

Chronische myeloïde leukemie

Wat is
chronische myeloïde
leukemie?

We leggen het u
graag uit.

www.antikankerfonds.org | www.esmo.org

CHRONISCHE MYELOÏDE LEUKEMIE: GIDS VOOR PATIËNTEN

PATIËNTENINFORMATIE OP BASIS VAN DE ESMO-RICHTLIJNEN

Deze gids voor patiënten werd gemaakt door Het Antikankerfonds om patiënten en hun familie te helpen een beter inzicht te krijgen in chronische myeloïde leukemie (CML) en de bijhorende behandelingsopties. We raden de patiënten aan om hun artsen te vragen welke tests of behandelingen nodig zijn voor hun ziekte en ziektestadium. De medische informatie in deze gids is gebaseerd op de medische praktijkaanbevelingen van de European Society for Medical Oncology (ESMO) voor de behandeling van chronische myeloïde leukemie. Deze gids voor patiënten is opgesteld in samenwerking met ESMO en wordt verspreid met de toestemming van ESMO. Hij is geschreven door een arts en nagelezen door twee oncologen van ESMO, waaronder de verantwoordelijke voor de overeenkomstige clinical practice guidelines voor professionals. Hij is ook nagelezen door patiëntenvertegenwoordigers van de 'Cancer Patient Working Group' van ESMO.

Meer informatie over Het Antikankerfonds: www.antikankerfonds.org

Meer informatie over de European Society for Medical Oncology: www.esmo.org

Woorden die met een sterretje zijn aangeduid, worden achteraan dit document uitgelegd.

Inhoudsopgave

Definitie van chronische myeloïde leukemie (CML)	3
Komt chronische myeloïde leukemie vaak voor?	3
Wat veroorzaakt chronische myeloïde leukemie?	4
Hoe wordt de diagnose van chronische myeloïde leukemie gesteld?	5
Wat moet geweten zijn om een optimale behandeling te kunnen krijgen?	7
Relevante informatie over de patiënt.....	7
Relevante informatie over de leukemie.....	7
Wat zijn de behandelingsopties?	9
Behandeling voor de chronische* fase van CML.....	9
Behandeling voor de acceleratiefase of blastencrisis* van CML.....	10
Behandeling van refractaire ziekte.....	11
Behandeling van patiënten die geen tyrosinekinaseremmers* verdragen.....	12
Behandeling van de ziektesymptomen en de bijwerkingen van de behandeling.....	12
Wat gebeurt er daarna?	13
Waarom en hoe moet ik door artsen worden opgevolgd?.....	13
Terugkeer naar een normaal leven.....	13
Hoe belangrijk is het om mijn medicijn in te nemen?.....	14
Wat als de leukemie verergert of terugkomt?.....	14
Moet ik een deelname aan klinische studies overwegen?.....	14
Waar kan ik een CML- patiëntenvereniging vinden?.....	15
Definities van moeilijke woorden	16

Deze tekst werd geschreven door dr. Holbrook E.K. Kohrt (het Antikankerfonds) en werd nagelezen door dr. Gauthier Bouche (het Antikankerfonds), dr. Svetlana Jezdic (ESMO), dr. Michele Baccarani (ESMO), prof. Martin Dreyling (ESMO) en dhr. Jan Geissler (de "Cancer Patient Working Group" van ESMO).

Deze update (2013) weerspiegelt de kleine wijzigingen in de laatste versie van de ESMO-richtlijnen. De update werd uitgevoerd door Dr. Gauthier Bouche (het Antikankerfonds) en werd nagelezen door Dr. Svetlana Jezdic (ESMO), Dr. Michele Baccarani (ESMO) en Prof. Martin Dreyling (ESMO).

Deze tekst werd vertaald uit het Engels door een expert in het vertalen van wetenschappelijke en medische teksten en werd vervolgens nagelezen door Dr. Ann-Sofie Schauwvlieghe.

CML: gids voor patiënten – Gebaseerd op de ESMO-richtlijnen - v.2013.1

Pagina 2

Dit document werd opgesteld door Het Antikankerfonds met de toestemming van ESMO.

De informatie in dit document vervangt geen medische consultatie. Het document is enkel bestemd voor persoonlijk gebruik en mag op geen enkele manier worden aangepast, gereproduceerd of verspreid zonder schriftelijke toestemming van Het Antikankerfonds en ESMO.

DEFINTIE VAN CHRONISCHE MYELOÏDE LEUKEMIE (CML)

Leukemie is een bloedkanker. Er bestaan verschillende vormen van leukemie, naargelang het type getroffen bloedcel. ‘Chronisch*’ betekent een geleidelijke of langzame progressie en ‘myeloïde’ verwijst naar het ontstaan in myeloïde cellen. Myeloïde cellen zijn onrijpe cellen die zich normaal ontwikkelen tot rijpe rode bloedcellen*, witte bloedcellen* of bloedplaatjes*. Bij chronische myeloïde leukemie maakt het beenmerg te veel myeloïde bloedcellen aan die zich in verschillende rijpingsstadia bevinden, inclusief cellen bekend als onrijpe granulocyten*, metamyelocieten* en myeloblasten*. Bij diagnose vindt men vaak ook een overproductie van bloedplaatjes en basofielen (verschillende myeloïde cellen die gedeeltelijk verantwoordelijk zijn voor de allergische respons).

Een overproductie van myeloïde bloedcellen in het beenmerg verhindert uiteindelijk de normale productie van rode bloedcellen, die belangrijk zijn bij de toevoer van zuurstof naar alle cellen in het lichaam en een verlaagde productie van bloedplaatjes of trombocytopenie*. Bloedplaatjes spelen een cruciale rol in de bloedstolling.

Chronische myeloïde leukemie (CML) kan worden vastgesteld bij een routinecheck-up, of na het zoeken van medische zorgen omwille van een gebrek aan energie door anemie* of bloeding, abdominale* pijn of ongemak en zeldzaam blauwe plekken door onvoldoende bloedplaatjes. Een vergroting van de milt, bekend als splenomegalie, leidt tot ongemak in het abdomen en de linkerkant van de borst, vroege verzadiging of veranderingen in de ontlastingspatronen. Andere mogelijke symptomen omvatten koorts, kortademigheid of botpijn. Bij diagnose hebben de meeste patiënten een hogere wittebloedceltelling (het aantal in het bloed circulerende witte bloedcellen) dan normaal.

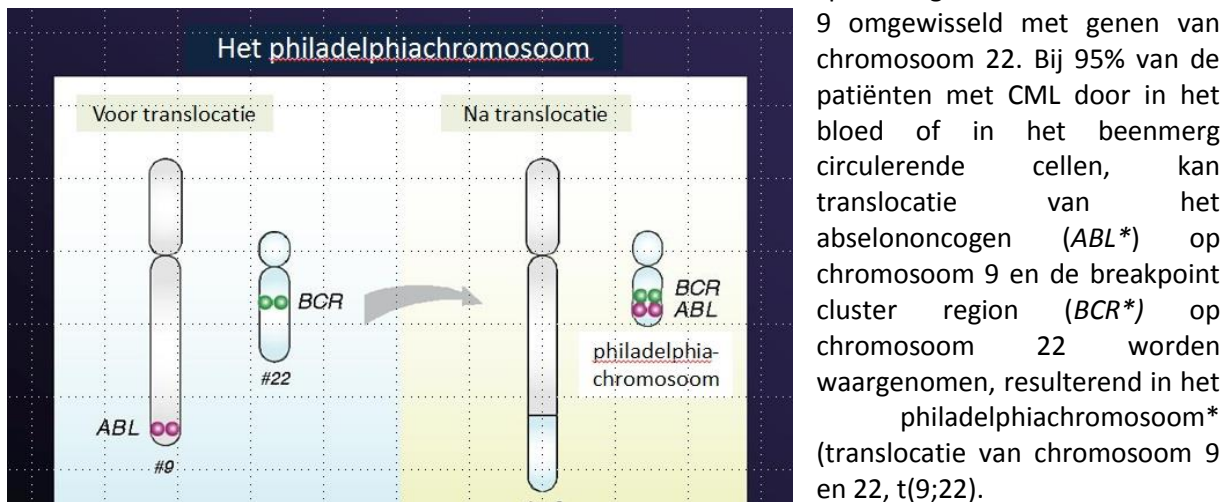
KOMT CHRONISCHE MYELOÏDE LEUKEMIE VAAK VOOR?

