

PIOblad

Nytt från Primär immunbrist organisationen Nr I 2013

Tema - Behandling

Preparat och tillbehör

Vad bestämmer priset?



Ny artikel-serie:

Ung med primär immunbrist

Innehåll

- 1 Hänt se'n sist
- 2 PIOs forskningsstöd till studie om thymus och T-cellernas funktion
- UNG MED PRIMÄR IMMUNBRIST**
- 3 Presentation av ungdomsskribenten
- 3 Vinnarbilder från PIOs familjeläger
- 4 Föddes med SCID - nu 19 år
- 5 Vinnare i Polarcupen - primär immunbrist inget hinder
- TEMA - BEHANDLING**
- 6 Antibiotika
- 8 Immunglobulin - ett livskvalitetshöjande koncentrat av antikroppar
- 10 Tillsyn och prissättning
- 11 Immunglobulinets historia
- 12 Behandling vid HAE
- 12 Sär läkemedel - vad är det?
- 13 Fler behandlingar och tips på självhjälp
- LÄNS- OCH LOKALAVDELNINGARNA INFORMERAR**
- 15 PIO Jönköping - Vi testar något nytt



3-5



15

Redaktionellt

PIObladet utkommer med 4 nr/år (3 utgivningar med dubbelnummer på hösten).

Utgivningsplan

Manusstopp	Prel utgivningsdatum
15 januari	18 mars
15 april	18 juni
15 september	18 november

För medlemmar ingår tidningen i medlemsavgiften, 200 kr/år. Prenumerationsavgiften för icke medlemmar är 100 kr/år. För prenumeranter utanför Sverige 150 kr/år.

Omslagsbild "Mini-minigolfaren".

Foto: Roger Jansson, vinnare i kategori "Vuxen" vid familjelägers fotbollstävling, 2013

ISSN 1103-6249

Redaktör

Ann-Sofie Isaksson Nordmark
Sävestnäs 211, 961 93 BODEN
E-postadress: ann-sofie.isaksson@pio.nu

PIObladets samrådsgrupp

Anders Fasth, Anneli Larsson, Maria Michelfelder,
Ann-Sofie Isaksson Nordmark

Gästmedarbetare 2012

Maria Ros Jernberg, Generalsekreterare - FRIL,
Frivilligorganisationernas Insamlingsråd

Tryck

GTC Print AB, Luleå

Hänt se'n sist...

Välkommen till årets första nummer av PIObladet. I det här numret är temat behandling, ni kommer att få läsa om preparat och rutiner kring behandling av primär immunbrist och HAE, vad ett sälläkemedel är och några tips på självhjälp. Och Ann Gardulf har skrivit en intressant artikel om gammaglobulinets historia.

Nytt för det här numret av PIObladet är att vi har fått en ungdomsskribent, Oscar Larsson, vilket vi är mycket glada för. Oscar kommer att ta upp aktuella ämnen för unga vuxna med primär immunbrist. Ni kommer att få läsa om Gustav som gillar utförsåkning och vara ute i renskogen och Christoffer som är konst- och musikintresserad.

PIO:s forskningsstöd presenteras också i detta nummer, som 2012 tilldelades Judith Gudmundsdottir. Hon kommer för övrigt att föreläsa vid årsmötet som hålls i Göteborg den 16-17 mars.

Statsbidraget är PIOs största inkomstkälla som möjliggör att ha personal som verkställer årsmötets beslut om vilka mål och områden PIO ska arbeta inom. Varje år omprövas bidraget. Glädjande har PIO återigen beviljats Statsbidrag för 2013 av synnerliga skäl. "Synnerliga skäl" betyder att PIO får Statsbidrag trots att organisationen inte har 10 stycken läns- och lokalavdelningar. Avdelningarna fyller en mycket viktig funktion när det gäller medlemsstöd och påverkansfrågor. Stötta din avdelning genom att delta vid möten och fundera över hur du kan hjälpa till. Det är viktigt att befintliga läns- och lokalavdelningar finns kvar.

En kall helg i januari träffades representanter från PIOs styrelse och anställda för att planera

verksamheten i tre år framåt, utifrån de fastställda målen. Det var en mycket givande och inspirerande helg. PIOs nya 3-års plan kommer att presenteras vid årsmötet.

Vid årsmötet kommer även den nya medlemsenkäten att redovisas. Tack alla som svarade på den! Era svar är viktiga för PIOs fortsatta arbete. Vuxenenkäten hade en svarsfrekvens på 68% och barnenkäten på 53%.

Den 22-29 april (vecka 17) är utsedd till Världsimmunbristveckan. Under vecka 17 kommer olika aktiviteter att genomföras runt om i världen för att öka kunskap och sprida kännedom om primär immunbrist. I Sverige kommer PIO i samarbete med fem bolag bland annat att genomföra en föreläsningsdag i Stockholm den 27 april. Föreläsningarna ska livesändas via internet. Olika typer av informationsmaterial kommer att tas fram för att sprida information om primär immunbrist. Vill du hjälpa till att sprida information kan du kontakta PIO-kontoret. Fr.o.m. mars/april finns det även information på vår kampanjsida www.immunbristveckan.nu. Under Världsimmunbristveckan kommer PIO även att samla in pengar till PIOs forskningsfond.

