



LEIDS UNIVERSITAIR MEDISCH CENTRUM

Patiënten informatie brief

Behandeling met ATGAM bij aplastische anemie in het Leids Universitair Medisch Centrum (LUMC)

Geachte heer/mevrouw,

Deze brief bevat informatie over de ziekte aplastische anemie en de behandeling met ATGAM.

Wat is Aplastische anemie (AA)?

Bij u is de diagnose aplastische anemie (AA) gesteld. Dit is een aandoening van het beenmerg waardoor er te weinig bloedcellen worden aangemaakt. Dit tekort aan bloedcellen kan leiden tot verschillende klachten en complicaties. Een tekort aan rode bloedcellen kan leiden tot symptomen als vermoeidheid, hoofdpijn, duizeligheid of kortademigheid bij inspanning. Door het gebrek aan witte bloedcellen (specifiek de neutrofiële granulocyten, waarvan het tekort neutropenie wordt genoemd) kan uw afweer afnemen met als gevolg een verhoogd risico op chronische of ernstige infecties. Als laatste kan een tekort aan bloedplaatjes (bekend als trombocytopenie) leiden tot een verhoogd risico op blauwe plekken en bloedingen. Omdat deze complicaties levensbedreigend kunnen zijn, is het noodzakelijk dat u een adequate behandeling ontvangt die gericht is op het herstellen van de beenmergfunctie.

Welke behandelingen van AA zijn er?

Er bestaan twee soorten behandeling die bij een ernstige AA (SAA) de beenmergfunctie kunnen herstellen; het ondergaan van een stamceltransplantatie of het ondergaan van een behandeling waarbij de eigen afweer kortdurend wordt uitgeschakeld. Deze laatstgenoemde behandeling wordt immuunsuppressieve therapie (IST) genoemd. Voor de keuze van de behandeling wordt gekeken welke behandeling het beste bij u past. Hierbij wordt rekening gehouden met de ernst van de aplastische anemie, met de beschikbaarheid van een goede stamcel donor en met uw leeftijd. In deze informatiebrief wordt informatie gegeven over de standaard immuunsuppressieve therapie (IST) zoals die gegeven wordt bij aplastische anemie. Voor informatie over een stamceltransplantatie verwijzen we u naar de LUMC website [allogene stamceltransplantatie](#).

De huidige standaard IST voor ernstige aplastische anemie is gebaseerd op de combinatie van anti-thymocyten globuline (ATG) dat gedurende een aantal dagen via een infuus wordt gegeven en Cyclosporine A (CsA) dat minimaal zes maanden als tablet wordt gegeven. Het is aangetoond dat deze behandeling kan resulteren in een verbetering van de bloedwaarden bij ongeveer 2/3 van de patiënten. Er zijn verschillende soorten ATG. Uw behandelend arts hebben besloten u te behandelen met ATGAM, een ATG dat gemaakt wordt met behulp van paarden.

Hoe wordt ATG gegeven en hoe werkt het?

Voor de behandeling met ATG is een ziekenhuisopname nodig. Er wordt bij u onder plaatselijke verdoving een dunne katheter ingebracht in een grote ader in de bovenarm



(P.I.C.C.-katheter). Deze is nodig voor het toedienen van de ATG en mogelijke transfusies. Ook kan via de katheter bloed afgenomen worden. U zult tijdens vier achtereenvolgende dagen de ATG gedurende een aantal uur per dag toegediend krijgen. Tegelijkertijd zult u medicatie ontvangen om allergische reacties te voorkomen die mogelijk optreden gedurende de toediening van ATG. Het ATG maakt afweercellen in uw lichaam kapot, wat gepaard kan gaan met een directe reactie van uw lichaam

Wat zijn bijwerkingen van ATG?