Vergeleken met borstkanker bij vrouwen of prostaatkanker bij mannen komt chronische myeloïde leukemie niet vaak voor. In de Europese Unie worden 1 tot 2 gevallen gediagnosticeerd per 100.000 personen. CML komt zeer zelden voor bij kinderen. De frequentie neemt toe met de leeftijd. De gemiddelde leeftijd waarop CML wordt vastgesteld bij patiënten is 60 jaar. Er zijn geen geografische verschillen in het aantal nieuw gediagnosticeerde gevallen.

WAT VEROOorzaakt CHRONISCHE MYELOÏDE LEUKEMIE?

Het is bekend dat chronische* myeloïde leukemie (CML) het gevolg is van een specifieke genetische abnormaliteit in de bloedstamcel*, maar de oorzaak van de abnormaliteit is nog onduidelijk.

Deze specifieke genetische abnormaliteit is een abnormale herschikking van genetisch materiaal. Twee chromosomen* wisselen verkeerdelijk een gedeelte van hun genen uit met genen op het andere chromosoom. Dit heet een translocatie. Voor CML worden specifiek genen van chromosoom 9 omgewisseld met genen van chromosoom 22. Bij 95% van de patiënten met CML door in het bloed of in het beenmerg circulerende cellen, kan translocatie van het



abselononcogen (*ABL**) op chromosoom 9 en de breakpoint cluster region (*BCR**) op chromosoom 22 worden waargenomen, resulterend in het philadelphiachromosoom* (translocatie van chromosoom 9 en 22, t(9;22)).

Het philadelphiachromosoom codeert een ontregeld tyrosinekinase* (een enzym in cellen). Dit resulteert in abnormaal gedrag bij de betrokken cellen. Dit omvat de vorming van onsterfelijke cellen, een verhoogde celturnover en -proliferatie* en abnormale celrijping.

Er zijn zeer weinig bekende risicofactoren* van CML die de kans op leukemie verhogen, maar niet noodzakelijk leiden tot leukemie.

- Blootstelling aan een hoge stralingsdosis* kan het risico op CML verhogen. Overlevenden van de atoombom, een kernreactorongeval en radiologietechnici van vóór 1950 (toen voor het eerst met beschermerschilden werd gewerkt) lopen een verhoogd risico op CML.
- Het risico op CML neemt toe met de leeftijd, maar is naarmate mensen ouder worden nog steeds zeer klein. CML komt ook iets vaker voor bij mannen dan bij vrouwen.

Bij mensen die beroepsmatig worden blootgesteld aan pesticiden* of benzenen* lijkt het risico op CML matig verhoogd te zijn.

HOE WORDT DE DIAGNOSE VAN CHRONISCHE MYELOÏDE LEUKEMIE GESTELD?

Chronische* myeloïde leukemie kan worden vermoed door symptomen of afwijkende laboratoriumresultaten bij patiënten met en zonder symptomen (asymptomatisch*). **Mogelijke symptomen en klinische verschijnselen** omvatten:

1. **Splenomegalie.** Door zijn ligging bovenaan aan de linkerzijde van het abdomen* veroorzaakt een vergrote milt abdominaal ongemak, pijn die uitstraalt naar de linkerschouder, vroege verzadiging (onvermogen om volledige maaltijden te eten), een verandering in de ontlastingsgewoonten (door darmobstructie), soms gewichtstoename en het gevoel van een massa van de linkerzijde van de borst tot in het abdomen.
2. **Vermoeidheid.** Vermoeidheid is een vaak voorkomend symptoom ten gevolge van anemie* (lagere bloedceltelling, vaak gemeten als hematocriet*- of lage hemoglobinewaarden*). Patiënten die lichamelijk actief zijn, merken de effecten van de anemie soms pas als ze ernstig is.
3. **Bloedingen.** Soms vertonen patiënten aanvankelijk een verhoogd aantal bloedplaatjes. Omgekeerd, kan een laag aantal bloedplaatjes door de vervanging van normale beenmergcellen door leukemiecellen opgemerkt worden en leiden tot het gemakkelijk krijgen van blauwe plekken, neus- en tandvleesbloedingen, petechiae* (rode stippen op de huid, gewoonlijk op de schenen en enkels) en purpura (groepen petechiae die grotere rode huidstippen vormen).

Bij patiënten met de bovenvermelde symptomen moet een volledige bloedceltelling worden uitgevoerd om de drie bloedceltypes die in het beenmerg worden aangemaakt te controleren: 1) witte bloedcellen*, 2) rode bloedcellen* en 3) bloedplaatjes*. Nu en dan kan het eerste vermoeden van mogelijke leukemie gebaseerd zijn op **routinelaboratoriumresultaten** alleen. Bovendien toont de **volledige bloedceltelling**, als onderdeel van de wittebloedceltelling de circulerende leukemiecellen in het bloed aan: in de bloedsomloop wordt een verhoogd aantal witte bloedcellen in verscheidene rijpingsstadia, die zich abnormaal snel prolifereren*, met een onevenredige toename van het aantal basofielen* waargenomen.

Als een diagnose van CML wordt vermoed op basis van symptomen en de wittebloedceltelling*, dan wordt een **beenmergbiopsie*** uitgevoerd.



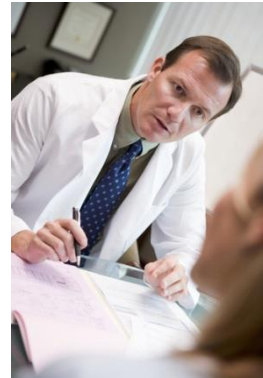
In de meeste gevallen kunnen de leukemiecellen die in de volledige bloedceltelling worden gevonden, adequaat weefsel opleveren om te onderzoeken op de aanwezigheid van philadelphiachromosoom* (translocatie van chromosoom* 9 en 22, hierboven beschreven). Het **philadelphiachromosoom**, t(9;22) kan worden opgespoord door middel van conventionele cytogenetische methoden (analyse van het chromosoom banden patroon van beenmergcellen in metafase)

maar kan eveneens worden opgespoord met behulp van moleculaire technieken inclusief polymerase-kettingreactie (**PCR***), een techniek uit de moleculaire biologie om één of enkele kopieën van een stukje DNA* (deoxyribonucleïnezuur) te produceren en fluorescentie-in-situhybridisatie (**FISH***), een cytogenetische* techniek die gebruikt wordt om de aan- of afwezigheid van specifieke DNA-sequenties op chromosomen op te sporen en te lokaliseren. In deze gevallen kan de behandeling vóór de beenmergbiopsie worden gestart.

Een beenmergbiopsie* is een kleine doch onaangename ingreep die vijftien minuten duurt. Voor de procedure wordt lokale anesthesie* (pijnverdovend geneesmiddel) gebruikt en gewoonlijk wordt geen scherpe pijn ervaren. Door de procedure kan de **patholoog*** (een arts die opgeleid is in het diagnosticeren van de ziekte op basis van het uitzicht van cellen of weefsels onder de microscoop) de diagnose van CML stellen. De patholoog kan ook vaststellen welk type CML de patiënt heeft en de genetische afwijkingen van de leukemie bepalen door de chromosomen* grondig te onderzoeken. Om het philadelphiachromosoom te identificeren worden PCR*- en FISH*-tests uitgevoerd.

WAT MOET GEWETEN ZIJN OM EEN OPTIMALE BEHANDELING TE KUNNEN KRIJGEN?

Om de beste behandeling te kunnen bepalen moeten artsen informatie vergaren over eigenschappen van zowel de patient welf als van de leukemie.



