



Till dig med PNH som ska behandlas med BEKEMV[®] (ekulizumab)

Det här är en informationsbroschyr för dig med PNH som ska få behandling med BEKEMV. Skriften är tänkt som ett kompletterande stöd till den information som ges av läkare och sjuksköterskor. Har du frågor när det gäller din behandling med BEKEMV, kontakta då alltid din läkare och/eller din sjuksköterska.

Den här skriften är framtagen i samarbete med:

Peter Johansson

*Docent/Överläkare
Sahlgrenska universitetssjukhuset,
Göteborg*

Peter Sundberg

*ST-läkare hematologi
Specialist allmän internmedicin
Sahlgrenska universitetssjukhuset,
Göteborg*

Vad är PNH?

Paroxysmal nocturn hemoglobinuri* (PNH) är en ovanlig blodsjukdom. Mindre än en person per miljon invånare insjuknar årligen i Sverige. Sjukdomen uppkommer vanligen i 30-40 års ålder, men kan även uppstå under barnaåren och senare i livet.

PNH orsakas av en cellförändring som leder till att kroppens eget immunförsvar attackerar de röda blodkropparna. De röda blodkropparna går sönder, ett fenomen som kallas hemolys. Ur de förstörda cellerna strömmar den syrebärande molekylen hemoglobin ut och hamnar i blodbanan. Detta ger upphov till många av de symtom som man kan drabbas av vid PNH.

Vid PNH har en cellförändring, en mutation, skett. Denna mutation är förvärvad, vilket betyder att sjukdomen inte är ärftlig. PNH är en blodsjukdom och inte en typ av blodcancer. I benmärgen sker produktionen av immunceller och blodceller. Dessa skapas av olika så kallade stamceller som besitter förmågan att förnya sig själva och utefter stimuli utvecklas till olika celler. Cellmutationen vid PNH innebär att den röda blodkroppen saknar markörer på sin yta som gör att den blir känslig för attacker av en del av immunförsvaret, komplementsystemet. Detta resulterar i att röda blodkroppar går sönder, lyserar.

Mutationen finns inte i alla celler, vilket innebär att endast en andel av alla blodkroppar har denna cellförändring. Dessa celler kallas för PNH-kloner.

Hemolys

Röd blodkropp...



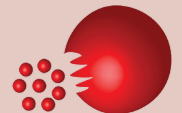
...angrips av delar av komplement-systemet...



...svullnar...



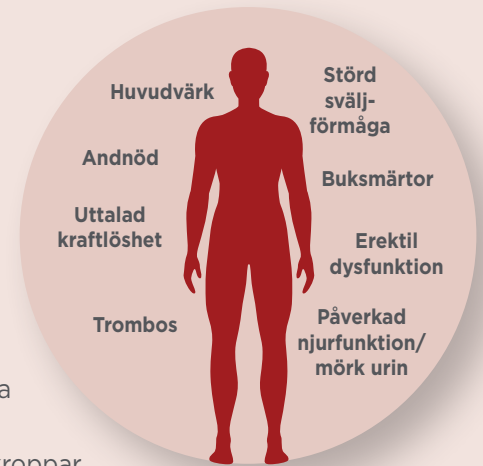
...BRISTER!



**Betyder ungefär: "Anfallvis nattlig hemoglobin i urinen." Detta namn är missvisande så till vida att sjukdomen inte enbart kommer i skov eller på natten. Dock kan symtomen förvärras i skov, exempelvis vid graviditet eller kraftigare infektioner.*

Symtom

Vilka symtom PNH ger beror framför allt på hur stor andel av de röda blodkropparna som bär på PNH-klonen. Ju större andel PNH-blodkroppar, desto mer symtom. Här beskrivs några av de vanligaste symtomen.



Anemi Blodbrist kan uppkomma både genom hemolys av röda blodkroppar och genom järnbrist, då det vid PNH utsöndras järn via urinen. Vid hög omsättning av blodkroppar kan brist på folsyra ytterligare spåda på anemin.