Jag önskar er en trevlig läsning!

Varma hälsningar
Maria Monfors
Ordförande



PIOs forskningsstöd till studie om thymus och T-cellernas funktion



Judith Guðmundsdóttir mottagare av PIOs forskningsstöd 2012
Text och foto Anneli Larsson

PIO:s forskningsstöd 2012 tilldelades Judith Guðmundsdóttir som arbetar vid Drottning Silvias barn- och ungdomssjukhus för en studie om T-celler. Studien bedrivs vid Göteborgs universitet.

De för vårt immunförsvar viktiga T-cellerna utbildas i thymus. Trots detta tas thymus rutinmässigt oftast bort helt eller delvis på barn som genomgår hjärtoperationer. Man trodde länge att thymus saknade betydelse efter födelsen men idag vet man att thymus har en viktig funktion även efter födelsen. Thymus är placerad framför hjärtat och tas bort för att man lättare ska komma åt att genomföra hjärtoperationen. Hjärtoperationer har blivit allt vanligare sedan början av sjuttioalet.

På nittioalet genomfördes en studie av Anders Fasth och Sólveig Óskarsdóttir vid Drottning Silvias Barn- och ungdomssjukhus av barn födda 1993-1995 för att bl.a. se andelen T-celler hos barnen före och efter hjärtopera-

tion. Den studie som nu startats av Judith Guðmundsdóttir är en fortsättning på studien som genomfördes på 90-talet för att undersöka hur den gruppen barn som genomgick hjärtoperation 1993-1995 mår idag som vuxna och hur deras T-celler är jämfört med friska jämnåriga. Man vet från tidigare resultat och andra studier att vissa av personerna har lägre antal T-celler och att dessa T-celler verkar dåliga på att skapa nya receptorer. Frågan är dock om det kanske räcker med de

T-celler som fanns i kroppen innan thymus togs bort.

Genom studien hoppas Judith Guðmundsdóttir på ökad kunskap om thymus och T-cellernas funktion. Om inte cellerna i thymus uttrycker alla kroppens äggviteämnen utbildas inte T-cellerna korrekt. Om inte t.ex. insulin uttrycks, kan vissa T-celler felaktigt känna igen insulin som ett kroppsfrämmande ämne och kan då reagera emot insulinet. Personen får då diabetes. Primära immunbristsjukdomar som kännetecknas av felaktiga T-cellsreceptorer är exempelvis APECED och IPEX. Vid 22q11-deletionssyndomet har barnen en medfödd liten thymus och dessa individer uppvisar till viss del liknande förändringar i sitt immunsystem som dessa individer som blivit av med sin thymus.

Judith Guðmundsdóttir kom till Sverige från Island 2003 som ett led i sin läkarutbildning till barnläkare. För att bli specialistläkare måste Is-

ländska läkare färdas utomlands för att utbilda sig. Hon berättar att de allra flesta läkare återvänder till Island efter sin specialistläkarutbildning. Vi i PIO är glada att Judith Guðmundsdóttir ännu är kvar i Sverige och bidrar till att öka kunskapen om primär immunbrist och önskar stort lycka till med studien! •

FAKTA

T-celler/T-lymfocyter

T-celler kallas också T-lymfocyter och är särskilt viktiga för försvaret mot virus, svamp och sådana bakterier som kan överleva inuti celler, till exempel tuberkulosbakterier. Man kan förenklat säga att de går i skola i thymus (brässen) och lär sig att skilja mellan egna och främmande celler och ämnen. Resultatet av utbildningen i thymus är olika för olika T-celler. Vid examen kan man säga att det finns tre olika grupper av "elever" som lämnar thymus: De goda, de dåliga och de fula. Det är först då de goda eleverna man vill ha. De T-cellerna har receptorer som känner igen den egna cellen samt många olika specifika antigener (till exempel smittämnen) som är främmande för kroppen och flaggar för fara. Sen finns de dåliga som inte känner igen våra celler alls och är därför värdelösa, och slutligen de fula som känner igen de egna cellerna men överreagerar och binder sig för starkt till dem. Den starka bindningen kan t.ex. orsaka autoimmunitet. Exempel på autoimmuna sjukdomar är olika former av reumatism, diabetes och Crohns mag- tarmsjukdom.

Det är receptorer på T-cellerna som känner igen egna och främmande celler och ämnen. Efter att ha utbildats förs T-cellerna via blodet till lymfkörtlar, tonsiller och lymfkörtel-liknande vävnader i slemhinnorna i tarmar, luftvägar och urinvägar. Vissa T-celler har speciella uppgifter som att hjälpa och reglera andra lymfocyters funktion. T-hjälparceller ger hjälp till andra T-celler och till B-cellerna. T-mördarceller dödar framförallt virusinfekterade celler och T-reglerande celler stänger av immunreaktioner när infektionen är bekämpad. T-reglerande celler har också en viktig uppgift att hindra att autoreaktiva T- och B-celler uppkommer. Fungerar inte denna noggranna styrning av immunförsvaret uppkommer autoimmuna sjukdomar och allergier.