Relevante informatie over de patiënt

- Persoonlijke medische voorgeschiedenis
- Resultaten van het door de arts uitgevoerde klinische onderzoek*
- Algemeen welzijn
- Typering voor beenmergtransplantatie*. Vóór de ontwikkeling van gerichte therapieën* voor CML, was beenmergtransplantatie de eerstelijns therapie. Tegenwoordig kunnen sommige patiënten met CML een beenmergtransplantatie nodig hebben, maar gewoonlijk alleen als ze niet reageren op een gerichte therapie en hun ziekte zich uitbreidt. Een beenmergtransplantatie impliceert het gebruik van gezonde beenmergcellen van een andere persoon om het carcinomateuze beenmerg van de patiënt te vervangen. Om te voorkomen dat het immuunsysteem* van de donor het lichaam van de patiënt aantast (een aandoening bekend als *graft versus host-ziekte*), moet een weefseltypering worden uitgevoerd om te bepalen of een donor en een patiënt 'matchen'. Dit wordt bepaald door hoezeer de specifieke eiwitten*, humaan leukocytenantigeen* (HLA) genoemd, van de donor en patiënt gelijkenissen vertonen. Aangezien het enkele maanden kan duren voor het passende beenmerg wordt gevonden, is het nuttig om vooraf het type van de patiënt te kennen. Er moet ook een HLA-typing worden uitgevoerd van broers en zussen die als donor in aanmerking komen. Als broers en zussen niet 'passen', moeten niet-verwante donors worden gescreend.

Relevante informatie over de leukemie

- **Stadiëring, prognose* en risicoclassificatie**

In tegenstelling tot andere kankers, die zich op één plaats ontwikkelen (zoals borstkanker in de borst of prostaatkanker in de prostaat) en dan uitzaaien (metastaseren*), worden kwaadaardige cellen bij patiënten met leukemie als overal in het lichaam aanwezig beschouwd bij de diagnose omwille van hun normale circulatie in de bloedbaan. Daarom wordt de prognose niet bepaald op basis van de uitzaaiing van de ziekte. Het ziektestadium wordt bepaald volgens de 'fase' met name de chronische* fase, acceleratiefase en blastische* fase of blastencrisis. De meeste patiënten worden gediagnosticeerd in de chronische fase. Patiënten worden gediagnosticeerd met acceleratiefase indien het percentage blasten* in het beenmerg of het bloed tot 15-29% stijgt, zich meer dan 20% basofielen* ontwikkelen in het bloed, het aantal bloedplaatjes* sterk stijgt of daalt (maar niet als het gevolg van therapie) of naast het philadelphiachromosoom* een klonale afwijking ontstaat. Het meest gevorderde ziektestadium is de blastencrisis die wordt gekenmerkt door een toename van het aantal blasten in het beenmerg of het perifere bloed met minstens 30%.

	Acceleratiefase	Blastische fase
Blastcellen*	15 – 29%	≥ 30%
Basofielen*	> 20%	/
Bloedplaatjstelling* *	< 100 x 10 ⁹ /l niet therapiegerelateerd	/
CCA / Ph+	Aanwezig	/
Extramedullaire betrokkenheid +	/	Aanwezig

* In perifere bloed of in beenmerg

CCA / Ph+= klonale chromosoomafwijkingen* in Ph+- cellen

+ exclusief lever en milt, inclusief lymfeklieren*, huid, het centrale zenuwstelsel (CZS*), bot en longen.

Onbehandelde patiënten met CML in de chronische* fase, evolueren na 3-5 jaar naar de acceleratiefase. Zonder behandeling hebben patiënten in de acceleratiefase een mediane overleving van 4 tot 6 maanden. De overleving is verder beperkt indien een blastencrisis* voorkomt met een gemiddelde overleving van 2 tot 4 maanden bij onbehandelde patiënten.

De prognose* van een patiënt wordt het best voorspeld door karakterisering van de patiënt (inclusief het percentage basofielen* en de grootte van de milt). Er zijn vele scoresystemen ontwikkeld die de patiënten- en ziektekenmerken gebruiken waarmee de waarschijnlijkheid van behandelingsrespons en overleving kunnen worden berekend. Bij gebruik van het meest actuele systeem, de EUTOS-risicoscore, was de progressievrije overleving na vijf jaar significant beter in de laagrisico- dan in de hoogrisicogroep (90% vs. 82%), maar de globale overleving was slechts iets lager dan die binnen de normale, gezonde populatie.

WAT ZIJN DE BEHANDELINGSOPTIES?

De behandeling moet plaatsvinden in centra die gewend zijn om CML te behandelen en over een geschikte multidisciplinaire* infrastructuur beschikken. Wanneer mogelijk, zou de behandeling onder de vorm van klinische studies* moeten worden aangeboden.

De behandeling van CML is op de individuele patiënt afgestemd op basis van het ziektestadium bij diagnose. In tegenstelling tot vaste tumoren, spelen chirurgische resectie en radiotherapie* normaliter geen rol bij de behandeling van CML.



Behandeling voor de chronische* fase van CML

De t(9;22) mutatie* leidt tot een gemuteerde* tyrosinekinase*. De eerste behandeling is een remmer van dit gemuteerde* tyrosinekinase*, ook bekend als BCR-ABL*-tyrosinekinase. Andere middelen, met inbegrip van interferon*monotherapie en hydroxyureum* hebben een beperkte rol in de eerstelijns therapie. Hydroxyureum wordt gebruikt om snel de ziektelast te verminderen en de wittebloedcellen* te verlagen. Imatinib* is een tyrosinekinaseremmer* van de eerste generatie die voor bijna 90% van de patiënten voor een globale overleving van 8 jaar zorgt. Tyrosinekinaseremmers van de tweede generatie zoals dasatinib* of nilotinib*, kunnen ook worden overwogen voor alle patiënten met CML bij de diagnose. Patiënten *mogen niet* stoppen met het innemen van imatinib, dasatinib of nilotinib, tenzij opgedragen als onderdeel van een klinische studie* of in geval van ernstige bijwerkingen. Deze therapieën worden voor onbepaalde duur gebruikt omdat blijkt dat stopzetting ervan resulteert in recidief* of progressie* van CML.

Na de start van de CML-therapie moeten de patiënten worden gecontroleerd op behandelingsrespons. De controle van de behandelingsrespons is belangrijk om te bepalen of een adequate respons is bereikt, of de dosis moet worden verhoogd of de patiënt moet worden overgeschakeld naar een andere behandeling. Aangezien de therapie voor onbepaalde duur wordt voortgezet en bij de meeste patiënten recidief optreedt na stopzetting van de therapie, is een nauwgezette controle van de ziekte van cruciaal belang. Voortdurende controle is noodzakelijk, zelfs bij optimale respons, om potentieel recidief* op te sporen en te behandelen. Specifieke responscriteria, inclusief optimaal, suboptimaal en falen zijn opgesteld om de geschikte toename of verandering van therapie te begeleiden.

Responsbeoordeling is gebaseerd op 3 niveau's van respons: de hematologische respons*, cytogenetische respons* en de moleculaire respons*, zoals hieronder beschreven wordt.

- Hematologische respons*
 - De beoordeling van de hematologische respons dient plaats te vinden na de start van de behandeling en dit om de 2 weken om de perifere wittebloedcel*-(WBC) en bloedplaatjestellingen* te controleren.
 - Een volledige hematologische respons (CHR*) is de vereniging van
 - een totale WBC $< 10 \times 10^9/l$,
 - een WBC-formule zonder onrijpe granulocyten* en $< 5\%$ basofielen*,
 - een bloedplaatjestelling $< 450 \times 10^9/l$,
 - en een niet-palpeerbare milt.

- Cytogenetische respons (CgR)*
 - De cytogenetica* moet worden gecontroleerd na 3 maanden, 6 maanden, 12 maanden en 18 maanden behandeling met een tyrosinekinaseremmer*. Tot een volledige cytogenetische respons* is bereikt (CCgR), de cytogenetica minstens om de 6 maanden worden herhaald.
 - Een volledige cytogenetische respons (CCgR) is gedefinieerd als de onmogelijkheid om het Philadelphia-chromosoom op te sporen door de chromosoom-metafases te analyseren.
 - Een partiële cytogenetische respons (PCgR) is gedefinieerd als de aanwezigheid van 1%-35% positieve philadelphiachromosoommetafasen*.
- Moleculaire respons*
 - De controle van de moleculaire respons wordt uitgevoerd met PCR* die de hoeveelheid van BCR-ABL/ABL-afwijkingen bepaalt.
 - Het moet minstens om de 3 maanden worden herhaald tot een belangrijke moleculaire remissie* is bereikt,
 - Grote moleculaire remissie wordt gedefinieerd door een PCR-resultaat met BCR-ABL*/ABL < 0,10% op de internationale schaal.
- Zodra zowel een volledige cytogenetische respons als een belangrijke moleculaire remissie zijn bereikt, moet om de 12 maanden een cytogenetische controle en om de 6 maanden een moleculaire controle met behulp van PCR worden uitgevoerd.

