

Chronická myeloidní leukémie (CML)



Fakta

- ✓ CML je vzácné zhoubné onemocnění krve, které nejčastěji postihuje dospělé mezi 40-60 lety.
- ✓ U pacientů s CML dochází k vytlačování bílých krvinek, červených krvinek a krevních destiček leukemickými buňkami, což brání normálním buněčným a imunitním funkcím.

2005

- ✓ Imatinib, první inhibitor tyrosinkinázy (TKI), díky schopnosti působit na nádor přímo na buněčné úrovni přináší revoluci, která téměř ztrojnásobuje šance pacientů na přežití.
- ✓ Někteří pacienti ale na léčbu nereagují, objevují se intolerance na imatinib a u některých pacientů se vyvine rezistence na lék. Je třeba hledat jiné možnosti léčby.

2016

- ✓ Existují nové, cílené terapie, které jsou schopné účinně léčit mnoho nedávno identifikovaných zmutovaných forem CML, a to díky narušení signálů, které vedou k růstu nádorových buněk.
- ✓ Široké spektrum terapeutických možností umožňuje vytvoření individualizovaných léčebných plánů, které reflektují specifický genetický profil pacienta.
- ✓ Dnes mají pacienti s CML téměř normální délku života.

Chronická lymfocytická leukémie (CLL)



Fakta

- ✓ CLL je vzácná forma zhoubného onemocnění krve, která se typicky vyvíjí pomaleji než akutní formy leukémie.
- ✓ CLL se nejčastěji vyskytuje u pacientů po středním věkovém období a vzácně u dětí.
- ✓ U pacientů s CLL se vytváří abnormální lymfocyty, které se hromadí v těle. Lymfocyty jsou bílé krvinky, které mají klíčovou roli pro imunitní systém v boji s infekcí. Akumulace abnormálních lymfocytů oslabuje imunitní systém.
- ✓ S postupujícím oslabováním imunitního systému se u pacientů s CLL může vyskytnout otok lymfatických uzlin, velká únava, horečka a větší náchylnost k infekcím.

2005

- ✓ Chemoterapie je hlavní volbou při léčbě pacientů s CLL.
- ✓ Oslabení pacienti s CLL chemoterapii často obtížně tolerují. Léčba dále vyčerpává jejich imunitní systém.
- ✓ Pro tyto pacienty je potřeba hledat další typy léčby, s menším množstvím vedlejších účinků.

2016

- ✓ Nové, cílené typy léčby jdou přímo po příčinách onemocnění. Díky tomu se daří dostat mnoho pacientů s CLL do remise, bez rizika dalšího oslabení imunitního systému.
- ✓ Použití inovativních inhibitorů receptorů B buněk (BCR) a cílených monoklonálních protilátek, jako je rituximab, je rozvíjející se léčebná možnost pro všechny pacienty i pro pacienty s vyšší imunosupresí.

Plicní arteriální hypertenze (PAH)



Fakta

- ✓ PAH je chronické onemocnění, které zvyšuje zátěž pro srdce v důsledku zesílení a zúžení tepen v plicích.
- ✓ PAH vede k dušnosti, bolesti na hrudi, závratím, mdlobám a otokům paží a nohou. V závažných případech může způsobit srdeční selhání.

2005

- ✓ Standardním postupem je intravenózní léčba, která ale pouze omezuje příznaky. Neléčí základní příčinu onemocnění.
- ✓ Pacienti musí omezit fyzickou aktivitu, aby snížili riziko srdeční příhody.
- ✓ Pacienti trpí úzkostí kvůli riziku srdečních příhod a komplikací, které mohou nastat kvůli neexistenci účinnějších metod léčby.

2016

- ✓ Inhalační a perorální formy prostacyklinové léčby rozšiřují možnosti léčby.
- ✓ Principem nových typů léčby není potlačení příznaků, ale řešení základní příčiny PAH.
- ✓ Pacienti mohou udržovat aktivní životní styl se snížením rizika závažných srdečních příhod souvisejících s PAH.

Vrozený angioedém (HAE)



Fakta

- ✓ HAE je vzácná a potenciálně život ohrožující, dědičná genetická porucha, která způsobuje edém (otok) rukou, chodidel, obličeje, dýchacích cest a trávicího traktu.
- ✓ Genové mutace přispívají k vývoji HAE. Pacienti mají jednu nebo více těchto mutací, což vede k různým účinkům na tělo, včetně ovlivnění schopnosti těla regulovat krevní systémy účastníci se boje s onemocněním, zánětlivé odpovědi a koagulace.
- ✓ Onemocnění je kvůli velmi vzácnému výskytu (1 z 10 000 až 50 000 lidí) často nediagnostikováno nebo jen nedostatečně diagnostikováno.

2005

- ✓ Vědci mají málo informací o základní příčině HAE.
- ✓ Nebyly schváleny žádné specifické typy léčby HAE.
- ✓ Pacienti s HAE měli omezené možnosti úlevy od příznaků záchvatu a často museli podstupovat invazivní procedury pro úlevu od nebezpečného otoku.

2016

- ✓ Nové poznatky o příčině HAE vedly k průlomům jak v preventivní, tak v akutní léčbě pacientů.
- ✓ FDA schválila v nedávných letech několik léků pro léčbu HAE, které jsou zacíleny na příčinu onemocnění.
- ✓ Nové injekční přípravky k zastavení záchvatů HAE si mohou pacienti podávat sami, přímo doma.

Cystická fibróza (CF)



Fakta

- ✓ CF je život ohrožující onemocnění, které primárně postihuje plíce a trávicí systém.
- ✓ CF je způsobena mutacemi genu označeného jako CFTR (transmembránový regulátor vodivosti). Ten způsobuje, že tělo vytváří hustý, viskózní hlen, který ucpává plíce, slinivku a další orgány.
- ✓ Očekávaná délka života dítěte s CF se v posledních 30 letech v důsledku pokroků v léčbě zdvojnásobila.

2005

- ✓ Průměrná očekávaná délka života u pacientů s CF je 20–30 let.
- ✓ Ačkoli pokroky v léčbě onemocnění významně zlepšují očekávanou dobu dožití u pacientů, je třeba hledat lepší způsoby zvládnutí příznaků onemocnění a možnosti prodloužení života pacientů s CF.
- ✓ Léčba se zaměřuje pouze na příznaky CF, ne na příčinu onemocnění.

2016

- ✓ Časnější screening a lepší léčba přispěly k prodloužení očekávané délky života pacientů. Pokud bude mortalita nadále klesat současným tempem, mohou pacienti doufat, že se dožijí i více než 50 let.
- ✓ K zvládnutí doprovodných infekcí jsou k dispozici lepší aplikační mechanismy inhalačních antibiotik, které umožňují podání do 3 minut a jsou uživatelsky příjemnější.
- ✓ Léčba pomocí pankreatických enzymů schválená FDA usnadňuje trávení a vstřebávání a pomáhá pacientům v udržení potřebných živin a zachování zdravějšího a aktivnějšího způsobu života.
- ✓ Poprvé jsou dostupné cílené typy léčby zaměřené na základní příčinu CF, což zlepšuje funkci plic u pacientů s mnoha genetickými podtypy.