**Życie z ultrarzadką chorobą hematoonkologiczną wymaga wsparcia**

**Raport Fundacji CARITA nt. sytuacji pacjentów z makroglobulinemią Waldenströma**

**Makroglobulinemia Waldenströma (MW) to ultrarzadka, nieuleczalna, powolnie postępująca rozrostowa choroba układu chłonnego najczęściej występująca u osób w podeszłym wieku. Średnia wieku w trakcie rozpoznaniu to ok. 65-75 lat[[1]](#footnote-1). Fundacja CARITA im. Wiesławy Adamiec przygotowała raport pt. „*Spojrzenie na makroglobulinemię Waldenströma. Perspektywa hematologa, perspektywa pacjenta i perspektywy na przyszłość*” –  pierwsze tego typu opracowanie w pełni poświęcone potrzebom pacjentów zmagających się z tą rzadką chorobą w Polsce. Raport służy przede wszystkim spojrzeniu na diagnostykę i leczenie makroglobulinemii Waldenströma z perspektywy hematologa, chorego, ale również, oprócz teraźniejszości – składania ku spojrzeniu w przyszłość leczenia tej choroby.**

**Największe wyzwanie – diagnoza**

Aktualnie nie posiadamy dokładnych informacji na temat liczby osób chorujących na ma­kroglobulinemię Waldenströma. Nie ma również jednoznacznie określonych czynników ryzyka zachorowania na ten nowotwór. Dokładne oszacowanie liczby chorych w Polsce jest niezwykle trudne. Wyzwaniem nadal pozostaje czas od wystąpienia pierwszych objawów do postawienia diagnozy: u wszystkich pacjentów czas diagnozy wynosił powyżej 3 miesięcy, u ok. 20 proc. przeciągała się ona do ponad 6 miesięcy od pierwszych niepokojących objawów[[2]](#footnote-2). Jak podkreślają eksperci choroba swoimi objawami przypomina szpiczaka, jednak nieprawidłowe komórki mogą znajdować się nie tylko w szpiku kostnym, ale też w węzłach chłonnych. Dlatego objawy mogą być też podobne do tych występujących w przypadku chłoniaka. Do ogólnych symptomów makroglobulinemii Waldenströma możemy zaliczyć: nocne poty, utrata masy ciała, osłabienie[[3]](#footnote-3).

**Na ścieżce do rozpoznania**

Makroglobulinemia Waldenströma diagnozowana jest w oparciu o badanie szpiku. U chorych stwierdza się w nim charakterystyczne komórki – limfoplazmocyty. Czasem wykonuje się badanie histologiczne powiększonego węzła chłonnego i – co bardzo istotne – przeprowadzana jest diagnostyka w kierunku obecności białka monoklonalnego. Wykonywane są też badania molekularne, które pomagają w zaplanowaniu leczenia. U większości chorych (ok. 85%) stwierdza się występowanie mutacji w genie MYD88[[4]](#footnote-4).

**Choroba, którą nie zawsze trzeba leczyć**

Po postawionym rozpoznaniu makroglobulinemii Waldenströma lekarz prowadzący ocenia, czy pacjent już wymaga leczenia, czy rozpoczęcie terapii może być odłożone na później. Choroba jest nieuleczalna, ale lekarze może kontrolować jej przebieg[[5]](#footnote-5). Obecnie celem leczenia makroglobulinemii Waldenströma jest wydłużenie czasu przeżycia pacjenta w dobrym komforcie, lecz nie każdy chory z makroglobulinemią od razu po rozpoznaniu choroby musi mieć wdrożone leczenie. Pacjenci często nie mogą zaakceptować zwlekania z rozpoczęciem leczenia w przypadku rozpoznania nowotworu. Jak wspomina Pani Dorota, pacjentka uczestnicząca w ankiecie przeprowadzonej przez Fundację CARITA: *„Usłyszałam w gabinecie, że to makroglobulinemia Waldenströma, rzadka choroba, na razie nieuleczalna. Że teraz czas na obserwację. Zdziwiłam się i cała moja rodzina. Jak to? Jest nowotwór, wszystko potwierdzone, a na razie żadnej chemioterapii? Przecież tyle się mówi, że choroby trzeba szybko wykrywać i szybko działać, wtedy jest większa szansa na wyleczenie. Jedź do innego lekarza, mówili bliscy, przecież tak nie może być. Może ten lekarz się myli. Nie mylił się. Przy makroglobulinemii nie da się wyciąć konkretnego guza, usunąć operacyjnie każdej chorej komórki. Co więcej, choroba może rozwijać się bardzo powoli. Dlatego leczenie wdraża się, gdy wyniki badań przekroczą pewien pułap, który sygnalizuje, że sytuacja jest bardzo poważna”.*