Patiënten die een optimale respons bereiken moeten de behandeling voortzetten met imatinib* of de tyrosinekinaseremmer van de tweede generatie die ze krijgen. Alleen in het kader van een klinische studie* mag deze groep patiënten de behandeling stopzetten.

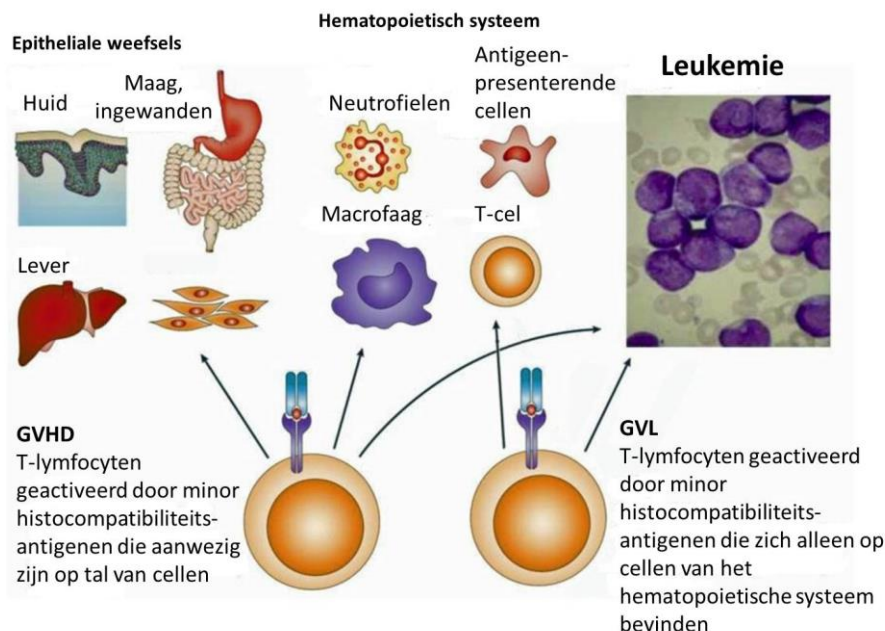
Patiënten met alleen een suboptimale respons kunnen in aanmerking komen voor een dosisverhoging van hun tyrosinekinaseremmer of overschakeling, als ze imatinib krijgen, naar een tyrosinekinaseremmer van de tweede generatie.

Patiënten die niet op hun imatinib reageren, moeten overschakelen naar een tyrosinekinaseremmer van de tweede generatie zoals dasatinib* of nilotinib*. Recent werd een tweede generatie tyrosinekinaseremmer (bosutinib) goedgekeurd in de VS. De tyrosinekinaseremmer ponatinib werd ook goedgekeurd in de VS voor de CML-vormen die een speciale mutatie genaamd T315I hebben. Een ander medicijntype, omacetaxine, dat niet behoort tot de klasse van tyrosinekinaseremmers werd ook recent goedgekeurd in de VS voor de behandeling van gevallen waarbij CML immuun is aan tyrosinekinaseremmers. Een dosisverhoging van imatinib heeft waarschijnlijk geen heilzaam effect op de voortschrijdende ziekte. De mogelijkheid om een respons te bereiken en de responsduur moeten als belangrijke factoren worden beschouwd wanneer patiënten in aanmerking komen voor een allogene beenmergtransplantatie*.

Behandeling voor de accelaratiefase of blastencrisis* van CML

In deze fasen is er minder bewijs beschikbaar om te beslissen welke optie het de beste is. Een behandeling met een tyrosinekinaseremmer kan opgestart worden bij patiënten die nog niet eerder behandeld werden met een tyrosinekinaseremmer. De verandering naar een andere tyrosinekinaseremmer of chemotherapie kan als een optie beschouwd worden voor patiënten die eerder al behandeld werden met een tyrosinekinaseremmer. Die opties werken echter slechts voor een beperkte tijd.

Bij deze patiënten blijft het uitvoeren van een allogene beenmergtransplantatie* de meest gangbare optie en dient deze dus in overweging genomen worden. Dit is het proces waarbij de patiënt beenmergstamcellen* van een andere persoon krijgt. De witte bloedcellen*, rode bloedcellen* en bloedplaatjes* van de patiënt worden vervangen door de cellen van de donor. De cellen van de donor worden onderdeel van het bloed van de patiënt. Aangezien de cellen van de donor nieuw zijn voor het lichaam van de patiënt, kunnen ze de cellen van de patiënt als lichaamsvreemd herkennen en de eigen cellen van de patiënt aantasten (dit is bekend als *graft versus host-ziekte*). GVHD impliceert typisch de T-cellen* van de donor in het transplantaat* en tast vooral de huid, het maag-darmkanaal (mond, maag en darmen) en de lever van de patiënt aan. Deze weefsels brengen minor histocompatibiliteitsantigenen* tot expressie, waarvoor geen match dient gezocht te worden tussen de donor en de patiënt, dit in tegenstelling tot major histocompatibiliteitsantigenen. Hierdoor worden ze als vreemd herkend. Tijdens hetzelfde proces herkennen de cellen van de donor de leukemiecellen van de patiënt ook als lichaamsvreemd en vernietigen ze. Dit is het belangrijkste heilzame effect van een beenmergtransplantatie (bekend als *graft versus leukemie-effect*). Beenmergstamceltransplantaties bieden de mogelijkheid om de leukemie uit te roeien en de patiënt volledig te genezen.



Een allogene beenmergtransplantatie* is de enige aangetoonde curatieve behandeling* voor CML in alle fasen van de ziekte. Om de ziekteprogressie onder controle te houden en vóór transplantatie een respons te bereiken, moeten patiënten een deelname aan een klinische studie*, een tyrosinekinaseremmer* van de tweede generatie of conventionele cytotoxische* chemotherapie* overwegen.

Behandeling van refractaire ziekte

De ziekte kan refractair* worden voor een behandeling met een tyrosinekinaseremmer*. Refractaire ziekte kan zich ontwikkelen bij ziekteprogressie als gevolg van mutaties* in het BCR-ABL*-tyrosinekinase. Bij ziekteprogressie en wanneer de dosis wordt verhoogd of er wordt overgeschakeld naar een andere tyrosinekinaseremmer, is het belangrijk dat de mutaties worden gescreend die leiden tot behandelingsresistentie. In zeldzame gevallen waarbij de therapietrouw of het

geneesmiddelenmetabolisme* een probleem is, kunnen de imatinib*-concentraties in het perifere bloed worden geanalyseerd. Wat de specifieke mutatie genaamd T315I-mutatie betreft, werd één tyrosinekinaseremmer, ponatinib, goedgekeurd, maar dit uitsluitend in de VS tot op heden.

Behandeling van patiënten die geen tyrosinekinaseremmers* verdragen

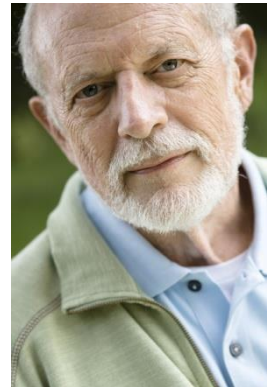
Patiënten die ernstige bijwerkingen krijgen door tyrosinekinaseremmers van de eerste generatie, zoals ernstige huiduitslag, ernstig oedeem (zwellen van de benen) of vochtophoping in de longen moeten eerst met tyrosinekinaseremmers* van de tweede generatie worden behandeld. De meeste patiënten die tyrosinekinaseremmers van de eerste generatie niet verdragen kunnen met succes worden behandeld met tyrosinekinaseremmers van de tweede generatie zonder bijwerkingen. Om het risico op bijwerkingen te verminderen, kan de dosis van de tyrosinekinaseremmers van de tweede generatie worden verlaagd zonder verlies aan werkzaamheid*. Voor patiënten die drie tyrosinekinaseremmers kunnen verdragen, blijkt een nieuwe therapie, omacetaxine* werkzaam te zijn en verdragen te worden. In zeldzame gevallen moet voor patiënten die niet alle tyrosinekinaseremmers verdragen een beenmergtransplantatie* van een broer of zus of een niet-verwante donor worden overwogen.

