

PRIMAARNE IMMUUNPUUDULIKKUS



RAVI PLASMATOODETEGA



MÕNED ÜLDISED LÜHENDID

C1-INH	C1 esterase inhibitor – C1 esteraasi inhibiitor
CVID	Common variable immunodeficiency – üldine variaabel immuunpuudulikkus
HAE	Hereditary angioedema – pärilik angioödeem
Hyper IgM	X-linked hyperimmunoglobulin M syndrome – X-liiteline hüperimmuunglobuliin M sündroom
IG	Immunoglobulin (antibody) – immuunglobuliin (antikeha)
IV	Intravenous – intravenoosne
PID	Primary immunodeficiencies – primaarne immuunpuudulikkus
SC	Subcutaneous – subkutaanne
SCID	Severe combined immunodeficiency – raske kombineeritud immuunpuudulikkus
WAS	Wiskott-Aldrich syndrome – Wiskott Aldrich sündroom
XLA	X-linked (or Bruton's) agammaglobulinemia – X-liiteline (või Brutoni) agammaglobulineemia

Primaarne immuunpuudulikkus – Ravi plasmatoodetega (Esimene väljaanne), detsember, 2013

© International Patient Organisation for Primary Immunodeficiencies (IPOPI), 2013

Välja antud IPOPI poolt (www.ipopi.org)

SISSEJUHATUS

See brošüür esitab informatsiooni ravist plasmatoodetega, mida kasutatakse primaarse immuunpuudulikkuse ravimiseks.

Primaarne immuunpuudulikkus on rühm harvaesinevaid haigusseisundeid, mille põhjuseks on immuunsüsteemi mingi komponendi (peamiselt rakkude ja/või valkude) funktsiooni häire. Normaalselt aitab immuunsüsteem kaitsta organismi infektsioonide vastu, mida põhjustavad mikroobid, nagu bakterid, viirused või seened. Patsientidel primaarse immuunpuudulikkusega esineb seetõttu infektsioone rohkem kui teistel inimestel.

Primaarse immuunpuudulikkuse enamuse vormide puhul toodab organism liiga vähe või puudulikult funktsioneerivaid immuunglobuliine (IG), mida nimetatakse ka antikehadeks. Immuunglobuliinid on immuunsüsteemi oluline osa, kuna nad tunnevad ära ja ründavad mikroobe, mis võivad põhjustada infektsioone.

Ravi plasmatoodetega on eluks vajalik ravimeetod, mida kasutatakse erinevate harvaesinevate haiguste, sealjuures primaarse immuunpuudulikkuse ravis. Neid tooteid valmistatakse doonorite vereplasmast. Immuunglobuliiniasendusravi on peamine ravi plasmatoodetega, mida kasutatakse primaarse immuunpuudulikkuse ravis. See toode sisaldab immuunglobuliine tervetelt doonoritelt, mis aitab kaitsta paljude infektsioonide vastu ja vähendab autoimmuunseid sümptomeid. Seda ravi kasutatakse primaarse immuunpuudulikkuse erinevate vormide ravis:

- Üldine variaabel immuunpuudulikkus (CVID)
- X-liiteline agammaglobulineemia (XLA)
- X-liiteline hüperimmuunglobuliin M sündroom (hyper IgM)
- Wiskott-Aldrich sündroom (WAS)
- Raske kombineeritud immuunpuudulikkus (SCID) ja teised kombineeritud immuunpuudulikkuse vormid

Immuunglobuliiniasendusravi on eluaegne eluks vajalik ravi ja kuna primaarne immuunpuudulikkus on krooniline häire, siis peab manustama regulaarselt. On oluline, et te ei jäta ravi vahele ega unusta, kuna iga manustamine annab ainult ajutise kaitse infektsioonide vastu.

Teist tüüpi plasmatooteid kasutatakse päriliku angioödeemiga (HAE) patsientide raviks. Neil patsientidel puudub või ei funktsioneerii piisavalt immuunsüsteemi komponent C1 esteraasi inhibiitor C1 INH, mistõttu neile võidakse määrata C1-INH kontsentrati põletikusümptomite raviks, mis kaasnevad angioödeemiga.

Varajane diagnoos ja vastava ravi rakendamine võimaldab paljudel primaarse immuunpuudulikkusega patsientidel elada normaalselt ja aktiivselt.

ARSTI VALIKU JA PATSIENDI EELISTUSTE OLULISUS

Primaarse immuunpuudulikkuse ravi viiakse läbi keskustes arstide poolt, kes diagnoosivad ja ravivad immuunpuudulikkust. Ravi, mida te saate, sõltub paljudest teguritest, nagu primaarse immuunpuudulikkuse vorm ja kas teil on lisaks veel teisi haigusi.

Kasutusel on erinevad plasmast valmistatud preparaadid ja kuna need on bioloogilised tooted, siis neil on ühesugune kvaliteet. Kuna need on kõik efektiivsed ravimid, siis erinevused mõjutavad näiteks nende sobivust üksikutel patsientidel, manustamise kestvust ja võimalikke kõrvaltoimeid. Plasmast valmistatud ravimid ei ole geneerilised ravimid.