Dane kliniczne pokazują, że zastosowanie leczenia u pacjenta bezobjawowego niekoniecznie przynosi mu korzyść, gdyż terapia nie wydłuża mu życia, a może narażać niepotrzebnie na ryzyko wystąpienia objawów niepożądanych. Z tego powodu w makroglobulinemii Waldenströma możemy stosować strategię terapeutyczną z angielskiego nazywaną *watch and wait*, czyli obserwuj i czekaj. Oznacza to kontrolowanie i monitorowanie stanu zdrowia chorego, a leczenie wdrażane jest kiedy wystąpią objawy progresji choroby bądź pojawiają się cechy – kliniczne lub widoczne w wynikach badań laboratoryjnych – które wskazują na zasadność rozpoczęcia terapii[[6]](#footnote-6).

**Najpilniejsze potrzeby pacjentów z makroglobulinemią Waldenströma**

Według raportu Fundacji CARITA najpilniejszą potrzebą pacjentów z makroglobulinemią Waldenströma jest dostęp do nowo­czesnego leczenia, dostęp do specjalisty, wiedzy o chorobie i jej leczenia oraz dostęp do pacjenckiej grupy wsparcia. Pacjenci oceniają, że zachorowanie na makroglobulinemię Wal­denströma pogorszyło ich stan psychiczny.Ok. 87 proc. ocenia, że choroba oraz jej leczenie ma wpływ na ich codzienne funk­cjonowanie, a ok. 25 proc. przyznaje, że na co dzień doświadcza bólu. 25 proc. przyznaje, że często doświadcza negatywnych emocji z powodu choroby, ok. 60 proc., że pogorszyła się jakość ich snu.

Pacjenci z makroglobulinemią nie mogą wymienić się doświadczeniami. Stąd często czują się osamotnieni w walce z chorobą. Dlatego ogromną potrzebą jest pacjencka grupa wsparcia, na której można poznać inne osoby zmagające się z tą rzadką chorobą. Otoczenie osób chorych ma trudności z jej akceptacją, dlatego chorowanie na makroglobulinemię Waldenströma wymaga olbrzymiej siły psychicznej.

***"Spojrzenie na makroglobulinemię Waldenströma"* Raport Fundacji CARITA**

Raport powstał z inicjatywy samych chorych, jak opowiada Łukasz Rokicki, prezes Fundacji CARITAim. Wiesławy Adamiec:

*„Zgłosił się do nas pacjent z makroglobulinemią Waldenströma z pytaniem, czy zajmujemy się również pacjentami z innymi chorobami hematoonkologicznymi. Podczas dyskusji okazało się, że pacjenci z makroglobulinemią Waldenströma nie mają organizacji, która ich reprezentuje i wspiera. Jest ich niewielu; pojawiła się kwestia, czy nie moglibyśmy ich wesprzeć, gdyż, podobnie jak szpiczak, jest to choroba hematoonkologiczna, w dodatku na początku czasami mylona ze szpiczakiem. Stwierdziliśmy, że spróbujemy tych pacjentów zrzeszyć, porozmawiać o ich problemach i wyzwaniach, dowiedzieć się, co możemy dla nich zrobić. Potraktowaliśmy to jako kolejne wyzwanie, uznając, że pacjenci hematoonkologiczni powinni się wspierać”.*