Behandeling van de ziektesymptomen en de bijwerkingen van de behandeling

Leukemie en haar behandeling kunnen ernstige bijwerkingen veroorzaken, zoals diarree, misselijkheid, braken, haaruitval, gebrek aan energie, eetlust en ernstige infecties. Voor deze bijwerkingen bestaan doeltreffende therapieën en patiënten mogen ervan uitgaan dat sommige van deze problemen kunnen worden behandeld.

WAT GEBEURT ER DAARNA?

Tegenwoordig moeten patiënten met CML levenslang worden behandeld met tyrosinekinaseremmers*. Momenteel wordt onderzocht of de behandeling kan worden stopgezet en welke patiënten de behandeling zouden mogen stopzetten. Buiten klinische studies* is stopzetting van de behandeling niet aanbevolen.



Waarom en hoe moet ik door artsen worden opgevolgd?

Na de start van de behandeling zullen artsen een follow-up* voorstellen om:

- mogelijke progressie, recidief* of relaps* van de leukemie zo snel mogelijk op te sporen
- de bijwerkingen van de behandeling te evalueren en te behandelen
- psychologische ondersteuning te bieden en informatie te verstrekken om de terugkeer naar een normaal leven te versnellen.

De follow-upbezoeken met de oncoloog omvatten:

- het opnemen van de voorgeschiedenis, het informeren naar symptomen en een lichamelijk onderzoek
- een routine-evaluatie van de volledige bloedceltelling
- een herhaalde beenmergbiopsie*, uitsluitend in het geval van een eerdere mislukte behandeling, of in geval van onverklaarbare trombocytopenie*, of wanneer een betrouwbare moleculaire test niet verkregen kan worden

In het algemeen wordt na drie maanden behandeling om de 6 maanden de cytogenetisch onderzoek* herhaald tot een volledige cytogenetische respons* is bereikt en bevestigd. PCR* wordt om de 3 maanden herhaald tot een belangrijke moleculaire respons* is bereikt. Zodra ze bereikt en bevestigd zijn, wordt een cytogenetisch onderzoek aangeraden om de 12 maanden, maar dit is niet nodig indien een betrouwbare moleculaire test beschikbaar is. Van zodra een noemenswaardige moleculaire respons verkregen werd, wordt een moleculaire test ten minste om de 6 maanden aangeraden. Indien het volgens de risicoscore om een hoogrisicopatiënt gaat, of een patiënt met een suboptimale therapierespons, kan een frequentere controle aangeraden zijn. De screening op BCR-ABL*-mutaties* moet alleen worden voorgesteld in geval van behandelingsfalen of suboptimale respons.

Terugkeer naar een normaal leven

Het kan moeilijk zijn om te leven met de gedachte dat de leukemie kan terugkomen. Op basis van de huidige kennis, bestaat er geen specifieke manier om het risico op recidief* te verminderen. Als gevolg van de kanker zelf en van de behandeling kan voor sommige mensen een terugkeer naar een normaal leven moeilijk zijn. Er kunnen vragen ter sprake komen over het lichaamsbeeld, seksualiteit, vermoeidheid, werk, emoties of levensstijl. Het kan nuttig zijn om deze vragen te bespreken met familie, vrienden, andere patiënten of artsen. In vele landen bestaan er patiëntenorganisaties die advies verstrekken, bv. over het omgaan met de effecten van de behandeling, psycho-oncologische diensten of telefonische infolijnen.

Hoe belangrijk is het om mijn medicijn in te nemen?

Alleen geneesmiddelen die worden ingenomen kunnen daadwerkelijk werken. Het is zeer belangrijk om uw medicijn in te nemen zoals voorgeschreven.

Uit studies blijkt dat de therapietrouw bij patiënten met CML sterk verschilt. In het bijzonder bij de behandeling met orale geneesmiddelen zoals bij CML, is het vooral de verantwoordelijkheid van de patiënt om het geneesmiddel in te nemen zoals voorgeschreven. Opzettelijke of ongewilde therapieontrouw kan een significante impact hebben op het welslagen van de therapie en de instandhouding van de respons. CML-studies hebben een sterk verband aangetoond tussen het niveau van de therapietrouw, de relaps*- en responspercentages en het percentage ziekenhuisopnamen. Het missen van slechts 1 op 10 pillen blijkt al een significante impact te hebben op de remissiepercentages*.

Wat als de leukemie verergert of terugkomt?

Leukemie die verergert, zoals verandering van chronische* in acceleratiefase of blastencrisis*, wordt ziekteprogressie of relaps* genoemd. De behandeling hangt af van de leeftijd van de patiënt, de vroegere behandeling en de mogelijkheid van een beenmergtransplantatie*. Specifieke behandelingsaanbevelingen worden voor elke ziektefase besproken.

Na het bereiken van een respons met een tyrosinekinaseremmer* van de tweede generatie, is een beenmergtransplantatie aanbevolen bij patiënten in de acceleratie of blastische* fase en bij diegenen met een T3151-mutatie*, als een broer of zus of niet-verwante donor kan worden gevonden indien alleen een beenmergtransplantatie een kans op genezing biedt. Patiënten die recidiveren* na een beenmergtransplantatie komen meestal niet in aanmerking voor een tweede transplantatie. In plaats daarvan zijn een donorlymfocyteninfuus* met een tyrosinekinaseremmer of een klinische studie* de voorkeursopties voor patiënten die recidiveren na een beenmergtransplantatie.

Moet ik een deelname aan klinische studies overwegen?

Met de huidige standaardtherapie, inclusief tyrosinekinaseremmers*, hebben patiënten met CML een gunstige prognose*. In zeldzame gevallen vordert de ziekte niettegenstaande de beste huidige therapieën. In dergelijke gevallen is de prognose ongunstig en kunnen alternatieve therapieën inclusief klinische studies* worden overwogen. Daarom onderzoeken artsen en wetenschappers nieuwe therapieën. Veelbelovende behandelingen moeten eerst in klinische studies worden getest voordat ze aan alle patiënten worden toegediend. Klinische studies bieden de gelegenheid om een nieuwe therapie te krijgen voordat ze algemeen beschikbaar is. Dergelijke nieuwe therapieën houden anderzijds ook een aantal risico's en onbekende bijwerkingen in. Omwille van deze positieve en negatieve aspecten van klinische studies is het zeer belangrijk om de geschiktheid van een klinische studie met uw arts te bespreken.

Waar kan ik een CML- patiëntenvereniging vinden?

Via pleitbezorgingsgroepen voor patiënten* kunt u in contact komen met andere patiënten met CML, meer te weten komen over uw ziekte, nuttige informatie identificeren, een ervaren arts vinden voor bijkomend advies of klinische centra vinden die klinische studies* uitvoeren. Bezoek de CML Advocates Network group op <http://www.cmladvocates.net/members> om een vereniging in uw land te vinden.

DEFINITIES VAN MOEILIJKE WOORDEN

Abdomen

Lichaamsdeel tussen de borstkas en heupen. De buikspieren omsluiten een holte die verschillende organen (maag, darmen, lever, milt en alvleesklier) bevat. Wordt ook de buik genoemd.

Anemie

Een aandoening waarbij het aantal rode bloedcellen* of de hemoglobineconcentratie* lager is dan de normaalwaarde. Hemoglobine zorgt voor het transport van zuurstof vanaf de longen naar de rest van het lichaam. Dit gebeurt dan ook minder efficiënt bij anemie.

Anesthesie

Een omkeerbare staat van verminderde gewaarwording waarin de patiënt geen pijn voelt, geen normale reflexen heeft en minder reageert op stress. Deze toestand wordt kunstmatig veroorzaakt door bepaalde middelen die men anesthetica noemt. Anesthesie (of verdooving) kan volledig of gedeeltelijk zijn en maakt mogelijk dat patiënten een operatie kunnen ondergaan.

