekarzem.

## TERAPIA W SZPITALU CZY W DOMU?

Oczywiście ważne jest, aby rozważyć, czy terapia substytucyjna IG ma być udzielona w szpitalu, klinice czy w domu, być może nawet przez ciebie, twojego rodzica lub opiekuna.

### SZPITAL, LECZENIE KLINICZNE

Personel medyczny może być pomocny, zwłaszcza jeśli uzna, że pacjent wymaga monitorowania, także wówczas kiedy rozpoczyna terapię IG lub gdy ma kilka problemów zdrowotnych, które wymagają szczególnej troski i opieki. Jest to również odpowiednia terapia, jeśli trudno jest przełamać niepokój związany z rozpoczęciem terapii samemu w domu lub jeśli nie ma możliwości wykonania terapii w domu przez rodzica/opiekuna.

### SAMODZIELNA TERAPIA DOMOWA

Po ustabilizowaniu poziomu IG wielu pacjentów woli otrzymywać przeciwciała w domu zamiast w klinice lub szpitalu. Terapia w domu może być bardziej elastyczna i umożliwić pacjentom większą niezależność podczas planowania własnej opieki. Oznacza to również, że pacjenci nie muszą opuszczać pracy lub szkoły z powodu terapii IG. Terapia domowa może być również użyteczną opcją dla pacjentów, którzy mają trudności z dotarciem do kliniki z powodu odległości lub problemy z mobilnością.

Dzięki wsparciu dorosłych, młodzi ludzie, a nawet dzieci mogą nauczyć się wykonywania wlewów podskórnych w domu. Twój personel medyczny nauczy cię, jak to zrobić i możesz uzyskać informacje na stronie internetowej Międzynarodowej Organizacji Pacjentów ds. Pierwotnych Niedoborów odporności (IPOPPI) (patrz broszura „Wlewy podskórne - praktyczny przewodnik dla pacjentów” na stronie [www.ipopi.org](http://www.ipopi.org)). Jednak IG musi być podawana ostrożnie w prawidłowej dawce regularnie i ta forma podawania nie jest odpowiednia dla wszystkich, szczególnie jeśli wystąpią problemy z przestrzeganiem zaleceń lub działania niepożądane. Dawkę IG oblicza się indywidualnie dla każdego pacjenta, a więc należy tego dokładnie przestrzegać tak, jak to zalecono. Dawkę IG należy podawać we właściwym tempie (tj. przez odpowiedni okres czasu) i nie należy jej zwiększać, ponieważ może zwiększyć to ryzyko wystąpienia działań niepożądanych. Bardzo ważne jest, aby pacjenci regularnie stosowali infuzje IG zgodnie z zaleconym schematem, aby poziom IG we krwi był wystarczający do ochrony przed infekcjami.

Pacjenci, rodzice lub opiekunowie muszą mieć możliwość przeszkolenia w zakresie przygotowywania i podawania wlewu zgodnie z zaleconym schematem dawkowania, jak również w zakresie niezbędnych aspektów higieny, przechowywania i usuwania infuzji oraz odpadów medycznych. Pacjenci i opiekunowie muszą również zgłaszać wszelkie problemy personelowi medycznemu i prowadzić rejestr swojej terapii. Niektóre aplikacje

komputerowe pomagające pacjentom w zarządzaniu terapią i prowadzeniem dokumentacji stały się ostatnio popularne. Terapia domowa może nie być odpowiednia dla pacjentów, którzy mają skomplikowane potrzeby medyczne lub u których w przeszłości występowały reakcje niepożądane na wlewy.

Niezależnie od tego, czy terapia w domu i samodzielna terapia są dla ciebie odpowiednie, należy omówić to z lekarzem i pielęgniarką.