Dzięki zaangażowaniu ekspertów: prof. dr. hab. n. med. Ewy Lech-Marańdy, prof. dr. hab. n. med. Krzysztof Giannopoulosa, prof. dr. hab. n. med. Tomasza Wróbla oraz prof. dr. hab. n. med. Krzysztofa Jamroziaka powstała publikacja opisująca spojrzenie na makroglobulinemię Waldenströma z różnych perspektyw. W części poświęconej perspektywie hematologa ujęto spojrzenie systemowe i kliniczne; część druga, poświęcona spojrzeniu pacjenta, zawiera wyniki ankiety przeprowadzonej wśród chorych przez Fundację CARITA, przedstawia historię dwojga pacjentów i oraz rozmowę z prezesem Fundacji, Łukaszem Rokickim. W ostatniej części omówiono białe plamy w terapii oraz prognozowaną przyszłość leczenia. Raport współtworzyli: prof. dr hab. n. med. Ewa Lech-Marańda, prof. dr hab. n. med. Krzysztof Giannopoulos, prof. dr hab. n. med. Tomasz Wróbel oraz prof. dr hab. n. med. Krzysztof Jamroziak.

**\*\*\***

**Fundacja CARITA** powstała w 2010 roku. Założyła ją Wiesława Adamiec, która zachorowała na szpiczaka mnogiego i zdecydowała, że nie zamierza się poddawać a z chorobą można normalnie żyć. Podstawowym celem fundacji jest działanie na rzecz wyrównania szans pacjentów, aby każdy mógł mieć dostęp do najnowszych metod leczenia. Edukacja zarówno w zakresie choroby, jak i praw pacjenta. Służy cennymi radami dla pacjentów oraz ich rodzin. W całej Polsce organizuje spotkania edukacyjne i warsztaty, by wspierać chorych przez cały czas i dbać o to, by polscy pacjenci mogli liczyć na leczenie na najwyższym poziomie.

**Zachęcamy do zapoznania się z raportem:** [**Spojrzenie na Makroglobulinemię Waldenströma**](https://hematoonkologia.pl/uploads/pdf/Spojrzenie_na_Makroglobulinemie_Waldenstroma_2023.pdf)**.**

1. Phekoo KJ, Jack RH, Davies E, Møller H, Schey SA. The incidence and survival of Waldenström's Macroglobulinaemia in South East England. Leuk Res 2008; 32(1): 55-9. [↑](#footnote-ref-1)
2. „Spojrzenie na makroglobulinemię Waldenströma. Perspektywa hematologa, perspektywa pacjenta i perspektywy na przyszłość”, Raport we współpracy z Fundacją Carita im. Wiesławy Adamiec, pod patronatem naukowym Polskiej Grupy Szpiczakowej, dostępny: [hematoonkologia.pl](https://hematoonkologia.pl/informacje-dla-chorych/aktualnosci/id/6601-raport-spojrzenie-na-makroglobulinemie-waldenstr-ma) [↑](#footnote-ref-2)
3. ”Prof. dr hab. n. med. Krzysztof Giannopoulos: Między chłoniakiem a szpiczakiem”, [hematoonkologia.pl](https://hematoonkologia.pl/informacje-dla-chorych/aktualnosci/id/5480-prof-dr-hab-n-med-krzysztof-giannopoulos-miedzy-chloniakiem-a-szpiczakiem) [↑](#footnote-ref-3)
4. „Makroglobulinemia Waldenströma – nowe możliwości leczenia”, [hematoonkologia.pl](https://hematoonkologia.pl/info-o-chorobach/chloniaki-materialy/id/6244-makroglobulinemia-waldenstr-ma-nowe-mozliwosci-leczenia) [↑](#footnote-ref-4)
5. Idem [↑](#footnote-ref-5)
6. „*Makroglobulinemia Waldenströma – nowe możliwości leczenia”,* [hematoonkologia.pl](https://hematoonkologia.pl/info-o-chorobach/chloniaki-materialy/id/6244-makroglobulinemia-waldenstr-ma-nowe-mozliwosci-leczenia) [↑](#footnote-ref-6)