Asymptomatisch

Een ziekte wordt als asymptomatisch beschouwd als de patiënt er geen symptomen, zoals pijn, van ondervindt.

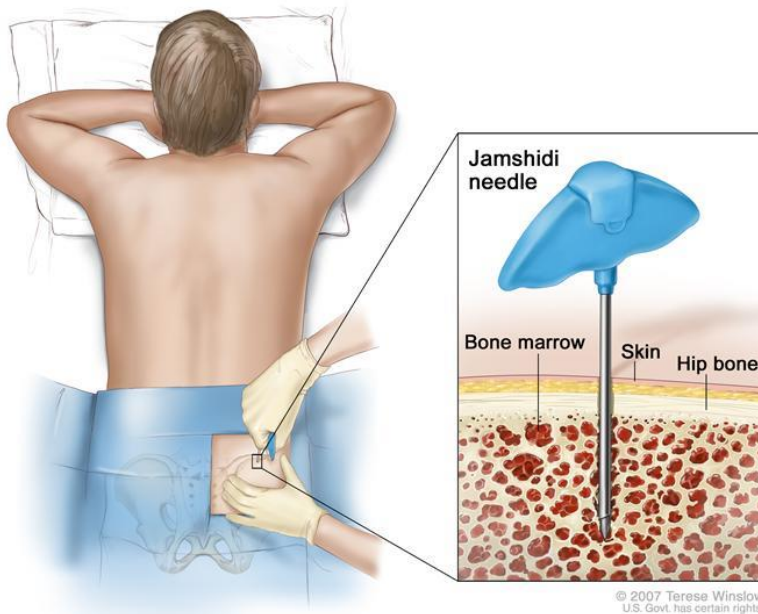
BCR-ABL

Translocatie van het abelsononcogeen (*ABL*) op chromosoom* 9 en de breakpoint cluster region (*BCR*) op chromosoom 22 resulterend in het philadelphiachromosoom* (translocatie van chromosoom 9 en 22, t (9;22)) kan worden waargenomen bij 95% van de patiënten met CML bij in het bloed of het beenmerg circulerende cellen.

Het philadelphiachromosoom codeert een ontregeld tyrosinekinase* (een enzym in cellen), wat resulteert in onsterfelijke cellen, een verhoogde celturnover en -proliferatie* en abnormale celrijping.

Beenmergbiopsie

Een procedure waarbij een klein botmonster met beenmerg in wordt afgenomen, meestal van het heupbeen. Een stukje huid en het oppervlak van het bot eronder worden eerst verdoofd met een anestheticum*. Vervolgens wordt een speciale, brede naald in het bot geduwd en rondgedraaid om een monster van het bot met beenmerg in te verwijderen. Deze procedure kan gelijktijdig met een beenmergaspiratie worden uitgevoerd. De verwijderde cellen of weefsels worden door een patholoog* onderzocht. De patholoog kan het weefsel onderzoeken onder een microscoop of op de cellen of op het weefsel andere tests uitvoeren.



Beenmergaspiratie en -biopsie. Nadat een stukje huid verdoofd is, wordt een Jamshidi-naald (een lange, holle naald) in het heupbeen van de patiënt ingebracht. Bloed-, bot- en beenmergmonsters worden afgenomen voor onderzoek onder een microscoop.

Beenmergtransplantatie

Een ingreep om beenmerg te vervangen dat vernietigd werd door hoge dosissen kankerbestrijdende geneesmiddelen of straling. De transplantatie kan autoloog (gebruik van iemands eigen beenmerg dat voorafgaand aan de behandeling werd afgenomen en bewaard), allogeen (gebruik van beenmerg dat door iemand anders werd gedoneerd) of syngene (gebruik van beenmerg dat door een identieke tweelingsbroer of -zus werd gedoneerd) zijn.

Benzeen

Een chemische stof die vaak in de chemische industrie wordt gebruikt en ook voorkomt in tabaksrook, uitlaatgassen van voertuigen en benzinedampen. Blootstelling aan benzeen kan het risico op leukemie verhogen.

Blast/ blastisch

Leukemiecellen worden vaak *blasten* genoemd, omdat ze groter kunnen lijken dan normale witte bloedcellen die we in het bloed kunnen aantreffen. Het uitzicht van de *blasten* kan een patholoog helpen om het type van leukemie waaraan een patiënt lijdt, te identificeren.

Bloedplaatjes

Kleine celfragmenten die een fundamentele rol hebben in de bloedstolling. Mensen met te weinig plaatjes lopen risico op bloedingen. Mensen met te veel plaatjes lopen risico op trombose, de vorming van bloedklonters die een ader kunnen blokkeren en beroertes of andere gevaarlijke aandoeningen kunnen veroorzaken, en ook op bloedingen als de plaatjes niet meer naar behoren werken.

Bosutinib

Een medicijn dat gebruikt wordt om chronische myeloïde leukemie (CML) te behandelen. Het wordt gebruikt bij patiënten die niet behandeld kunnen worden met een andere therapie of erna geen beterschap vertoonden. Het wordt ook bestudeerd voor de behandeling van andere kankertypes. Bosutinib remt de werking van BCR-ABL en andere proteïnen af, hetgeen kan helpen om de groei van kankercellen tegen te gaan en ze mogelijk te doden. Het is een type van tyrosinekinaseremmer.

Centraal zenuwstelsel (CZS)

Het gedeelte van het zenuwstelsel dat bestaat uit de hersenen en het ruggenmerg.

Chemotherapie

Een kankerbehandeling die cellen doodt en/of hun groei afremt. Deze medicijnen worden meestal toegediend door middel van een traag infuus in een ader, maar kunnen ook via de mond worden ingenomen of rechtstreeks worden toegediend in een lidmaat of de lever, afhankelijk van de locatie van de kanker.

Chromosoom

Een chromosoom is een georganiseerde structuur van genen, opgebouwd uit DNA. Genen bevatten de code die het lichaam gebruikt om eigenschappen zoals haarkleur of geslacht vast te leggen. Menselijke cellen hebben 23 paar chromosomen (in totaal dus 46 chromosomen). Kanker- of leukemiecellen vertonen vaak een **chromosomale afwijking**, zoals een **chromosomale duplicatie** (een extra chromosoom of dus in totaal 47 chromosomen) of een **chromosomale deletie** (verlies van een chromosoom of dus in totaal 45 chromosomen). We spreken van een **chromosomale** of **genetische inversie**, wanneer er geen chromosomen werden toegevoegd of verwijderd, maar wanneer er wel een gedeelte werd omgekeerd.

Chronisch

Een ziekte of aandoening die aanhoudt of langzaam voortschrijdt.

Curatieve behandeling

Aan een patiënt toegediende behandeling met het doel om de ziekte of het letsel uit te roeien of te genezen in tegenstelling tot een palliatieve behandeling die tot doel heeft om de door de ziekte of het letsel veroorzaakte symptomen te verlichten.

Cytogenetica/Cytogenetisch

Dit is het bestuderen van genen en chromosomen*. Daarmee kan nagegaan worden of we een bepaalde cel als een normale cel of een leukemiecél dienen te beschouwen. Sommige types van leukemie vertonen bovendien bepaalde cytogenetische afwijkingen (veranderingen van genen of chromosomen*) die we met een vingerafdruk kunnen vergelijken en die een patholoog* vertellen, welk specifiek type van leukemie een patiënt heeft.

Cytogenetische respons

Een manier om de respons op een bepaalde behandeling te beschrijven. Voor CML wordt ze geëvalueerd volgens de proportionele daling van het aantal cellen met het (abnormale) philadelphiachromosoom* in het beenmerg en het bloed.

Cytotoxisch

Celdodend.

Dasatinib

Dasatinib behoort tot de groep geneesmiddelen die ‘proteïnekinaseremmers’ worden genoemd. Deze stoffen werken door specifieke enzymen, de zogenaamde proteïnekinases, te blokkeren. Dasatinib werkt voornamelijk door de proteïnekinase BCR-ABL* te blokkeren. Dit enzym wordt door leukemiecellen geproduceerd, waardoor deze cellen zich op oncontroleerbare wijze gaan vermenigvuldigen. Door BCR-ABL-kinase evenals andere kinasen te blokkeren, helpt dasatinib de verspreiding van leukemiecellen onder controle te houden.