Ung med primär immunbrist

Ny artikelserie



Hej!

Jag heter Oscar Larsson och kommer att ta studenten från gymnasiet denna vår. Jag har då gått i skolan i 12 år, och tycker att det funkar bra trots min immunbrist. Visst har det varit perioder med mycket frånvaro från undervisningen, men det behöver inte vara ett så väldigt stort hinder bara skolan är villig att se och hitta lösningar på de problem man ställs inför. Jag har haft tur och fått bra hjälp och har trivts bra. Därför är min

plan att även fortsätta att studera på universitetet!

Framöver är målsättningen att jag i varje nummer ska skriva och berätta om saker som är viktiga för unga som lever med immunbrist. Jag kommer att ta upp sådant som rör både skolan och livet, beroende på vad ni vill läsa om. Förhoppningen med denna sida som riktar sig till ungdomar är att ni läsare ska få vara med och bestämma vad som tas upp i varje nummer. Ni

kanske har frågor eller funderingar som jag själv eller någon annan ung i PIO kan svara på, alternativt så tar jag kontakt med andra personer som kan svara. Ni kanske till exempel vill läsa om hur jag själv tänkt i situationer som rör skolgång och förhållningssätt till livet i stort, och då skriver jag om det. Eller så bidrar ni själva med tips och lösningar på olika problem som kan uppstå när man är ung och har immunbrist. Ni kan skriva berättelser likt den som Christoffer skrivit, eller den om Gustav som ni kan läsa här bredvid, men det går jättebra med bara en lite fråga eller fundering också!

Upplägget med denna sida är ganska fritt, mycket avgörs av vad ni läsare vill läsa om. Något nummer är det kanske en intervju med någon, ett annat en frågespalt. Mycket hänger på er, så våga fråga! Berätta för mig vad ni vill läsa om och ta kontakt med mig! Maila mig på oscar.larsson.2@gmail.com eller sök upp mig på facebook! Just nu finns det en ungdomsgrupp för personer med immunbrist på facebook som jag hoppas i och med detta får mer liv och fler medlemmar!

Så, kontakta mig! Ställ frågor! Dela med er! Då kan detta bli en levande sida med mycket bra utbyte av åsikter! •

Oscar Larsson
Ungdomsskribent PIObladet

Presentation av vinnarbilder från PIOs familjeläger på Uskavigården 2012

Kategori - Barn



"När jag blir stor..." Fotograf Emil Ahlqvist

Kategori - Ungdom



"Skönt att sträcka ut!" Fotograf Max Rice Edsbrand

Föddes med SCID - nu 19 år

Text: Christoffer Nordmark Foto: Ann-Sofie I Nordmark



Mitt namn är Christoffer

Jag föddes med en svår kombinerad immundefekt, SCID och efter stamcellstransplantation har jag hypogammaglobulinemi. Jag har levt med sjukdomen i 19 år, men efter transplantationen som jag fick 10 månader efter min födsel har jag inte haft

några allvarliga bekymmer. Sjukdomen kanske till och med har varit till en fördel för min natur; jag kommer ihåg hur blyg jag var för utomstående människor och hur rädd jag var för att kommunicera med andra barn. Och på grund av att jag hade denna sjukdom rekommenderade doktorn att jag skulle gå hos dagmamma i en liten grupp de första åren, för att undvika infektioner.

Nyfikna klasskompisar

De jobbigaste tillfällena jag minns är nog på idrotten som liten, då alla ögnade mitt ärr från Port-a-cathen med tallriksstora ögon. Jag har också varit förkyld längre och oftare än de flesta kompisarna. Men till skillnad från det har jag levt ett väldigt ordinarie liv hittills.

Konst & musik

Idag går jag estetiska programmet Bild, andra året i Luleå kommun - en knapp halvtimmes bussfärd från hemmet. Jag har en förtrollande flickvän som jag har flyttat in i ett härbre med. Jag har ett stort intresse för konst och musik - metalcore och deathcore som är en snabbare och hårdare version av rock. Och som många andra ungdomar spenderar jag våldsamma mängder tid vid datorn, men det finns faktiskt tid för kompisar då och då.

Framtidsplaner

Vad gäller immunbristen märker jag knappt av den, förutom de få tillfällen om året då jag besöker sjukhuset för provtagning och vaccination. I framtiden hoppas jag på att kunna jobba inom något estetiskt område. Min nuvarande strävan är att kunna åka till Japan och studera ett år på universitet efter gymnasiet. •

Har du sett...

att det finns en ny broschyr om immunbrist och immunoglobulinbehandling?

Kontakta din sjuksköterska för mer information.