## MONITOROWANIE I DALSZE DZIAŁANIA

Nawet jeśli terapia substytucyjna IG jest wykonywana w domu, regularny kontakt z personelem medycznym jest nadal ważny! Bez względu na to, jaki jest twój rodzaj terapii, twój personel medyczny będzie musiał cię widzieć w regularnych odstępach czasu, aby sprawdzić skutki uboczne, ocenić technikę samodzielnej terapii (jeśli korzystasz z samoopieki) i wykonać inne oceny w zależności od twoich indywidualnych potrzeb. Dawkę IG oblicza się początkowo indywidualnie dla każdego pacjenta, zgodnie z masą ciała. Następnie można ją dostosować zgodnie z reakcją pacjenta. W niektórych sytuacjach dawkę można dostosować na podstawie pomiaru najniższego poziomu IG we krwi pod koniec cyklu dawkowania, tj. przed przyjęciem następnego dawki. Jest to znany termin jako „najniższy poziom”, a celem jest zapewnienie właściwego poziomu ochrony pacjenta przed zakażeniem.

## JAKI RODZAJ TERAPII JEST DLA MNIE NAJLEPSZY?

Niektórzy pacjenci z PNO nie odczuwają skutków ubocznych terapii substytucyjnej immunoglobulinami. Jednak u innych mogą wystąpić działania niepożądane, takie jak ból głowy, uczucie pustki w głowie, dreszcze, gorączka i bóle stawów. W niektórych przypadkach efekty uboczne są łagodne. W rzadszych przypadkach mogą wystąpić ciężkie skutki, w tym aseptyczne zapalenie opon mózgowo-rdzeniowych (poważny stan zapalny w wyściółce mózgu), a nawet anafilaksja (rodzaj ciężkiej reakcji alergicznej).

Te działania niepożądane występują rzadziej podczas stosowania terapii podskórnej w porównaniu z terapią dożylną. Dzieje się tak dlatego, że te efekty są związane z poziomem IG we krwi. Dlatego podawanie podskórne może być bardziej odpowiednie dla pacjentów, którzy wcześniej doświadczali skutków ubocznych lub którzy są bardziej narażeni na ich wystąpienie. Z drugiej strony, infuzje podskórne mogą powodować obrzęk i ból w miejscu wstrzyknięcia, jak również inne efekty uboczne (podane powyżej).

To, czy dany produkt IG jest odpowiedni dla ciebie, może zależeć od jego składników i składu. Czynniki, które należy uwzględnić przy wyborze produktów obejmują:

- Objętość infuzji: należy unikać preparatów o większej objętości płynu u pacjentów, którzy muszą ograniczyć przyjmowanie płynów (na przykład z powodu niewydolności serca, wysokiego ciśnienia krwi lub choroby nerek) oraz u niemowląt.
- Stężenie IG: stężenie IG w produktach waha się od 3% do 20%, w zależności od tego, które produkty są dostępne w twojej lokalizacji. Większe stężenia mogą być przydatne, gdy konieczne jest podanie większych dawek. Jednak należy unikać wysokich stężeń IG u pacjentów z ryzykiem choroby sercowo-naczyniowej.