Oluline on, et te olete teadlik kõigist ravivõimalustest ja arutate arstiga, mis oleks kõige sobivam ravi teie haiguse puhul. Ka perekond ja hooldajad võivad osaleda nende otsuste tegemisel.

Te peate arvestama järgmisi aspekte, mis on olulised primaarse immuunpuudulikkuse ravis:

- efektiivsus
- intervall ravimi manustamiste vahel
- kõrvaltoimed
- manustamise kestvus
- manustamine kodus või haiglas
- isemanustamise võimalus pärast koolitust
- kasutamise lihtsus
- ohutus
- valutus

IMMUUNGLOBULIINIASENDUSRAVI TEOSTAMINE

Immuunglobuliini manustatakse infusioonina (või tilkadena) kas intravenoosselt (IV) või subkutaanselt (SC).

Intravenoosne meetod: Sel puhul viiakse immuunglobuliin otse vereringesse veeni kaudu. Peamine eelis sellel meetodil on, et saab manustada tunduvalt suuremaid immuunglobuliini annuseid kui subkutaansel meetodil ja seetõttu saab manustada 3-4 nädalaste intervallidega. Iga infusioon kestab 2-4 tundi ja tehakse haiglas arsti või õe poolt. Õde või koolitatud hooldaja võib manustada ravimit ka kodus. Kerged kõrvaltoimed võivad esineda infusiooni ajal või pärast infusiooni (täpsemalt allpool).

Subkutaanne meetod: Subkutaanse meetodi puhul manustatakse immuunglobuliin õlavarre, kõhu, reie või tuharate naha alla kasutades infusioonipumpa (süstla juhtija) või kiiret tõuke (push) tehnikat. Kiire tõuketehnika on lihtne meetod, mille puhul süstal lükkab immuunglobuliini naha alla kiirusega, mis Teile sobib.

Subkutaanne infusioon kestab lühemat aega (1-2 tundi) kui intravenoosne infusioon, nii et see võib sobida paremini päevaplaani ja olla mugavam. Kuna sellel meetodil saab manustada ainult väikesi immuunglobuliini annuseid, siis tavaliselt manustatakse vähemalt üks kord nädalas. Suuremaid doose võib manustada, kasutades mitut süste kohta. Teie ise või teie hooldaja võib teha subkutaanseid infusioone kodus pärast vastavat koolitust. Kui teie või teie hooldaja tahab manustada immuunglobuliini, siis te peate oskama jälgida annuseid ja pidama ravipäevikut. Nõusolek ja oskus ise manustada on oluline, et otsustada, kas see on parim raviviis.

	INTRAVENOOSNE MEETOD	SUBKUTAANNE MEETOD
Kestvus	2 -4 tundi	Infusioonipump: 1 -2 tundi Kiire tõukemeetod: 5 -20 minutit
Sagedus	3 -4 nädala tagant	Infusioonipump: vähemalt kord nädalas (iga 2 -3 nädala tagant väikelastel/imikutel)
Koht	Tavaliselt haiglas	Kodus
Kõrvaltoimed	Mõni patsient tunneb ennast halvasti ravi ajal või kohe pärast ravi	Mõnikord valu ja turse süste kohal

MILLISED ON VÕIMALIKUD KÕRVALTOIMED?

Enamusel patsientidel ei esine olulisi kõrvaltoimeid immuunglobuliiniasendusravi puhul, kuid mõnel patsiendil võivad olla järgmised nähud:

- peavalu
- pearinglus, minestus või nõrkustunne
- külmavärinad, palavik
- haiglane tunne
- naha sügelemine ja punetus
- liigesevalud
- südamepekslemine

Need kõrvaltoimed esinevad harvem subkutaansel manustamisel kui intravenoosse meetodi puhul. Siiski võivad ka subkutaansed infusioonid põhjustada turse ja valu süste kohtades.

Enamik kõrvaltoimeid taanduvad oluliselt infusioonikiiruse vähendamisel ja hea hüdratatsiooni tagamisel enne infusiooni ja selle ajal (alkoholi ei või tarbida dehüdratatsiooni vältimiseks).

Kõrvaltoimed on sagedasemad, kui esineb infektsioon, mis nõuab ravi. Seetõttu on väga oluline öelda arstile, kui te ei tunne ennast hästi.

Raskemad kõrvaltoimed, nagu aseptiline meningiit, punaste vereliblede hulga vähenemine (hemolüütiline aneemia), trombemboolilised nähud (verehüübed) ja rasked allergilised reaktsioonid esinevad äärmiselt harva.

Te peate jälgima infektsiooni sümptomeid ja teatama neist kiiresti oma raviarstile.

REISIMINE

Te peate olema kindlad, et olete teinud kõik ettevalmistused, kui te kavatsete reisida välismaale, ja arutama oma reisiplaane ka arstiga.