Baxter – en aktiv partner inom primär immunbrist

P.s. broschyren är lättläst!



Baxter Medical AB
Box 63, 164 94 Kista
☎ (08) 632 64 00
www.baxter.se

Baxter

| 2013-01-31 | HD2013_003SE |

Vinnare i Polarcupen - primär immunbrist inget hinder

Text: Ulrica Lundgren Foto: Fam. Lundgren



Gustav är 17 år och går första året på Tärnaby Skidhem (en folkhögskola med Alpin träning på schemat). Han kämpar på med sin hypogammaglobulinemi och håller infektionerna hyfsat i schack med veckovis subkutanbehandling med Hizentra via tre infusionsställan (se bild) samt en del penicillinkurer under främst vinterhalvåret. Hösten 2011 fick Gustav första gången penicillin intravenöst, vilket rensade ut mycket av hans ständigt återkommande bakterier (främst Hemophilus) och det visade sig bli till stor nytta vintern 2011-2012, då han knappt behövde ha några svårare infektioner alls. En revolution i jämförelse med tidigare år!

Hänger med jämnåriga

Han är fysiskt mycket aktiv och håller främst på med utförsåkning och flyttade alltså till Tärnaby hösten 2012 för att gå på Tärnaby Skidhem och kombinera sin slalomträning med gymnasiala studier. Han har lyckats ha förmågan att hålla jämna steg med jämnåriga i sin idrott, trots att han under flera vintersäsonger delvis haft avbrott pga. sin hälsa. Gustav har kämpat vidare och har de senaste åren fått uppleva både uttagningar till svenska centralläger och fina placeringar i Ungdoms-SM och yngre junior-SM. Säsongen 2011/2012 vann han dessutom Polarcupen, en alpin cup för juniorer födda 1995/1996. Att som första års junior ta hem cupen var

stort och mycket roligt för honom och ett bevis på att det går att hänga med om än man har en medfödd immunbristsjukdom!

Fysisk aktivitet håller ohälsa stången

Vi (och läkarna) tror att hans fysiska aktivitet är till hjälp för honom att hålla ohälsan stången. I och med att han håller sig fysiskt aktiv får han på ett naturligt sätt hosta upp slem, vilket gör att bakterierna inte lika lätt får "fäste".

Trötthetskräkningar

Vidare tycker Gustav mycket om att följa med sin pappa Johan ut i renskogen, vilket också fungerar bra ur hälsosynpunkt i och med att även det handlar om att vistas ute. I dessa sammanhang måste han dock vara vaksam på sina krafter och lyssna på när kroppen säger till att det är dags för vila. Renskötelsarbete är ett fysiskt mycket krävande arbete och det har hänt att han kört på för hårt med sin kropp och sedan fått "trötthetskräkningar" efteråt. Men ju äldre han blir, ju bättre blir Gustav på att lära känna var gränsen går och avbryta i tid om än det är roligt.

Ett liv likt andra tonåringars

Det vi vill förmedla med artikeln är att inge hopp hos de som kanske nyligen har fått besked att deras barn har en immunbristsjukdom. Gustav har ett liv inte så olik andra tonåringars liv, så när som på några sjukhusbesök per år och medicinska behandlingar. •



Tema - Behandling

Antibiotika

Text Ann-Sofie I Nordmark

Granskad av ÖI Jesper Ericsson, Centrallasarettet, Västerås



"Penicillin helps me feel better" (Översatt: Penicillin hjälper mig att må bättre)
Illustration: Justin Lancaster, Bush 41 Library

Under temat *Behandling* har vi samlat information om de vanligaste behandlingsformerna vid primär immunbrist, försökt beskriva bregrepp och ge svar på funderingar som kan uppstå när man har en kronisk och ovanlig sjukdom. Som ex vis vad särläkemedel är och vad som styr priset på läkemedel. Men vi börjar med antibiotika, som nog de flesta har någon erfarenhet av - oavsett primär immunbrist eller ej.

I begynnelsen

År 1928 upptäckte Alexander Fleming av en slump att mögelsvampen *Penicillium notatum* kunde döda bakterier. En upptäckt som gjorde att många infektionssjukdomar som tidigare lett till döden blev möjliga att bota. Antibiotika är ett samlingsnamn för de

läkemedel som används vid behandling av infektioner orsakade av bakterier. Antibiotika framställs främst av naturliga ämnen som bildas av bakterier och svamp, men även på syntetisk väg. Antibiotika dödar eller hämmar tillväxt av bakterier.

Det finns antibiotika som påverkar många olika bakterier, s k brett spektrum. Dessutom finns det antibiotika som endast påverkar enstaka bakterier, s k smalt spektrum. All given antibiotika påverkar kroppens egen bakterieflora, framför allt i tarmen, men också på hud och slemhinnor. Antibiotika med smalt spektrum har oftast en mindre påverkan, varför det är viktigt att påvisa vilken bakterie det rör sig om så att man kan ge en riktad terapi, för att minska

risken för oönskade biverkningar, som diarré.