- Poziom immunoglobuliny A: powinien być tak niski, jak to możliwe zwłaszcza u pacjentów z ciężką reakcją nadwrażliwości w wywiadzie, w tym z anafilaksją. U niektórych pacjentów z niedoborem immunoglobuliny A mogą wystąpić ciężkie reakcje na immunoglobulinę A.
- Stabilizatory: te składniki (najczęściej cukry) dodaje się, aby mieć pewność, że IG pozostaje rozpuszczona w roztworze do infuzji. Rodzaj i stężenie stabilizatorów stosowanych w produktach IG może mieć wpływ na ich przydatność dla niektórych pacjentów.
- Sacharoza: należy unikać u pacjentów narażonych na powikłania nerek.
- Glukoza: należy unikać u pacjentów z cukrzycą.
- Maltoza: systemy monitorowania poziomu glukozy we krwi mogą fałszywie rozpoznać maltozę jako glukozę, zakłócając odczyty glukozy.
- Sorbitol: IG zawierające sorbitol nie powinny być stosowane u osób z cukrzycą i osób z nietolerancją fruktozy.
- Aminokwasy (L-prolina i glicyna): produkty zawierające L-prolinę (jeden z bloków aminokwasów, z których organizm wytwarza białka) nie powinny być stosowane u pacjentów, którzy już mają wysoki poziom proliny we krwi (zwany hiperprolinemią). Glicyna może powodować mdłości, wymioty, nadmierną potliwość, ból głowy i gorączkę. Ogólnie rzecz biorąc, należy unikać aminokwasów u pacjentów z ciężkimi reakcjami alergicznymi w wywiadzie oraz z niektórymi zaburzeniami metabolicznymi, które wymagają ograniczenia spożycia określonych aminokwasów.
- Sód: produkty IG zawierają niewiele sodu - jest to ważne, aby zminimalizować ryzyko wystąpienia działań niepożądanych związanych z chorobami układu krążenia i nerek.
- Preparat: produkty IG są najczęściej przedstawiane jako roztwory, ale niektóre są w postaci liofilizowanej (rodzaj liofilizacji) i należy ich używać zgodnie z instrukcjami producenta.
- Osmolarność lub osmolalność (miara ilości chemikaliów rozpuszczonych w roztworze) i pH (miara kwasowości lub zasadowości roztworu): czynniki te mogą wpływać na efekty uboczne IG, chociaż większość produktów jest podobna w składzie.
- Alergie: powinieneś upewnić się, że twój lekarz wie o twoich alergiach, szczególnie jeśli kiedykolwiek miałeś ciężką reakcję na produkt IG.

## CENA I DOSTĘPNOŚĆ

Produkty IG są dostępne w wielu krajach, chociaż zakres dostępnych produktów jest różny. Listę produktów dostępnych w każdym kraju wraz z ich składnikami i właściwościami można znaleźć na stronie [www.ipopi.org](http://www.ipopi.org).

Terapię substytucyjną IG często zapewniają ośrodki specjalizujące się w leczeniu PNO. Sposób, w jaki terapia IG jest opłacana lub refundowana przez system opieki zdrowotnej, różni się w zależności od kraju i ubezpieczenia zdrowotnego. Co więcej, zasady dotyczące kosztów i refundacji mogą się różnić w zależności od terapii IG. Pacjenci, rodzice i opiekunowie powinni sprawdzić swoją sytuację lokalną i plan opieki zdrowotnej i zasięgnąć porady od swojego lekarza. Pacjenci mogą również skontaktować się z krajową organizacją pacjentów (za pośrednictwem [www.ipopi.org](http://www.ipopi.org)) w celu uzyskania dalszych informacji.

IPOPI uważa, że pacjenci z PNO powinni mieć stały i równy dostęp do możliwie najszerszego zakresu bezpiecznych i skutecznych terapii IG. Lekarze przepisujący lek powinni zawsze mieć możliwość wyboru najbardziej odpowiedniej terapii dla poszczególnych pacjentów.

## POZOSTAŁE INFORMACJE I WSPARCIE

Ulotka wyprodukowana przez International Patient Organisation for Primary Immunodeficiencies (IPOPİ). Dostępne także inne ulotki z tej serii. Więcej szczegółów na temat naszej funkcjonującej w 56 krajach państwach organizacji znajdziesz na naszej stronie internetowej [www.ipopi.org](http://www.ipopi.org).

immunoprotect

Stowarzyszenie na rzecz osób z niedoborami odporności

Polska wersja publikacji powstała z inicjatywy Stowarzyszenia na Rzecz Osób z Niedoborami Odporności „Immunoprotect”  
e-mail: [biuro@immunoprotect.pl](mailto:biuro@immunoprotect.pl)

Wejdź na stronę [www.immunoprotect.pl](http://www.immunoprotect.pl) i poznaj nasze publikacje

Shire

Polska wersja została sfinansowana z grantu edukacyjnego firmy Shire

Baxalta

Publikacja finansowana jako projekt edukacyjny przez firmę Baxalta