DNA

Afkorting voor desoxy nucleïnezuur (acid). DNA is de drager van genetische informatie.

FISH/Fluorescentie-in-situhybridisatie

Een techniek die pathologen* gebruiken om veranderingen aan genen en chromosomen* te identificeren. Unieke veranderingen aan genen of chromosomen kunnen met behulp van FISH worden aangetoond en helpen een patholoog om het type leukemie te bepalen waaraan een patiënt lijdt.

Follow-up

De gezondheidstoestand van een persoon na behandeling een tijd opvolgen. Dit omvat eveneens de opvolging van personen die aan een klinische studie* deelnemen, zowel tijdens als na afloop van de studie

Geneesmiddelenmetabolisme

Proces waarbij een geneesmiddel door enzymen in het lichaam wordt afgebroken zodat het door het lichaam kan worden gebruikt en naderhand worden geëlimineerd.

Gerichte therapie

Een type behandeling waarbij geneesmiddelen of andere stoffen zoals monoklonale antilichamen worden gebruikt om specifieke kankercellen te identificeren en aan te vallen. Een gerichte therapie heeft soms minder bijwerkingen hebben dan andere kankerbehandelingen.

Granulocyt

Een type immuuncel die granula (deeltjes) heeft met enzymen die bij infecties, allergische reacties en astma worden vrijgegeven. Neutrofielen, eosinofielen en basofielen zijn granulocyten. Een granulocyt is een type witte bloedcel. Wordt ook granulaire leukocyt*, PMN en polymorfonucleair leukocyt genoemd.

Hematocrietwaarde

Het gedeelte van het bloed dat is samengesteld uit rode bloedcellen* wordt als een percentage uitgedrukt.

Hematologische respons

Een manier om de respons op een bepaalde behandeling te beschrijven. Bij CML is deze respons compleet (complete hematologische respons of CHR) wanneer ze het herstel van de bloedtellingen, in het bijzonder de witte bloedcellen en de bloedplaatjes* omvat, samen met de afwezigheid van blastcellen* of leukemiecellen in het bloed van de patiënt, het herstel van de grootte van de milt en de afwezigheid van verschijnselen en symptomen van CML.

Hemoglobinewaarde

Kwantitatieve meting van het eiwit hemoglobine in de rode bloedcellen*, wordt uitgedrukt in gewicht (gram) per volume bloed (deciliter). Hemoglobine transporteert zuurstof door het lichaam.

Histocompatibiliteitsantigenen

Eiwitten aan het oppervlak van nagenoeg alle cellen in het lichaam. Ze helpen ons immuunsysteem* onze eigen cellen te onderscheiden van lichaamsvreemde stoffen. Ze komen in grote aantallen voor aan het oppervlak van witte bloedcellen. Ze worden ook humane leukocytenantigenen* (HLA) genoemd.

Hydroxyureum

Een kankerbestrijdend geneesmiddel dat behoort tot een groep geneesmiddelen die antimetaboliëten worden genoemd.

Imatinib

Imatinib is een proteïnekinaseremmer. Dit betekent dat de stof een remmende werking heeft op specifieke enzymen, de zgn. tyrosinekinasen. Deze enzymen kunnen in een aantal receptoren op het celoppervlak worden aangetroffen, waaronder de receptoren die ongecontroleerde deling van cellen kunnen stimuleren. Door deze receptoren te remmen, helpt imatinib de celdeling onder controle te houden.

Immuunsysteem

Het immuunsysteem of afweersysteem beschermt het lichaam tegen indringers van buitenaf zoals bacteriën en virussen.

Interferon

Een eiwit dat door lymfocyten* (een bepaald soort witte bloedcellen) wordt aangemaakt en dat betrokken is bij de communicatie tussen afweercellen. Het is een biologische responsmodificerende (een stof die de natuurlijke reactie van het lichaam op infecties en tumorcellen kan verbeteren). Er zijn verschillende soorten interferonen, zoals interferon-alfa, -bèta en -gamma. Normaal maakt het lichaam deze stoffen aan. Ze worden ook in het laboratorium vervaardigd voor de behandeling van kanker en andere ziekten.

Klinisch onderzoek

De arts onderzoekt het lichaam van de patiënt naar tekenen van ziekte.

Klinische respons

Een manier om de respons op een bepaalde behandeling te beschrijven. De klinische respons wordt geëvalueerd aan de hand van veranderingen in de door de ziekte veroorzaakte verschijnselen en symptomen.

Klinische studie

Een onderzoeksstudie met patiënten om te evalueren of een nieuwe behandeling veilig is (veiligheid) en of zij werkt (werkzaamheid). Klinische studies worden verricht om de werkzaamheid van geneesmiddelen maar ook van niet-geneesmiddelen zoals radiotherapie of chirurgie en combinaties van verschillende behandelingen te testen.

Leukocyt/ witte bloedcel

Witte bloedcellen of leukocyten zijn cellen van het immuunsysteem* die belangrijk zijn voor de verdediging van het lichaam tegen infecties.

Lymfeklieren

Een klein ovaal orgaantje bestaande uit lymfatisch weefsel, omcirkeld door een kapsel van bindweefsel. Lymfeklieren filteren lymfevocht en slaan lymfocyten* op (witte bloedcellen). Ze bevinden zich over het verloop van lymfevaten. Worden ook lymfeknopen genoemd.

Lymfocyteninfuus

Een type therapie waarbij lymfocyten afkomstig van het bloed van de donor worden gegeven aan de patiënt die reeds een stamceltransplantatie van dezelfde donor heeft gekregen. De lymfocyten van de donor doden mogelijk de resterende kankercellen. Een lymfocyteninfuus wordt gebruikt voor de behandeling van chronische myeloïde leukemie (CML) die teruggekomen is en myeloom. Het wordt onderzocht voor andere kankertypes.

Een lymfocyt is een type witte bloedcel die belangrijk is voor het immuunsysteem*. Er bestaan drie groepen lymfocyten: T-lymfocyten (T-cellen*), B-lymfocyten (B-cellen), en natural killer cells (NK-cellen) die hun eigen rol in het immuunsysteem spelen.

Metafase

De celdelingsfase waarbij reeds vermenigvuldigde chromosomen* op één lijn liggen rond de celkern. Nadien deelt de cel in twee cellen met elk hetzelfde aantal chromosomen.

Metastase

De uitzaaiing van kanker naar andere lichaamsdelen. Een tumor gevormd door uitgezaaide cellen wordt een metastatische tumor of een metastase genoemd. De metastatische tumor bevat cellen die gelijkaardig zijn aan die van de oorspronkelijke tumor.

Metamyelocyt

Type onrijpe witte bloedcel die voortkomt uit een myeloblast en die zich zal ontwikkelen tot een specifieke categorie van witte bloedcellen.

Moleculaire respons

Een manier om de respons op een bepaalde behandeling te beschrijven. Bij CML is ze aangegeven door de negativiteit van de PCR*-test (polymerasekettingreactie). De test wordt uitgevoerd om de afwezigheid van leukemiecellen of blasten* in het bloed te bevestigen, wanneer ze zo zeldzaam zijn dat ze niet met andere tests kunnen worden aangetoond. PCR detecteert een stof die door leukemiecellen wordt aangemaakt.

Multidisciplinair

Datgene dat betrekking heeft op verscheidene praktijk- of expertisedomeinen. In de geneeskunde wordt het gedefinieerd als de combinatie van de kennis en expertise van verschillende medische en niet-medische gezondheidsprofessionelen uit verschillende disciplines.

Mutatie

Een verandering in de opeenvolging van baseparen in het DNA, waaruit een gen bestaat. Mutaties in een gen hebben niet noodzakelijk gevolgen.

Myeloblasten

Type onrijpe witte bloedcel die ontstaat in het beenmerg en zich ontwikkelt tot een specifieke categorie witte bloedcellen.

