



mądra opieka
na całe życie

OPCJE TERAPEUTYCZNE LECZENIA SUBSTYTUCYJNEGO IMMUNOGLOBULINAMI (IG) W PNO

Materiał może okazać się przydatny w rozmowie lekarza z pacjentem na temat dostępnych na rynku terapii substytucyjnych IgG w leczeniu pierwotnych niedoborów odporności (PNO) oraz w oparciu o preferencje i styl życia pacjenta.

Bilans oczekiwanych korzyści i ryzyka powinien zawsze ocenić lekarz przed rozpoczęciem leczenia.



Zeskanuj kod QR
i wejdź na stronę:

madraopieka.pl





Pierwotne niedobory odporności (PNO)¹

lub inaczej wrodzone błędy odporności, to około 500 zaburzeń spowodowanych niewłaściwym funkcjonowaniem niektórych komórek i/lub białek układu odpornościowego². Są wywoływane przez wady genetyczne (wrodzone i dziedziczne), ale też zdarzają się mutacje *de novo*: to znaczy, że występują u dzieci, ale nie u rodziców. Częstość występowania różni się w zależności od rodzaju PNO.



PNO a niedobory przeciwciał

Ponad połowę wszystkich diagnozowanych przypadków PNO stanowią **zaburzenia produkcji przeciwciał**. Przeciwciała (inaczej immunoglobuliny) to białka będące jednymi z najważniejszych cząsteczek układu odpornościowego. Mają zdolność do łączenia się z antygenem, dzięki czemu chronią nasz organizm przed chorobotwórczymi mikroorganizmami, takimi jak bakterie, wirusy, grzyby czy pasożyty.



Klasy przeciwciał i odpowiedź immunologiczna³

Przeciwciała – w zależności od różnic w budowie – można podzielić na **pięć klas: IgA, IgD, IgE, IgG i IgM**. Największą rolę w odpowiedzi immunologicznej mają przeciwciała klasy **IgG**, które występują we krwi w największym stężeniu.



Antygen to cząsteczka, która wywołuje odpowiedź immunologiczną – mogą nimi być np. fragmenty drobnoustrojów.



U osób z niedoborami odporności, dotkniętych zaburzeniami wytwarzania przeciwciał, nie działa właściwie system obrony przed drobnoustrojami. Pierwsze objawy pojawiają się zwykle po 3–24 miesiącach od urodzenia, kiedy maleje stężenie przeciwciał, które noworodki otrzymują od matki.

Do niedoborów odporności z zaburzeniami wytwarzania przeciwciał należą m.in.:

-  agammaglobulinemia sprzężona z chromosomem X (agammaglobulinemia Brutona),
-  agammaglobulinemia dziedziczona autosomalnie recesywnie,
-  ciężki złożony niedobór odporności (SCID, ang. *Severe Combined Immunodeficiency*).

Inne jednostki chorobowe, rozpoznawalne dopiero między 2. a 4. dekadą życia, to:

-  pospolity zmienny niedobór odporności (CVID, ang. *Common Variable Immunodeficiency*),
-  niedobory podklas IgG.



Diagnostyka^{1,3}

Pierwszym niepokojącym objawem, które wskazuje na PNO, mogą być **infekcje**, przebiegające poważniej, częściej i dłużej niż u zdrowych osób. Zdarza się, że takie infekcje są powodowane przez drobnoustroje, które u osób bez PNO nie wywołują żadnych objawów chorobowych.

U pacjenta z podejrzeniem PNO pierwszym krokiem jest przeprowadzenie **dokładnego wywiadu lekarskiego i badania przedmiotowego u lekarza pierwszego kontaktu**, w tym pomiaru wzrostu i masy ciała, a dodatkowo – wykonanie **morfologii z rozmazem**.



Dalsza diagnostyka zakłada **ilościowe oznaczenie immunoglobulin**, oznaczenie odpowiedzi na szczepienie, analizę podklas immunoglobulin w klasie IgG, a niekiedy wielu innych badań, w tym testów genetycznych. Część z tych badań może zlecić tylko specjalista immunolog.

W przypadku dobrze poznanych i częściej występujących typów niedoborów odporności **właściwie przeprowadzone wywiad i badania mogą dać odpowiedź na wczesnym etapie ścieżki diagnostycznej.**



Terapia substytucyjna IgG^{1,4}

U pacjentów z PNO z zaburzeniem wytwarzania przeciwciał IgG terapią pierwszego wyboru jest **terapia substytucyjna, inaczej uzupełniająca** (IgRT, ang. *Immunoglobulin Replacement Therapy*), która pozwala **uzupełnić brakujące przeciwciała**. Ma ona na celu zmniejszenie częstości występowania infekcji.