Trötthet Trötthet kan delvis bero på anemi men har ofta ett samband med sjukdomsaktivitet (hemolys).

Smärta och funktions-svårigheter Icke viljestyrd muskulatur är beroende av kvävedioxid i blodet för att fungera normalt. Vid PNH konsumeras mycket av kvävet vilket kan leda till kramper i bland annat tarmsystemet och matstrupen och ge upphov till störd svälj-förmåga. Många med PNH upplever andfåddhet. Man kan även få symtom som huvudvärk och nedsatt erektionsförmåga.

Trombos Med PNH ökar risken avsevärt för att bilda proppar i blodkärl. Symtomen beror på var proppen bildas. Plötslig andfåddhet, ensidig nytillkommen ben- eller armsvullnad, nytillkommen smärta av svårare karaktär eller plötsliga bortfall av funktioner (syn, känsel eller muskelstyrka) är symtom som skyndsamt bör utredas för misstänkt proppbildning.

Andfåddhet Många med PNH upplever andfåddhet, man har sett en ökad muskelsammandragning runt kärl och påverkan på blodkärlens inre väggar till exempel i lungorna samt att vissa kan drabbas av mikroskopiska blodproppar.

Mörk urin Detta beror på hemoglobin i urinen.

Diagnostik

Vid misstänkt PNH räcker det med ett vanligt blodprov för att undersöka om det finns en så kallad PNH-klon. Denna klon mäts i procent. Man analyser framför allt hur stor klon man har i granulocyterna, en sorts vita blodkroppar. Vid liten andel PNH-kloner finns sällan behov av någon behandling men tillståndet kommer att följas upp regelbundet. Vid stor andel PNH-kloner och symtom som kommer av PNH kan behandling med komplementhämmare vara aktuellt. Om man hittar en PNH-klon rekommenderas även att man gör ett benmärgsprov för att undersöka att det inte finns någon annan blodsjukdom också, framför allt aplastisk anemi. Dessutom undersöks om det finns tecken på påverkad njur- och hjärtfunktion. Ibland görs även datortomografiundersökning av brösthålan och buken för att utesluta eventuella blodproppar.



Om BEKEMV

BEKEMV innehåller det aktiva ämnet ekulizumab som är en antikropp. Det är en så kallad komplementhämmare som blockerar det egna immunförsvaret. Därmed förhindras attacken på de känsliga PNH-blodkropparna, så att de inte faller sönder, hemolyseras. På så sätt kan många av PNH:s komplikationer, t.ex. blodproppar, njurpåverkan och buksmärtor undvikas. BEKEMV påverkar komplementsystemet, en viktig del av immunförsvaret som ligger bakom hemolysen vid PNH.

Behandling med BEKEMV försämrar den naturliga motståndskraften mot vissa infektioner, däribland meningokocker, som kan orsaka hjärnhinneinflammation och blodförgiftning (sepsis). Därför ska man vaccineras mot meningokocker innan behandlingen startar. Om du inte har vaccinerats minst 2 veckor innan du påbörjar behandling med BEKEMV kommer din läkare att förskriva antibiotika för att minska risken för infektion tills 2 veckor efter att du har vaccinerats.

OBSERVERA: Om du har hereditär fruktosintolerans så ska du inte använda detta läkemedel.

Hur ges BEKEMV?

BEKEMV ges som en intravenös infusion, dropp i blodet. Sjukvårdspersonal ger behandlingen, som delas in i två faser:

Initialfas:

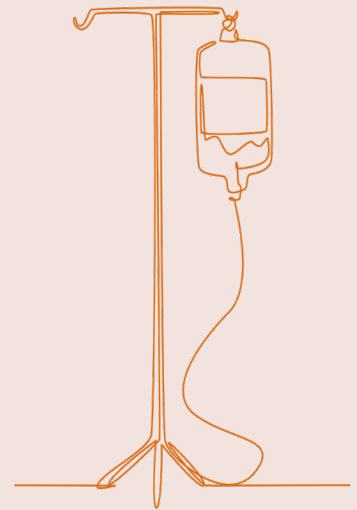
De första fyra veckorna får du en behandling i veckan.