Antibiotika - ett samlingsnamn

Det finns flera grupper av antibiotika. Varje grupp antibiotika har sin unika metod för att döda eller hämma en bakteries tillväxt. Den mest använda gruppen är penicillin.

Penicilliner förhindrar uppbyggnaden av bakteriernas cellvägg, vilket innebär att bakterierna snabbt dör. Penicilliner i tablettform har ofta ett smalt spektrum och räknas som ekologiskt "snälla" preparat. Den vanligaste sorten, som samtidigt är det mest förskrivna luftvägspreparatet är Penicillin V, som ofta säljs under namnet Kåvepenin®. Amoxicillin (Amimox®) är ett annat luftvägspenicillin med litet bredare spektrum som även inkluderar *Haemophilus influenzae* bakterien, som ofta ger luftvägsinfektion vid immunbrist. En del penicillinpreparat kan också användas vid urinvägsinfektion, t. ex mecillinam (Selexid®).

Cefalosporiner som är närbesläktade med penicillinerna användes tidigare ofta som empirisk behandling, dvs en bred antibiotikatackning som man ger till svårt sjuka patienter inläggande på sjukhus innan man har fått svar på odlingar tagna från blod och andra infektionslokaler. Det har emellertid visat sig att cefalosporinanvändning är starkt kopplat till framväxt av bakterier som är resistent mot antibiotika varför man nu försöker vara återhållsam med cefalosporiner. Inom öppenvården har denna grupp av antibiotika en mycket liten plats då det inte har några effektmässiga fördelar gentemot penicillingruppen.

Tetracykliner är också bredspektrumantibiotika. De påverkar bl a bakteriernas ämnesomsättning, vilket medför att bakterierna inte kan föröka sig. Tetracykliner kan användas i de fall man är allergisk mot penicillin. Används bl a vid vissa typer av lunginflammationer, bihåleinflammationer och underlivs infektioner. Tetracykliner har god effekt mot *Streptococcus pneumoniae* (pneumokocker) och *Haemophilus influenzae*, som är de vanligast orsakerna till luftvägsinfektion vid immunbrist. Resistens hos bakterierna är ovanligt.

Tetracykliner bör inte ges till barn under åtta år eftersom det verksamma äm-

net tas upp av det växande skelettet och kan missfärga tandemaljen. Tetracykliner kan även orsaka hudreaktioner om man samtidigt utsätts för starkt solljus. Effekten av tetracykliner kan påverkas av andra läkemedel, bl a läkemedel som innehåller kalcium, järn, zink och/eller magnesium, vilka är vanliga i många vitamin-/mineralpreparat. Därför är det bra att berätta för sin doktor vilka andra läkemedel man tar innan man påbörjar en ny behandling.

Makrolider är även det ett alternativ vid allergi mot penicilliner. Används framförallt vid infektioner orsakade av mykoplasma, t ex lunginflammation. Det är vanligt med biverkningar från magen, särskilt hos barn. Azitromax är ett bredspektra preparat som ges dagligen i tablettform eller intravenöst mot infektioner. Det har också visat sig att Azitromax har en inflammationsdämpande effekt. En del personer med primär immunbrist som har haft mycket problem med lunginflammationer har stor nytta av att äta Azitromax tre dagar i veckan profylaktisk för att slippa lunginflammationer.

Kinoloner verkar genom att förhindra bakteriernas DNA produktion, varpå känsliga bakterier mycket effektivt avdödas. Kinoloner används mest vid svåra infektioner i ex vis urinvägar och vid kirurgiska infektioner. Kan även användas vid blodförgiftning eller förebyggande mot hjärnhinneinflammation. Kinoloner kan påverka ledbrösket och bör därför helst inte användas av barn och ungdomar. Kinoloner är framför allt ett antibiotikum för att behandla tarmbakterier och har mycket liten användning vid luftvägsinfektioner. Utomlands ser man en mycket stor resistensproblematik, som även börjar drabba oss i Sverige. Ciprfoxacin (Ciproxin®) är exempel på läkemedel i gruppen kinoloner.

Trimetoprim används vid urinvägsinfektioner. De hämmar bakteriernas tillverkning av folsyra som medför att bakterierna inte kan föröka sig. Idotrim och Trimetoprim Meda tillhör gruppen trimetoprim.

Sulfonamider samverkar med trimetoprim för att döda bakterierna. Denna kombination används framför allt vid svårare urinvägsinfektioner men även vid luftvägsinfektioner. Bactrim och Eusaprim är exempel på läkemedel i denna grupp.

Antibiotika finns i olika form. Tabletter, kapslar eller flytande form är vanligast, men vid svåra infektioner där man behöver ge större mängd eller uppnå

snabbare effekt kan injektioner eller dropp direkt till blodbanan vara nödvändigt. Droppar kan användas vid ögon- eller öroninfektioner.