Miernikiem powinno być nie tyle stężenie immunoglobulin we krwi, co stan kliniczny pacjenta. **Nie wszyscy pacjenci z PNO mają wskazania do otrzymywania immunoglobulin** – decyzję w tej sprawie powinien podjąć lekarz immunolog na podstawie m.in. typu rozpoznanego PNO.



Terapia substytucyjna immunoglobulinami jest podstawowym leczeniem stosowanym u większości osób z PNO. Terapia ta zapewnia ochronę nie tylko przed infekcjami, lecz także częściowo przed objawami autoimmunologicznymi (czasem zwanymi chorobami z autoagresji – to stan, kiedy układ odpornościowy pacjenta atakuje jego własne, zdrowe komórki). Leczenie za pomocą IgG to terapia trwająca całe życie. Jest oceniana jako skuteczna i bezpieczna, jeśli stosuje się ją regularnie i przestrzega dawek ustalonych przez lekarza.



Terapie stosowane w leczeniu objawów PNO mogą:

- zmniejszyć częstość i nasilenie infekcji,
- leczyć lub łagodzić objawy współistniejące,
- zapobiegać nieodwracalnym zmianom w układach oddechowym i pokarmowym, najczęściej narażonych na uszkodzenie przez powtarzające się poważne infekcje.

Immunoglobuliny są podawane dożylnie lub podskórnie. O wyborze metody podania leku decydują takie czynniki jak:

- dawkowanie,
- sposób podania,
- miejsce podania,
- częstość podania,
- inne czynniki kliniczne analizowane przez immunologa.

W większości przypadków **podskórna terapia immunoglobulinami może być prowadzona w warunkach domowych** – lek może być podawany samodzielnie, przez opiekuna lub przez osobę bliską, po odpowiednim przeszkoleniu przez personel medyczny w szpitalu. Ograniczenie koniecznych wizyt w szpitalach lub klinikach znacznie podnosi komfort życia, a także zmniejsza wpływ stosowanej terapii na sprawy osobiste i zawodowe².



Możliwe działania niepożądane

Jak każde leczenie, terapia immunoglobulinami może mieć działania niepożądane, lecz nie u wszystkich pacjentów one wystąpią.

Najczęstsze działania niepożądane obejmują m.in. ból głowy, wysokie ciśnienie krwi, biegunkę lub nudności, wysypkę, odczyny miejscowe, gorączkę lub uczucie zmęczenia. Poważne działania niepożądane, takie jak aseptyczne zapalenie opon mózgowych czy silne reakcje alergiczne, zdarzają się niezbyt często.



Bilans oczekiwanych korzyści i ryzyka powinien zawsze ocenić lekarz przed rozpoczęciem leczenia. Wszystkie wątpliwości dotyczące działań niepożądanych należy skonsultować z lekarzem specjalistą.



Terapia podskórna – podawana w domu^{5,6}



Jest to terapia odpowiednia dla Ciebie, jeśli:

- chcesz brać aktywny udział we własnym leczeniu,
- preferujesz podawanie mniejszych objętości leku (Ig – immunoglobulin) częściej, niż większych objętości w dłuższych odstępach czasu
- masz utrudniony dostęp do placówki leczniczej, np. mieszkasz daleko od szpitala, lub chcesz po prostu rzadziej odwiedzać szpital,
- jesteś opiekunem pacjenta, któremu chcesz podawać lek w warunkach domowych.



Zalety:

- bardzo krótki czas infuzji (około godziny),
- łatwość podania,
- możliwość podania leku samodzielnie lub przez opiekuna – po odpowiednim przeszkoleniu przez personel medyczny w szpitalu,
- zazwyczaj 1 miejsce lub 2 miejsca podania,
- infuzja co tydzień lub co 2 tygodnie.



Pamiętaj!

Dawka Ig jest obliczana indywidualnie dla każdego pacjenta, dlatego należy ją podawać z zachowaniem dokładności i zgodnie z zaleceniami lekarza. Infuzje Ig muszą się odbywać regularnie, według ustalonego harmonogramu, aby poziom Ig we krwi pozostawał wystarczający, by chronić przed infekcjami. Każdą wątpliwość dotyczącą stosowanego preparatu należy zgłaszać lekarzowi lub pielęgniarce.

