

Fakta om järninlagring vid blodtransfusioner – ett livshotande tillstånd

Järnförgiftning

Vid vissa svåra blodsjukdomar är det nödvändigt med blodtransfusioner för att lindra konsekvenserna av den onormala blodbildningsprocessen. Tre sådana sjukdomar är talassemi, myelodysplastiska syndrom (MDS) och sickelcellanemi. Transfusionerna kan ges vid behov, som livslång behandling några gånger om året eller varje vecka.

Det stora problemet med blodtransfusioner är det järn som lagras i kroppen. Järn är nödvändigt och finns i kroppens alla celler och i blodet i form av hemoglobin (Hb), det röda ämnet i våra blodkroppar som förser cellerna med syre.

Men järn är också ett gift. Eftersom kroppen på egen hand endast förmår göra sig av med järn i små mängder kommer regelbundna transfusioner att bygga upp ett växande överskott av järn i cellerna. Till sist blir nivåerna livshotande höga. Patienten utvecklar kronisk järnförgiftning, ett mycket allvarligt tillstånd med stor risk för skador på organ som hjärta, lever och bukspottkörtel samt lederna. Tidiga symtom på järnförgiftning är bland andra illamående, kräkningar och magsmärtor.

Nivåerna höjs snabbt

Ett normalt årligt upptag av järn ligger runt 300 milligram. En frisk vuxen man som väger 70 kilo har omkring 5 gram järn i kroppen. Vid återkommande blodtransfusioner höjs nivåerna snabbt.

Vid vissa blodsjukdomar är det nödvändigt att börja med transfusioner i mycket låg ålder. En normal transfusionsbehandling av ett barn med talassemi som väger 20 kilo är 200-250 milliliter koncentrerade röda

blodkroppar var tredje vecka. Varje behandling ger patienten 0,7 milligram järn per milliliter blod. Det motsvarar omkring 3 gram per år. (1)

Behandling av kroniskt järnöverskott

För att minska mängden järn i kroppen krävs behandling med läkemedel som binder och avlägsnar överskottet (järnkelatkomplexbildare).

Den traditionella behandlingen mot järnöverskott är Desferal (deferoxamin) som ges som dropp upp till tolv timmar, fem till sju gånger per vecka. Behandlingen är effektiv men också mycket påfrestande för patienten, vilket leder till att många patienter avslutar eller undviker behandlingen (2). Följden blir att de riskerar allvarliga skador på organ som bland annat lever och hjärta på grund av järnöverskott i kroppen (3).

Ett annat läkemedel är Ferriprox (deferipron) som är godkänt för behandling av patienter med beta-talamassi när Desferal inte kan användas eller inte räcker. Läkemedlet ges i tablettform tre gånger per dag.

Exjade – ett värdefullt tillskott

Exjade (deferasirox) är ett läkemedel som är godkänt för behandling av kroniskt järnöverskott på grund av blodtransfusioner hos patienter med anemi. Läkemedlet fångar upp överskottet som därefter försvinner med avföringen. Exjade rörs ut i ett glas vatten och tas en gång dagligen.

De vanligaste rapporterade biverkningarna är illamående, kräkningar, diarré, magbesvär och klåda.

Landstingens läkemedelsförmånsgrupp har i ett yttrande till Läkemedelsförmånsnämnden (nuvarande Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket) anfört att Exjade är ett värdefullt tillskott och sannolikt en väsentlig utveckling för behandlingen av kroniskt ökad järnupplagring.

Särläkemedel

Exjade är ett särläkemedel. Med det avses ett läkemedel som behandlar en allvarlig eller livshotande sjukdom som drabbar färre än fem personer per 10 000. Det får inte heller finnas någon annan tillgänglig terapi för den aktuella indikationen eller om det finns skall läkemedlet vara till stor nytta för dem som lider av detta tillstånd. Angelägenhetsgraden för dessa läkemedel anses vara hög.

(1) Lars Sandström et al. Talassemi på väg in i landet. Ny patientgrupp på svenska barnkliniker. Läkartidningen, Vol 93, Nr 1-2, 1996.

(2) Nisbet-Brown E. Effectiveness and safety of ICL670 in iron loaded patients with thalassemia: a randomised, double-blind, placebo-controlled, dose-escalation trial. The Lancet. 2003. 361.

(3) Kushner, JP, Porter JP, Olivieri NF. Secondary Iron Overload. Hematology. 2001 Jan 1: 47-61.

Kontaktinformation

För mer information, kontakta:

Bengt Gustavsson, medicinsk chef Norden, Novartis Onkologi

Mobil 0708-89 33 97

bengt.gustavsson@novartis.com