Ge till små barn

Att ge antibiotika till små barn kan ibland vara svårt. Att blanda medicinen med ex vis glass kan fungera. Dock rekommenderas ej att blanda den med vällingen eftersom den förändrade smaken kan få barnet att sluta tycka om välling. Till mindre barn kan man ge antibiotika i flytande form som sprutas långsamt in vid mungipan mot insidan av kinden. Ger man med sked kan man föra den långt in i munnen där smaken känns mindre. Tabletter kan man dela och stoppa i någon godbit. I dag finns även ett tablettöverdrag på apoteket, MedCoat, som ger en söttaktig smak åt läkemedlet.

Om barnet kräks upp medicinen kan man gärna vänta en stund innan man provar på nytt.

Biverkningar

Risken för biverkningar och vilka biverkningar man kan få är olika för olika preparat. Det kan även ibland vara svårt att avgöra om symtomen är orsakade av infektionen eller av antibiotikan. Men något som bara förekommer vid antibiotikabehandling är påverkan på den egna bakteriefloran som finns naturligt på huden, i tarmen och på slemhinnorna. Vanligt är svampinfektioner i slidan och diarréer.

Resistens

Antibiotika har använts flitigt och i stor omfattning sedan 1940-talet. Därför har många bakterier utvecklat motståndskraft mot vissa preparat, s k resistens. Resistens är en egenskap hos bakterierna, det är alltså inte människan som behandlas med antibiotika som blir resistent. Resistenta bakterier har blivit ett växande problem. Därför har doktorerna blivit mer restriktiva med förskrivning av antibiotika.

När man behandlas med antibiotika är det viktigt att fullfölja kuren. Avbryter man kuren kan bakterierna utveckla motståndskraft. Risken för spridning av resistenta bakterier är som störst i miljöer där antibiotikaanvändningen är stor och där det finns många sjuka, som t ex vid sjukhus och förskolor.

Resistenta stafylokocker är ett av de allvarligaste resistenshotet på sjukhus i Sverige. Hittills har man alltid kunnat behandla med något slags antibiotikapreparat ändå. Stafylokocker är en vanlig orsak till sårinfektioner. I perioder har det, framför allt på för-

skolor, funnits en ökad förekomst av resistenta pneumokocker. De allra flesta infektionerna går trots det fortfarande att behandla med hög dos av vanligt penicillin. Pneumokocker är en vanlig orsak till öron- och lunginflammation.

ESBL-producerande bakterier har också ökat i Sverige under senare år. Det handlar om kroppsegna bakterier, oftast vanliga kolibakterier som finns i tarmen, vilka har börjat bilda ett ämne som bryter ner penicilliner och liknande antibiotika. Bakterierna har blivit resistenta och mycket svåra att behandla.

Resistenta bakterier är oftast ofarliga för en frisk person. Men för personer med allvarliga sjukdomar och för nyopererade kan det vara farligt att få en infektion som inte går att behandla. Därför är det viktigt att doktorn är restriktiv med antibiotikaförskrivning till personer med normalt immunförsvar.

Personer med primär immunbrist drabbas oftare än andra av framför allt besvär från luftvägarna. Det är viktigt att dessa problem tas på allvar, och att man går till botten med vad som orsakar de. Ibland kan det vara bakteriella infektioner och i de fallen är det extra viktigt att påvisa bakterien med odling från framför allt upphostningar och i andra hand i prov tagna djupt från näsan. Eftersom denna patientgrupp ofta tvingats äta mycket antibiotika finns det en risk för infektioner orsakade av resistenta bakterier och enda sättet att påvisa detta är genom bakterieodlingar med resistensbestämning där laboratoriet prövar vilka antibiotika som har effekt. Andra orsaker till luftvägsbesvär kan vara virusinfektion där antibiotika inte har någon effekt eller ökad slemproduktion till följd av brist på IgA antikroppar, och även där har man mycket lite effekt av antibiotika. Vissa personer, men långt ifrån alla, med immunbrist kan också ha svårare att reagera med feber och inflammationsprover som SR och CRP vid infektion, varför de ibland kan uppfattas som friskare än de egentligen är. Det är viktigt att personer med immunbrist får ett snabbt och professionellt omhändertagande vid luftvägsbesvär. Symptomen ska tas på allvar och det är viktigt att ta reda på vad det är man behandlar. Personer med mycket låga nivåer av gammaglobulin, dvs de med Brutons sjukdom (XLA) eller kombinerad immunbrist (CVID) behöver ofta längre behandlingstid samt att antibiotika med bredare spektrum sätts in tidigt. •

Källa: 1177.se, Vårdguiden, "Primär immunbrist hos barn och vuxna" (PIO)

Immunglobulin

- ett livskvalitetshöjande koncentrat av antikroppar

Text Ann-Sofie I Nordmark Foto flickr.com, InfuCare

Granskad av: prof. Anders Fasth, Drottning Silvias barn- och ungdomssjukhus



Immunglobuliner är läkemedel som innehåller antikroppar som utvinns från friska personers blodplasma (blodgivare). Ofta används begreppet gammaglobulin som synonymt med immunglobulin, men det är inte riktigt samma sak. Även om gammaglobulin till största delen består av immunglobulin så finns det många andra proteiner som ryms inom begreppet gammaglobulin. Från blodplasman renas immunglobulinet och ett koncentrat, som till största delen innehåller antikroppar av klass IgG och till viss del även IgM och IgA, framställs.