* SCIg, z ang. *Subcutaneous Immunoglobulin*.



Terapia podskórna wspomagana hialuronidazą ludzką – podawana w domu⁷⁻⁹



Jest to terapia odpowiednia dla Ciebie, jeśli:

- ♥ cenisz aktywny i niezależny tryb życia z jednoczesnym dostępem do nowoczesnej terapii Ig podawanej raz w miesiącu,
- ♥ chcesz się leczyć w domu, niezależnie od szpitala,
- ♥ kluczowym elementem jest dla Ciebie częstość infuzji Ig (zgodnie z zasadą: „im rzadziej, tym lepiej”),
- ♥ chcesz prowadzić aktywne życie zawodowe i prywatne,
- ♥ cenisz sobie elastyczny schemat infuzji, ich częstotliwość i objętość dawek Ig.



Zalety:

- ♥ terapia Ig wspomagana hialuronidazą ludzką, dzięki której zwiększa się przepływ leku do tkanki i krwiobiegu, co pozwala podać większą objętość Ig,
- ♥ krótki czas infuzji (2 godziny),
- ♥ dawka podawana raz w miesiącu,
- ♥ możliwość podania leku samodzielnie lub przez opiekuna – po odpowiednim przeszkoleniu przez personel medyczny w szpitalu,
- ♥ zazwyczaj 1 miejsce infuzji.



Pamiętaj!

Dawka Ig jest obliczana indywidualnie dla każdego pacjenta, dlatego należy ją podawać z zachowaniem dokładności i zgodnie z zaleceniami. Infuzje Ig muszą się odbywać regularnie, według ustalonego harmonogramu, aby poziom Ig we krwi u osób z PNO pozostawał wystarczający, by chronić przed infekcjami. Każdą wątpliwość dotyczącą stosowanego preparatu należy zgłaszać lekarzowi lub pielęgniarce.

* fSClg, z ang. *Facilitated Subcutaneous Immunoglobulin*.



Terapia dożylna – podawana w szpitalu¹⁰

IVIg*



Jest to terapia odpowiednia dla Ciebie, jeśli:

- z powodów medycznych lub innych musisz otrzymywać infuzje dożylne,
- występują u Ciebie przeciwwskazania medyczne do podskórnej infuzji w domu.



Zalety:

- duża dawka w jednym podaniu,
- dawka podawana raz w miesiącu,
- wlew podany dożylnie przez wykwalifikowany personel medyczny,
- 1 miejsce infuzji.