PÄRILIK ANGIOÖDEEM

Päriilik angioödeem on päriilik häire, mis on tingitud valgu C1 inhibiitori (C1-INH) madalast tasemest või puudulikust funktsioonist. C1 inhibiitor on oluline põletike puhul, kontrollides C1 taset, mis on komplemendisüsteemi (immuunsüsteemi osa) esimene komponent. Haigust iseloomustavad ägedad turseatakid, mis võivad haarata erinevaid piirkondi, nagu käed, jalad, nägu, hingamisteed ja sooletrakt. Need atakid võivad kesta mitu päeva. Turse hingamisteedes on eriti ohtlik ja nõuab kohest ravi. Mõnel haigel esinevad atakid 1 -2 korda aastas, osal aga iga mõne päeva tagant. Enamasti ei ole ataki vallandajad täiesti kindlad, küll aga on teada, et traumad, infektsioonid ja stress võivad vallandada ataki.

Plasmast valmistatud C1 inhibiitorit saab kasutada turseatakkide vältimiseks ja raviks. Neid tuleb süstida või manustada infusioonina intravenoosselt kas haiglas või kodus. Teie ise või teie hooldaja võib ravimit manustada, kui olete saanud vastava koolituse. On välja töötatud ka alternatiivne rekombinantne C1 inhibiitor.

Turse hingamisteedes võib olla eluohtlik, mistõttu on oluline, et te saate ravi kohe, kui tunnete ataki esimesi sümptomeid.

RAVI VALIKUD

Immuunglobuliinid on kasutusel enamuses riikides ja Rahvusvaheline Primaarse Immuunpuudulikkusega Patsientide Organisatsioon (IPOPI) on koostanud võrdleva tabeli immuunglobuliini preparaatidest erinevates riikides, mis toodud organisatsiooni kodulehel www.ipopi.org.

Igal preparaadil on väikesed erinevused, nii et mõni ravim võib teile paremini sobida kui teine. Teie arst saab seda küsimust teiega arutada enne ravi alustamist.

Immuunglobuliinipreparaatide omadused, mida peab arvestama, on järgmised:

IgA tase	Tase peab olema võimalikult madal patsientide puhul, kellel on anamneesis raskeid allergilisi reaktsioone.
Infusiooni meetod	Subkutaanne meetod võib olla sobivam patsientidele, kes eelistavad ravi kodus, või patsientidel raskesti punkteeritavate veenidega. Intravenoosne meetod võib olla sobivam mõnel täiskasvanud patsiendil pika intervalli tõttu manustamistel või patsientidel, kes ei taha ise manustada. Patsientidele teiste terviseprobleemidega või kellel on keeruline järgida annuseid, võib olla parem saada ravi haiglas.
Vedeliku koormus	Vältida patsientidel vedeliku piirangutega ja imikutel.
Stabilisaatorid	Immuunglobuliinile lisatakse stabilisaatoritena suhkruid ja aminohappeid.
Sahharoos	Vältida neerukomplikatsioonide riskiga patsientidel.
Glükoos	Vältida diabeedihaigetel.
Aminohapped	Vältida patsientidel, kellel on anamneesis rasked allergilised reaktsioonid, ja teatud ainevahetushäirete puhul.
Naatrium	Vältida patsientidel kardiovaskulaarse riski puhul.
Kõrge kontsentratsioon	Vältida patsientidel kardiovaskulaarse riski puhul ja imikutel.

KUIDAS IMMUNGLOBULIINIPREPARAATE TOODETAKSE?

Immuunglobuliinipreparaadid on valmistatud tervete doonorite vereplasmast. Immuunglobuliini tase varieerub tervetel inimestel, nii et suurelt hulgalt inimestelt saadud plasma tagab, et see sisaldab paljude antikehade kõrgeid kontsentratsioone.

Kuna immuunglobuliinipreparaadid pärinevad kas doonori verest (eraldatud plasma) või plasmast (allikas – plasma), siis on oluline, et neid on ohutu kasutada ja nad ei sisalda mikroobe, mis võiksid põhjustada infektsioone. Immuunglobuliinipreparaatide suhtes on täpsed ohutuse nõuded. Kuna kõigil bioloogilistel preparaatel on väga minimaalne risk infektsioonide suhtes, siis immuunglobuliinide puhul on see risk muudetud minimaalseks järgmiste meetmete abil:

Doonorite valik: Valiku läbiviimine tagab, et doonorid on terved.

Testimine: Doonoriverd testitakse ja saastunud veri visatakse ära.

Viiruste elimineerimine: Lisaetapid tootmisprotsessis tagavad viiruste inaktiveerimise ja/või eemaldamise

LISAINFORMATSIOON JA TOETUS

See brošüür on välja antud Rahvusvahelise Primaarse Immuunpuudulikkusega Patsientide Organisatsiooni (International Patient Organisation for Primary Immunodeficiencies – IPOPI) poolt. Teised brošüürid on ka selles sarjas.

Lisainformatsiooni ja üksikasjade saamiseks primaarse immuunpuudulikkusega patsientide organisatsioonide kohta 47 riigis vaata www.ipopi.org.

Eesti Primaarse Immuunpuudulikkusega Patsientide Ühing
Juhan Liiva | Dr Sirje Velbri | epspi.contact@gmail.com

Baxter

Toetatud Baxter Healthcare Corporation koolitusprogrammi poolt