Immunglobulin skall ges i sådan mängd att mängden IgG i blodet ligger inom samma nivå som hos friska personer. Man höjer nivåerna av antikroppar till den nivå som behövs för att bekämpa infektioner effektivt.

Individuell bedömning

Alla personer med betydande antikropsbrist ges immunglobulin. För barn handlar det om t.ex. x-kromsombunden agammaglobulinemi (Brutons sjukdom), hyper-IgM-syndromen,

Wiskott-Aldrichs syndrom och svår kombinerad immunbrist i väntan på och en tid efter stamcellstransplantation. För vuxna är det i första hand personer med variabel immunbrist (CVID) som behandlas med immunglobulin. I vissa fall behandlas personer med IgG subklassbrist. Det finns också andra tillfällen då behandling kan vara aktuell och i dessa fall görs en individuell bedömning. Det är den kliniska bilden som avgör. En person med låga nivåer av antikroppar som mår bra och inte uppvisar symtom behöver som regel ingen behandling.

Behandlingen upprepas vanligen varje till var fjärde vecka beroende på behandlingsalternativ, hur mycket immunglobulin som har tillförts.

Immunglobulin ges även vid ett antal andra sjukdomar inom immunförsvaret t.ex. autoimmuna sjukdomar och då i mycket höga doser. En annan typ av behandling är att tillföra antikroppar för att skydda mot en viss sjukdom. Vid utlandsresor har immunglobulin getts som ett skydd mot hepatit

A under de veckor som resan varar, vid smitta med mässling kan immunglobulin ges och för barn med risk att utveckla svår sjukdom av vattkoppor kan ett immunglobulin med hög halt av antikroppar mot vattkoppsvirus ges. Idag ges vanligen vaccin mot dessa sjukdomar i stället då vaccinet har fördelen att ge ett långvarigt skydd under flera år istället för det begränsade skydd under några veckor som immunglobulin erbjuder.

Olika behandlingsalternativ

Immunglobulin kan ges på tre sätt. Ålder, hälsa och livssituation avgör val av tillvägagångssätt. Och man kan byta metod under olika perioder i livet. *Intramuskulär* immunglobulinbehandling (IMIG) var fram till början av 1980-talet den enda möjligheten att ge immunglobulin. Vanligen ges IMIG i sätesmuskeln. Detta är i dag en mycket ovanlig behandlingsform vid primär immunbrist eftersom endast låga doser av gammaglobulin kan ges intramuskulärt.

Subkutan tillförsel av immunglobulin (SCIG) är vanligast och tas oftast i hemmet. Med hjälp av en pump eller en vanlig spruta ges immunglobulinet som en infusion i underhuds fett. Behandlingen tar allt ifrån 15 minuter till ett par timmar och ges vanligen en till två gånger per vecka, men många andra alternativ finns från dagligen till varannan vecka.

Intravenös immunglobulinbehandling (IVIG) ges i ett blodkärl (ven), vanligen på sjukhuset. I en ven är det möjligt att ge en betydligt högre dos än vid subkutan behandling och därför även mer sällan, var tredje eller ibland var fjärde vecka.

Vid det internationella mötet i Florens föreläste Dr. Teresa Español om immunglobulinbehandling och om för- och nackdelar med IVIG resp. SCIG. Här följer synpunkter från föreläsningen samt synpunkter från några medlemmar i PIO:

Fördelar med IVIG-behandling

•Tolereras av de flesta.

- Kan ges i högre doser än SCIG.
- Kan tas mer sällan än SCIG.
- Många upplever trygghet och säkerhet på sjukhuset.

Nackdelar med IVIG-behandling

- Bunden till sjukhuset.
- Allvarliga biverkningar kan förekomma.
- Kan ibland vara svårt att hitta en ven att sticka i.
- Tar relativt lång tid genom att man skall ta sig till sjukhuset, vänta på att IVIG skall göras i ordning och ges, vilket kan betyda frånvaro från skola eller arbete under en halv till en dag.

Fördelar med SCIG-behandling

- Kan tas hemma.
- Behöver inte hitta en ven att sticka i.
- Man får en jämnare nivå av immunglobuliner i blodet.
- Enkelt att ta med sig på resa.
- Några uppger att de känner sig friskare när de kan sköta sin behandling hemma.

Nackdelar med SCIG-behandling

- En del upplever obehag att sticka sig själva eller ta ansvar för att sköta behandlingen själv.
- Kan kännas krångligt att hålla reda på alla recept på tillbehören.

Den erfarenhet vi har i Sverige är att det är bra att det finns olika behandlingsalternativ att välja på.