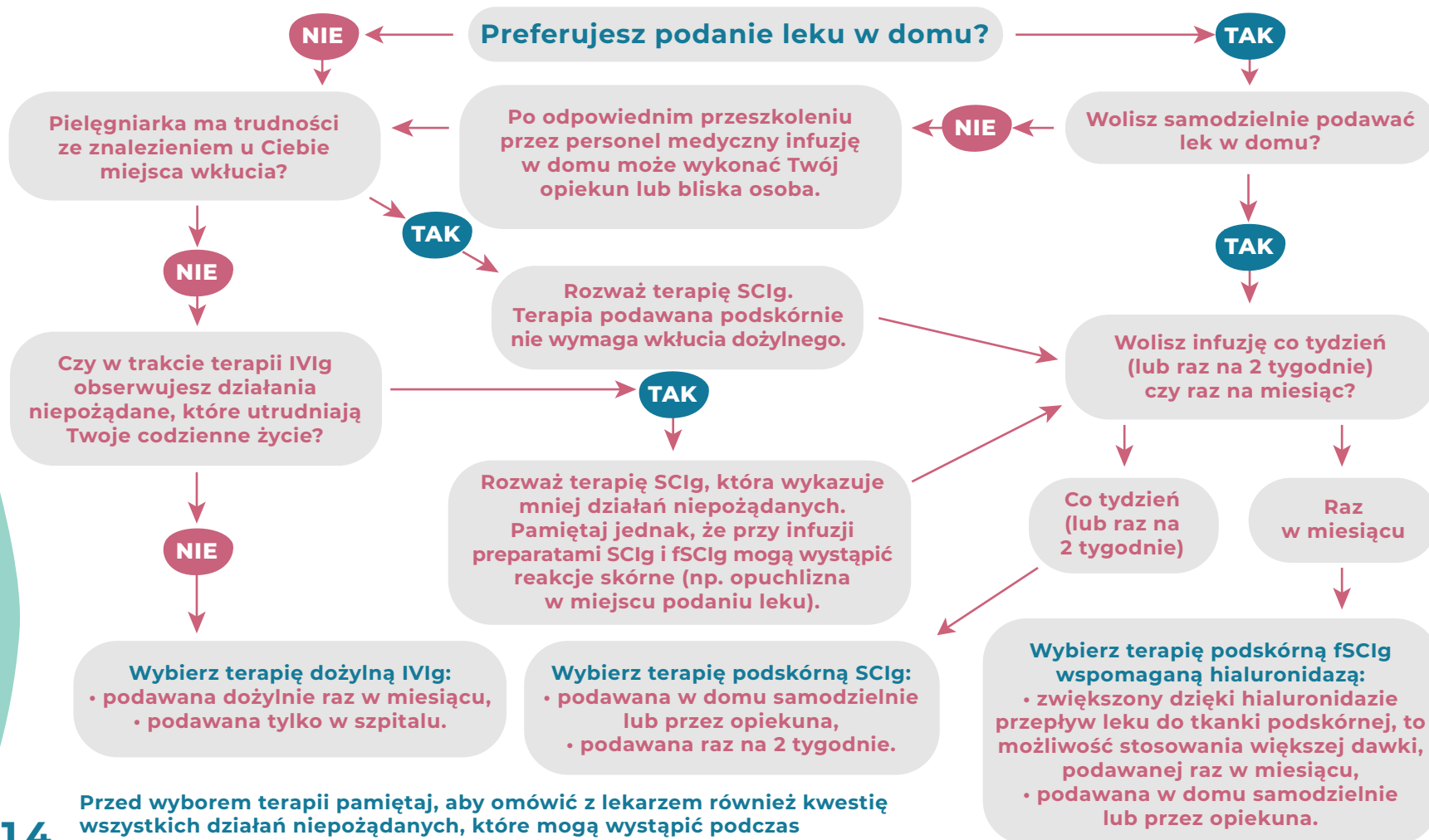
Pamiętaj!

Preparatów Ig nie można stosować zamiennie. Są one dopasowywane indywidualnie do potrzeb klinicznych i stylu życia każdego pacjenta. Dawki należy podawać regularnie, zgodnie z ustalonym harmonogramem i zaleceniami, aby poziom Ig we krwi pozostawał wystarczający, by chronić przed infekcjami. Wszystkie wątpliwości dotyczące stosowanego preparatu należy zgłaszać do lekarza lub pielęgniarki.

* IVIg, z ang. *Intravenous Immunoglobulin*.

Dopasuj rodzaj terapii do swojego stylu życia

Poniższy diagram może okazać się przydatny podczas rozmowy z lekarzem o Twoich preferencjach co do wyboru terapii substytucyjnej IgG. Podczas rozmowy z lekarzem, poza klinicznymi przesłankami odnośnie stanu Twojego zdrowia, pozwoli rozpoznać Twoje potrzeby związane z terapią podskórną immunoglobulinami w domu związane m.in. z czasem podania leku oraz prędkością i liczbą miejsc infuzji Ig.



Porównanie 3 rodzajów terapii⁵⁻¹⁰

	Terapia podskórna	Terapia podskórna wspomagana hialuronidazą	Terapia dożylna
Miejsce leczenia dom / szpital	 dom lub szpital	 dom lub szpital	 szpital
Czas infuzji mediana czasu infuzji (na podstawie wyników badania klinicznego ^{6,9})	 < 1 godz.	 ~ 2 godz.	 ~ 2,5 godz.
Częstotliwość infuzji liczba infuzji w miesiącu	 co 1 lub 2 tyg.	 1 w miesiącu	 1 w miesiącu
Liczba miejsc infuzji mediana liczby miejsc infuzji	 1-2 miejsca	 1 miejsce	 1 miejsce
Opcje leczenia podanie	 samodzielnie	 samodzielnie	 nadzór lekarza
dostęp dożylny	 bez konieczności dostępu dożylnego	 bez konieczności dostępu dożylnego	 dostęp dożylny konieczny

Tabela przedstawia porównanie między terapiami firmy Takeda: preparat immunoglobuliny podskórnej 20%, preparat immunoglobuliny podskórnej 10% wspomaganej rekombinowaną hialuronidazą ludzką, preparat immunoglobuliny dożylny 10%.