Nilotinib

Nilotinib behoort tot de groep geneesmiddelen die proteïnekinaseremmers worden genoemd. De werking van deze geneesmiddelen berust op een blokkering van bepaalde enzymen, met name proteïnekinasen. De werking van nilotinib berust op een blokkering van het proteïnekinase genaamd 'BCR-ABL'-kinase. Dit enzym wordt door leukemiecellen geproduceerd, waardoor deze cellen zich op oncontroleerbare wijze gaan vermenigvuldigen. Door BCR-ABL*-kinase te blokkeren, helpt nilotinib de verspreiding van leukemiecellen onder controle te houden.

Omacetaxine

Experimenteel kankerbestrijdend geneesmiddel dat de vorming van eiwitten remt wat betekent dat het de celgroei kan vertragen of stoppen.

Patholoog

Een arts die opgeleid is in het diagnosticeren van de ziekte op basis van het uitzicht van cellen of weefsels onder de microscoop.

Patiëntenpleitbezorger/pleitbezorgingsgroep voor patiënten

Een persoon die een patiënt helpt om met anderen samen te werken die een effect hebben op de gezondheid van de patiënt, inclusief artsen, verzekeringsmaatschappijen, werkgevers, casemanagers en advocaten. Een patiëntenpleitbezorger helpt problemen op te lossen inzake gezondheidszorg, medische rekeningen en jobdiscriminatie die verband houdt met de medische aandoening van de patiënt. Kankerpleitbezorgingsgroepen proberen om het publieke bewustzijn te verhogen over belangrijke kankeronderwerpen zoals de behoefte aan kankerondersteuningsdiensten, kennis en onderzoek. Dergelijke groepen voeren veranderingen door om kankerpatiënten en hun families te helpen.

Petechiae

Kleine rode of paarse vlekjes die veroorzaakt worden door gebroken haarvaatjes.

PCR/Polymerasekettingreactie

Een techniek om de sequentie te bepalen die voor een gen codeert. Pathologen* gebruiken PCR om unieke mutaties* (veranderingen van de coderingssequentie) te identificeren, die de vingerafdruk voor bepaalde types leukemie zijn.

Pesticide

Elke stof die wordt gebruikt om insecten en ander ongedierte te doden.

Philadelphiachromosoom

Een afwijking van chromosoom 22 waarin een gedeelte van chromosoom 9 overgebracht is. Beenmergcellen met het philadelphiachromosoom komen vaak voor bij chronische* myeloïde leukemie.

Ponatinib

Een medicijn dat gebruikt wordt om patiënten met CML alsook Philadelphiachromosoom-positieve (Ph+) acute lymphoblastische leukemie (ALL) te behandelen. Sommige vormen van CML, diegenen

die de T315I-mutatie hebben, zijn resistent aan de therapiën met andere tyrosinekinaseremmers zoals imatinib. Ponatinib wordt gebruikt om CML met deze specifieke mutatie te behandelen.

Prognose

Het waarschijnlijke resultaat of verloop van een ziekte; de kans op herstel of *recidief**.

(Cel)proliferatie

Een toename van het aantal cellen als gevolg van celgroei of celdeling.

Proteïnen

Proteïnen of eiwitten zijn voedingsstoffen die bestaan uit aminozuren. Ze zijn essentieel voor de werking van het lichaam. Ze staan in voor transport en communicatie tussen cellen, voor chemische verandering en om de structuur van bijvoorbeeld cellen te handhaven.

Radiotherapie

Therapie waar bestraling wordt gebruikt voor de behandeling van kanker. De stralen worden zo precies mogelijk op de tumor gericht

Recidief

Kanker of ziekte die recidiveert (terugkomt), gewoonlijk na een periode waarin ze afwezig was of niet meer kon worden waargenomen. De kanker kan op dezelfde plaats terugkomen als de oorspronkelijke (primaire) tumor, of op een andere plaats in het lichaam. Wordt ook recidiverende kanker of ziekte genoemd.

Rode bloedcel

Het vaakst voorkomende type bloedcel. De rode bloedcellen geven het bloed zijn typische rode kleur. The main function is the transport of oxygen.

Relaps

Het terugkeren van de verschijnselen en symptomen van een ziekte na een periode van verbetering. Bij kanker, de terugkeer van de kanker na een remissie*. Een ander woord is herval.

Remissie

Een afname van de symptomen van kanker of het volledig verdwijnen ervan. Bij een gedeeltelijke remissie verdwijnen of verminderen enkele, maar niet alle, symptomen van kanker. Bij een complete remissie zijn alle tekenen van kanker verdwenen, ook al kan er nog kanker in het lichaam aanwezig zijn.

Refractair (voor behandeling)

In de geneeskunde wordt hiermee bedoeld op een ziekte of aandoening die niet op een bepaalde behandeling reageert.

Risicofactor

Iets dat de kans op een ziekte verhoogt. Voorbeelden van risicofactoren voor kanker zijn leeftijd, familiale voorgeschiedenis van bepaalde kankers, gebruik van tabaksproducten, blootstelling aan *bestraling* of sommige chemische stoffen, sommige virale of bacteriële infecties en sommige genetische veranderingen.

(Bloed)stamcellen

Stamcellen hebben het opmerkelijke vermogen om zich te ontwikkelen in vele verschillende celtypes in het lichaam tijdens de eerste levensfase en de groei. Bovendien dienen ze in vele weefsels als een soort van intern herstelsysteem doordat ze zich in essentie ongelimiteerd kunnen opsplitsen om andere cellen aan te vullen zolang de persoon of het dier leeft. Wanneer een stamcel opsplitst, heeft elke nieuwe cel het vermogen om ofwel een stamcel te blijven ofwel een ander celtype te worden met een meer gespecialiseerde functie, zoals een spiercel, een rode bloedcel* of een hersencel. Stamcellen worden onderscheiden van andere celtypes door twee belangrijke eigenschappen. Ten eerste zijn het ongespecialiseerde cellen die in staat zijn zichzelf te vernieuwen door celsplitsing, soms na een lange periode van inactiviteit. Ten tweede, kunnen ze, in bepaalde fysiologische of experimentele toestanden, geïnduceerd worden om weefsel- of orgaanspecifieke cellen te worden met speciale functies. In sommige organen, zoals de darm en het beenmerg, splitsen stamcellen zich regelmatig om versleten beschadigde weefsels te herstellen of te vervangen.

Straling

Energie, in de vorm van deeltjes of elektromagnetische golven, die zich verplaatst door een ruimte. Voorbeelden zijn UV-stralen of röntgenstralen, die in de geneeskunde worden gebruikt.

T-cel

Een type witte bloedcel (lymphocyten) dat kan bepalen of iets in het lichaam thuishoort of niet. Ze doden de besmette cellen. Ze spelen een belangrijke rol in het immuunsysteem*.

Transplantaat

Gezonde huid, bot of ander weefsel afgenomen van een deel van het lichaam en gebruikt om van een ander deel van het lichaam verwijderd ziek of beschadigd weefsel te vervangen.

Trombocytopenie

Een aandoening waarbij het aantal bloedplaatjes* in het bloed lager is dan de normaalwaarde.

Tyrosinekinaseremmer

Een geneesmiddel dat interfereert met de celcommunicatie en -groei en tumorgroei kan voorkomen. Sommige tyrosinekinaseremmers worden gebruikt bij de behandeling van kanker.

Werkzaamheid

In de geneeskunde is dit het vermogen van een interventie om het gewenste voordelige effect te veroorzaken.

De ESMO / Antikankerfonds Gidsen voor Patiënten werden ontwikkeld om patiënten, hun familieleden en zorgverleners bij te staan in het begrijpen van verschillende kankertypes en in het evalueren van de beste behandelingsopties die beschikbaar zijn. De medische informatie die in de Gidsen voor Patiënten wordt beschreven is gebaseerd op de ESMO richtlijnen die opgesteld zijn om medische oncologen te begeleiden bij het bepalen van de diagnose, de opvolging en de behandeling van verschillende kankertypes. Deze gidsen worden ontwikkeld door het Antikankerfonds in nauwe samenwerking met de ESMO richtlijnen Werkgroep en de ESMO Kankerpatiënten Werkgroep.

Voor meer informatie bezoek www.esmo.org en www.antikankerfonds.org