Tijdens of vlak na de toediening van ATG kunnen directe reacties optreden zoals huiduitslag, benauwdheid, rillingen en koorts. Daarnaast kan een tijdelijke verdere afname van bloedcellen, met name bloedplaatjes, optreden. Zeldzame bijwerkingen zijn een allergische shock (een reactie van het lichaam waarbij de bloeddruk heel laag wordt), afwijkende stollingstesten in het laboratorium, en het vasthouden van vocht. Behalve deze directe bijwerkingen zijn er ook bijwerkingen die een aantal dagen na de ATG behandeling kunnen optreden. Dit wordt serumziekte genoemd; het betreft een ziektebeeld waarbij zich onder andere gezwollen pijnlijke gewrichten, geelzucht, koorts en huiduitslag kunnen voordoen tussen 1-3 weken na aanvang van de behandeling. U zult gedurende een aantal weken behandeld worden met prednison ter voorkoming van deze serumziekte. Voor ATG geldt dat het afweer onderdrukkend effect kan leiden tot een verhoogde vatbaarheid voor infecties en om deze reden zult u ook preventief antibiotica ontvangen.

Hoe wordt Cyclosporine gegeven en hoe werkt het?

Cyclosporine A (CsA) neemt u middels tabletten of drank in (indien noodzakelijk kan CsA ook via een infuus worden toegediend). CsA onderdrukt actieve afweercellen (lymfocyten) in uw lichaam en vergroot daardoor de kans op succes van de behandeling met ATG. U zult de cyclosporine gedurende minimaal 6 maanden slikken. Omdat de effectiviteit van dit middel afhangt van de hoeveelheid die in uw bloed zit (dit wordt de spiegel genoemd), wordt deze hoeveelheid geregeld in uw bloed gemeten. Op basis hiervan kan de dosering worden aangepast. Indien de behandeling effectief blijkt en er sprake is van een verbetering van de bloedwaarden zal de cyclosporine langer dan een half jaar gegeven worden (maanden tot jaren) en uiteindelijk langzaam worden afgebouwd.

Wat zijn de bijwerkingen van Cyclosporine?

Bekende bijwerkingen van CsA zijn onder andere een verhoogde bloeddruk, afname van de nierfunctie, een verstoorde leverfunctie (vooral door een stijging van het bilirubine gehalte), beven, toename van lichaamsbehaarings, toenemende dikte van het tandvlees en hoofdpijn. Normaliter zijn alle bijwerkingen gerelateerd aan een verhoogde CsA dosis en daarom zal de hoeveelheid CsA in het bloed regelmatig gemeten worden om overdosering te voorkomen. Ook voor CsA geldt dat het afweer onderdrukkend effect kan leiden tot een verhoogde vatbaarheid voor infecties.

Wat gebeurt er na de ziekenhuisopname?

Indien zich geen onverwachte gebeurtenissen voordoen, wordt u één dag na de laatste ATG infusie ontslagen. In de periode daarna wordt u 1 à 2 maal per week gecontroleerd op de polikliniek hematologie door een hematoloog of verpleegkundig specialist. Daar wordt beoordeeld of u transfusies nodig heeft en of de dosering CsA moet worden aangepast. Daarnaast wordt de prednison die in het ziekenhuis gestart werd om de bijwer-

kingen van de ATG tegen te gaan, poliklinisch afgebouwd en gestaakt. Als u in deze periode koorts ontwikkelt dient u contact op te nemen met uw behandelend hematoloog of verpleegkundig specialist. Een verbetering van de bloedwaarden kan tot zes maanden na de ATG behandeling optreden. Na de ATG behandeling zal nog minstens één maal een beenmergonderzoek gedaan worden om te bepalen hoe de bloedaanmaak is. In de regel zal dit beenmergonderzoek zes maanden na de behandeling plaats vinden.

Wat gebeurt er als deze behandeling niet aanslaat?

Als de behandeling met ATG niet aanslaat, dus als er geen verbetering van de bloedwaarden wordt gezien, zal uw behandelend arts met u bespreken welke andere mogelijkheden er zijn. Er kan overwogen worden een tweede kuur met ATG te geven. Vaak wordt hiervoor dan een ander soort ATG gebruikt. Een andere mogelijkheid is dat er alsnog een stamceltransplantatie wordt uitgevoerd. Er kan ook voor gekozen worden niet meteen over te gaan tot een volgende behandeling. De keuze van het vervolgtraject hangt van verschillende factoren af.

Waar kan ik meer informatie vinden?

Uitgebreide informatie over de oorzaken, symptomen, diagnose en behandeling van aplastische anemie is te lezen op de website van de [Nederlandse Vereniging voor Hematologie \(NVvH\)](#). Er is ook een patiëntenvereniging [Stichting AA&PNH contactgroep](#).