Bibliografia

1. Immune Deficiency Foundation Patient & Family Handbook for Primary Immunodeficiency Diseases; <https://primaryimmune.org/sites/default/files/publications/IDF%20Patient%20%26%20Family%20Handbook%20for%20Primary%20Immunodeficiency%20Diseases%2C%206th%20Edition.pdf>, dostęp: 05/2023.
2. Tangye SC. et al., *J Clin Immunol.* 2022 Oct; 42(7): 1473–1507.
3. Gołąb J., Jakóbisiak M., Lasek W., Stokłosa T., *Immunologia*, wydanie VII, Warszawa 2021.
4. *Terapia substytucyjna immunoglobulinami: jeden rozmiar nie pasuje do wszystkich*, wydanie I, International Patient Organisation for Primary Immunodeficiencies (IPOPI), 2016.
5. Na podstawie Charakterystyki Produktu Leczniczego: <https://rejestrmedyczne.ezdrowie.gov.pl/api/rpl/medicinal-products/37665/characteristic>, dostęp: 05/2023.
6. Suez D. et al. *Immunotherapy* 2019; 11(12): 1057–1065.
7. Na podstawie Charakterystyki Produktu Leczniczego: https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/hyqvia-epar-product-information_pl.pdf, dostęp: 05/2023.
8. Petersson C. et al, *J Clin Nurs.* 2018; 00: 1–9.
9. Wasserman RL. et al, *J Allergy Clin Immunol.* 2012; 130(4): 951–957.
10. Na podstawie Charakterystyki Produktu Leczniczego: https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2016/20160602135156/anx_135156_pl.pdf, dostęp: 05/2023.



Treść niniejszego materiału została przygotowana w ramach konsultacji merytorycznych z **doktorem Dariuszem Sołdackim** – immunologiem klinicznym z Kliniki Chorób Wewnętrznych, Pneumonologii, Alergologii i Immunologii Klinicznej Wojskowego Instytutu Medycznego w Warszawie.

Firma Takeda serdecznie dziękuje Panu Doktorowi za wsparcie w tworzeniu materiału.





Serwisy oferowane pacjentom z pierwotnymi niedoborami odporności (PNO), korzystającym z terapii Takeda*:



dostawy domowe preparatów immunoglobulin Takeda dla pacjentów z PNO,



zespół wykwalifikowanych Koordynatorek Klinicznych Takeda, wspierających pacjentów z PNO w edukacji i codziennej terapii,



Kompendium wiedzy o pierwotnych niedoborach odporności dla pacjentów, ich rodzin i opiekunów.

* Wybrane serwisy dostępne jedynie dla pacjentów z PNO będących na terapii Takeda. Serwisy wdrożone w wybranych ośrodkach leczących PNO. W celu uzyskania dodatkowych informacji prosimy o kontakt z lekarzem.



Materiał edukacyjny, przygotowany z inicjatywy i sponsorowany przez Takeda.

Niniejszy materiał nie powinien być traktowany jak profesjonalna porada medyczna. W celu uzyskania dodatkowych informacji prosimy o kontakt z lekarzem.

C-ANPROM/PL/IG/0249, 05/2023.
Copyright © 2023 Takeda
Pharmaceutical Company Limited.
Wszystkie prawa zastrzeżone.
Wszystkie znaki handlowe
są własnościami ich
prawowitych właścicieli.

Takeda Pharma Sp. z o.o.
ul. Prosta 68
00-838 Warszawa, Polska
telefon: +48 22 608 13 00 lub 01
faks: +48 22 608 13 03
www.takeda.com/pl-pl/



Mądra Opieka na Całe Życie

Każda droga życiowa Pacjenta z PNO jest niepowtarzalna. Naszym zdaniem takie też powinno być leczenie – dostosowane do Twoich indywidualnych potrzeb i stylu życia.

Z biegiem lat wsparcie, którego potrzebujesz, będzie się zmieniać razem z Tobą.

Takeda chce towarzyszyć Ci na każdym etapie tej podróży, oferując serwisy oraz programy opieki dopasowane do Twoich indywidualnych potrzeb: od przesiewowych badań diagnostycznych, przez dostęp do innowacyjnej terapii, po serwisy, które wspierają i monitorują Twoje leczenie.

W firmie Takeda uważamy, że to Twoje potrzeby terapeutyczne wyznaczają tory naszych działań.

Jesteś w centrum wszystkiego, co robimy: zapewniamy Mądrą Opiekę na Całe Życie.



**Zeskanuj kod QR i wejdź na stronę,
aby dowiedzieć się więcej o PNO:**

madraopieka.pl