Underhållsfas:

Den femte veckan får du en högre dos.

Efter den femte veckan fortsätter behandlingen en gång varannan vecka, som en tillsvidarebehandling.

Varje infusion tar ca 25-45 minuter. Efter varje infusion kommer du att övervakas under cirka en timme.



Biverkningar

Som alla läkemedel kan BEKEMV orsaka biverkningar, men alla användare behöver inte få dem.

Tala med din sjuksköterska eller läkare om du upplever biverkningar.

Den vanligaste biverkan, som förekommer hos fler än 1 av 10 personer är **huvudvärk**.

Den mest allvarliga biverkningen är meningokock-sepsis, till följd av infektion. Kontakta omedelbart läkare om du upplever något av följande symptom:

- Huvudvärk med illamående och kräkningar
- Huvudvärk tillsammans med stelhet i nacke eller rygg
- Feber
- Hudutslag
- Förvirring
- Svår muskelsmärta i kombination med influensaliknande symptom
- Ljuskänslighet



Vanliga frågor och svar

Är sjukdomen ärftlig?

Nej, det är inte en ärftlig sjukdom.

Kan man bota PNH?

Ja, vid en stamcellstransplantation, men då denna behandling har stora risker är det inget man gör i Sverige, då vi har tillgång till komplementhämmare. Det kan emellertid vara aktuellt om man har annan blodsjukdom där denna är aktuell för stamcellstransplantation och i så fall behandlas även PNH.

Måste man behandla PNH?

Nej, det beror på sjukdomspåverkan. En del patienter har ingen eller liten påverkan av sin sjukdom och då ger man inte behandling.

Kan man ge behandling med BEKEMV tidsbegränsat?

Ibland kan man ge behandling 6 månader för att bedöma om man har nytta av behandlingen. Har man nytta av behandlingen brukar behandlingen ges tills vidare. Om man har PNH som inte har skäl nog till behandling rekommenderas ändå behandling under graviditet då risken för PNH-komplikationer är kraftigt ökad.

Kan man göra uppehåll med behandling med BEKEMV ett tag?

Detta rekommenderas inte om det är bedömt att du har nytta av behandlingen. Effekten försvinner och din sjukdomsaktivitet kan komma tillbaka om läkemedlet sätts ut.

Finns det risker med BEKEMV-behandling?

Då det finns en ökad risk för meningokockinfektion (sepsis och hjärnhinneinflammation) är det ett krav att man är vaccinerad mot detta. Dessutom är det viktigt att du söker hjälp vid oklara infektioner, framför allt vid svårare infektioner.

Varför måste jag vaccineras innan jag påbörjar behandling med BEKEMV?

BEKEMV påverkar en del av immunförsvaret, komplementsystemet, vilket gör dig mer känslig att drabbas av infektion av meningokocker (en sorts bakterie) som kan orsaka hjärnhinneinflammation och sepsis (blodförgiftning). Därför är det obligatoriskt att vaccinera sig inför behandling med BEKEMV. Om du inte har vaccinerats minst 2 veckor innan du påbörjar behandling med BEKEMV kommer din läkare att förskriva antibiotika för att minska risken för infektion tills 2 veckor efter att du har vaccinerats.

Ska man undvika graviditet vid behandling med BEKEMV?

Om du är gravid eller ammar, tror att du kan vara gravid eller planerar att skaffa barn, rådfråga läkare. Behandling med BEKEMV påverkar inte fertiliteten. Det finns begränsad erfarenhet kring användning av BEKEMV i samband med graviditet.

Egna frågor:

Läs bipacksedeln noga på www.fass.se.

- ▼ Detta läkemedel är föremål för utökad övervakning.
Detta kommer att göra det möjligt att snabbt identifiera ny säkerhetsinformation.
Du kan hjälpa till genom att rapportera de biverkningar du eventuellt får. Tala med din läkare eller sjuksköterska

AMGEN

www.amgen.se