

## Najważniejsze dane o makroglobulinemii Waldenstroma

Makroglobulinemia Waldenstroma (WM) jest powolnym (wolno rozwijającym się) podtypem chłoniaka nieziarniczego, który wpływa na małe limfocyty (krwinki białe). WM jest rzadką chorobą o współczynniku występowania wynoszącym 6 przypadków na milion osób rocznie w Stanach Zjednoczonych.

Prawdopodobnym początkiem WM jest jedna lub więcej przejętych zmian (mutacji) w DNA pojedynczego limfocyta B. Nowotwór prowadzi do nadmiernej produkcji białka monoklonalnego zwanego „immunoglobuliną M” (IgM), co może prowadzić do zagęszczania się krwi, znanego również jako „zespół nadlepkości krwi”. Białko monoklonalne IgM i obecność WM w szpiku kostnym, węzłach chłonnych i śledzionie może mieć następujące objawy: anemia, zmęczenie, niewyjaśniony spadek masy ciała, powiększone węzły chłonne lub śledziona, słabość i niewyjaśnione krwawienia.

Ponad 90 pacjentów z WM posiada mutację w genie MYD88 w komórkach chłoniaka. Mutacja uruchamia ścieżki, które podtrzymują wzrost i przetrwanie komórek WM.

Ponad 30 procent pacjentów z WM posiada mutację genu CXCR4, która umożliwia komórkom WM powrót do szpiku kostnego.

Dokładny powód występowania WM jest nieznan, chociaż uważa się, że genetyka odgrywa rolę w rozwoju choroby. Wielu pacjentów z WM posiada członka rodziny z WM lub blisko powiązany chłoniakiem, przewlekłą białaczką limfatyczną (PBL) lub szpiczakiem mnogim. Nowotwór pojawia się najczęściej u osób powyżej 60 roku życia, głównie u mężczyzn oraz częściej u osób rasy białej.

Niektórzy pacjenci z WM nie wykazują objawów podczas diagnozy i mogą nie wymagać leczenia przez wiele lat. W takich przypadkach pacjenci są dokładnie monitorowani na objawy w podejściu zwanym „aktywną obserwacją” lub „obserwuj i czekaj”. Aktywne leczenie rozpoczyna się wraz z pojawieniem się objawów.

Nie ma leku na WM, ale chorobę można leczyć. Schematy terapii, do których należy kombinacja środków biologicznych (leczenie stymulujące układ odpornościowy do walki z nowotworem), inhibitorów sygnalizujących (leki, które blokują sygnały wzrostu i przetrwania) i chemoterapii przyniosły obiecujące wyniki. Bezpieczeństwo i wydajność potencjalnych nowych terapii pacjentów z WM, w tym użycie nowych leków i kombinacji leków są sprawdzane w badaniach klinicznych. Ibrutinib jest lekiem zatwierdzonym do leczenia makroglobulinemii Waldenstroma przez amerykańską Agencję Żywności i Leków (ang. FDA), Komisję Europejską i Health Canada.

Aby uzyskać więcej informacji o WM, należy odwiedzić stronę <http://www.iwmf.com/about-wm>.

Sfinansowane przez dotację od Pharmacyclics LLC, An AbbVie Company i Janssen Biotech, Inc.