

Fakta om aplastisk anemi

Vad är aplastisk anemi?

Aplastisk anemi är blodbrist orsakad av minskad blodbildning i benmärgen. Medicinskt karakteriseras aplastisk anemi av en benmärg som producerar få blodceller (hypoplastisk benmärg) och pancytopeni (brist på trombocyter, röda- och vita blodkroppar samtidigt)¹. För patienter med aplastisk anemi innebär det

- Anemi och trötthet till följd av för få röda blodkroppar som syresätter blodet,
- Känslighet för infektioner då de har brist på vita blodkroppar som är viktiga för kroppens immunförsvar.
- Ökad blödningsbenägenhet på grund av brist på blodplättar. Blodplättar får blodet att koagulera och täpper till blodflödet när ett sår uppkommer.

Vad är svår aplastisk anemi?

Aplastisk anemi delas in i två grupper, "svår aplastisk anemi" och "icke-svår aplastisk anemi", beroende på benmärgens utseende och antalet cirkulerande blodkroppar (blodplättar, röda och vita blodkroppar). Vid aplastisk anemi beskrivs benmärgen som tom (aplastisk) eller med mycket få blodceller (hypoplastisk)². **Svår aplastisk anemi** innebär att benmärgen innehåller få blodceller och att två av tre blodvärden ligger under normala gränsvärden³

Hur vanligt är aplastisk anemi?

Det inträffar årligen 0,23 fall per hundra tusen invånare i Sverige⁴. Sjukdomen kan uppträda i alla åldrar men risken är störst att den drabbar ungdomar och unga vuxna och därefter stiger risken på nytt för äldre⁴. Båda könen drabbas av sjukdomen^{4,5}. Sjukdomen är vanligare i Asien än i Europa^{4,5}.

Insjuknandet i aplastisk anemi kan ske snabbt, eller ha ett långsamt förlopp som kan förvärras med tiden².

Vilka är riskfaktorerna för aplastisk anemi?

Aplastisk anemi utvecklas när benmärgen skadas och produktionen av nya blodceller minskar. Faktorer som kan öka risken är^{2,4}:

- Strålning eller cytostatika
- Toxiska kemikalier
- Vissa läkemedel, till exempel kloramfenikol
- Blodsjukdomar, autoimmuna sjukdomar och allvarliga infektioner
- Graviditet (ovanligt)
- Vissa genetiska förändringar

De flesta patienter med aplastisk anemi har en så kallad autoimmunt orsakad sjukdom⁴. Detta innebär att patientens immunsystem vänder sig mot den egna benmärgen och förstör stamceller. Aplastisk anemi är inte ärftlig⁴.

Vilka är behandlingsalternativen vid aplastisk anemi?

Behandlingen mot aplastisk anemi syftar till att hämma immunförsvaret och öka antalet blodceller. Patienter med aplastisk anemi erbjuds oftast understödande behandling, genom blodtransfusioner ersätts de blodkroppar och blodplättar som fattas. Detta kan kombineras med stamcellstransplantation och/eller med immunosuppressiva läkemedel för att påskynda benmärgens återhämtning¹.

Stamcellstransplantation är det enda alternativet som i dagsläget kan bota patienter, upp till nittio procent överlever när donatorn är ett syskon^{6,7}. För de flesta patienterna med aplastisk anemi erbjuds immunosuppressiva läkemedel som första behandling, då flertalet patienter inte är möjliga att behandla med stamcellstransplantation. Orsaken kan vara att matchande donator saknas, att patienten har för hög ålder eller att patientens allmäntillstånd är otillfredsställande. En tredjedel av patienterna som behandlas med immunosuppressiva läkemedel svarar inte på behandling¹. Dessa patienter har så kallad svår aplastisk anemi.

Bland de två tredjedelar som inledningsvis svarar på immunosuppressiva läkemedel är det omkring 30 till 40 procent som får återfall^{9,10}. Även dessa patienter har så kallad svår aplastisk anemi och lider ofta av kronisk cytopeni¹. Denna patientgrupp är svårbehandlad och flera olika behandlingsalternativ har prövats men utan förbättrat resultat.

Under hösten 2015 godkändes ett nytt läkemedel, eltrombopag, för behandling av vuxna patienter med förvärvat svår aplastisk anemi (SAA) som inte svarar på standardbehandling med immunosuppressiva läkemedel eller där benmärgstransplantation inte är lämpligt¹¹. Eltrombopag verkar genom att stimulera nybildandet av blodceller. I studien som ligger till grund för marknadsgodkännandet ledde behandling med eltrombopag till att omkring fyrtio procent av patienterna med svår aplastisk anemi fick normaliserade blodvärden¹¹.

Referenser

1. Desmond R, Townsley DM, Dunbar C, Young NS. Eltrombopag in aplastic anemia. *Semin Hematol.* 2015;52(1):31-37.
2. Staff MC. Diseases and Conditions Aplastic anemia- Causes. <http://www.mayoclinic.org/diseases-conditions/aplastic-anemia/basics/causes/con-20019296>. Accessed 22 januari, 2016.
3. Rosenfeld S, Follmann D, Nunez O, Young NS. Antithymocyte globulin and cyclosporine for severe aplastic anemia: association between hematologic response and long-term outcome. *JAMA.* 2003;289(9):1130-1135.
4. Information från Blodcancerförbundet- Aplastisk Anemi- Författare: Per Ljungman Professor i hematologi Karolinska Universitetssjukhuset. 2011; <http://www.blodcancerforbundet.se/blodcancer/uploads/diagnoser/Aplastisk%20anemi%20low.pdf>.
5. Young NS, Kaufman DW. The epidemiology of acquired aplastic anemia. *Haematologica.* 2008;93(4):489-492.
6. Deeg HJ, Leisenring W, Storb R, et al. Long-term outcome after marrow transplantation for severe aplastic anemia. *Blood.* 1998;91(10):3637-3645.
7. Storb R, Etzioni R, Anasetti C, et al. Cyclophosphamide combined with antithymocyte globulin in preparation for allogeneic marrow transplants in patients with aplastic anemia. *Blood.* 1994;84(3):941-949.

8. Valdez JM, Scheinberg P, Nunez O, Wu CO, Young NS, Walsh TJ. Decreased infection-related mortality and improved survival in severe aplastic anemia in the past two decades. *Clin Infect Dis*. 2011;52(6):726-735.
9. Scheinberg P, Young NS. How I treat acquired aplastic anemia. *Blood*. 2012;120(6):1185-1196.
10. Scheinberg P, Nunez O, Weinstein B, et al. Horse versus rabbit antithymocyte globulin in acquired aplastic anemia. *N Engl J Med*. 2011;365(5):430-438.
11. Fass Revolade. <http://fass.se/LIF/product?nplId=20090111000017>.