Läkemedel i Sverige

Tillgängliga leverantörer och immunglobulinpreparat för behandling av primär immunbrist på den svenska marknaden just nu är: Baxter: Kiovig (IVIG), Gammagard S/D (IVIG), Subcuvia (SCIG). CSL Behring: Privigen (IVIG), Hizentra (SCIG), Grifols Nordic: Flebogamma DIF (IVIG), Gamunex (IVIG). Octapharma: Octagam (IVIG), Gammanorm (SCIG).

Är de olika produkterna likvärdiga?

De olika preparaten för subkutan immunglobulinbehandling är mycket snarlika men inte helt identiska. På modern farmakologiska heter det biosimilars när det gäller biologiska läkemedel. Dvs de är inte lika men skall ha samma effekt. Detta är en sanning med modifikation. Immunglobulinet anses skydda lika bra mot infektioner oavsett preparat men reaktionen kan ändå vara olika från person till person.

Innehållet kan skilja som t ex innehållet av de olika IgG-subklasserna liksom innehållet av IgA och de äm-

nen som tillsätts för att stabilisera immunglobulinet. Koncentrationen varierar. Det finns subkutana preparat med koncentration av 160 mg/ml eller 200 mg/ml. Det blir med andra ord mindre volym att injicera med ett preparat som har högre koncentration. Och tillverkningsprocessen skiljer sig något mellan de olika företagen. Därför kan ett subkutant preparat fungera bättre för en individ medan ett annat subkutant preparat fungerar bättre för en annan. Det är alltså viktigt med en individuell uppföljning och utvärdering.

Idag skiljer sig inte tillverkningsprocessen mellan ett subkutant och ett intravenöst preparat. Dosen skiljer sig inte mellan IVIG- och SCIG-behandling utan rekommenderad standarddos är minst 100 mg/kg/vecka oavsett hur immunglobulinet ges. Men eftersom koncentrationen av immunglobulinet skiljer sig åt mellan olika preparat varierar volymen som ska tas. Den månatliga subkutana dosen delas som regel upp på veckovisa infusioner eftersom det annars blir alltför stora volymer som ska ges i underhudsfettet. De veckovisa infusionerna ger även en mer stabil nivå av IgG i blodet. Det är viktigt att dosen individualiseras och att mängden IgG i blodet kontrolleras under behandlingen. Målet är att personen som behandlas skall helst slippa bakteriella infektioner eller i vart fall få en kraftig minskning av dessa. För att uppnå detta krävs i allmänhet att IgG-nivåerna i blodet ligger högt. Man har visat att antalet lunginflammationer minskar proportionerligt med högre IgG-nivåer. I en studie visade man att en patient som har ett IgG om 5 g/liter i blodet har 5

gånge högre risk för en lunginflammation än en patient som har ett IgG om 10 g/l.

Om man väger 70 kg och ska ha en subkutan dos om 100 mg/kg/vecka så kommer den totala volymen gammaglobulin vid olika koncentrationer att bli som följer:

20 % prep (SCIG): 35 ml/vecka

16 % prep (SCIG): 42 ml/vecka

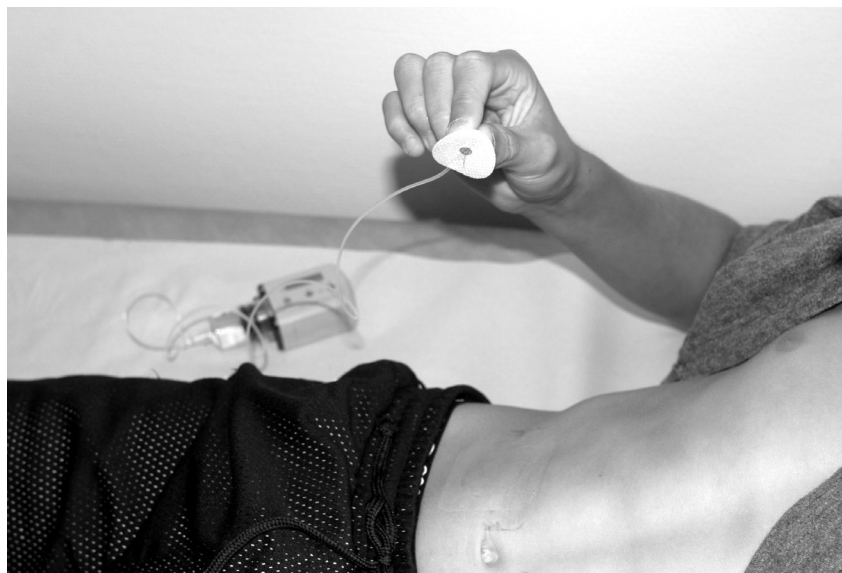
10 % prep (IVIG): 70 ml/vecka

Subkutan immunglobulinbehandling i hemmet

Personer med primär immunbrist eller föräldrar till barn med primär immunbrist som ska starta med subkutan hembehandling får undervisning av en sjuksköterska på sjukhuset. Det skiljer sig från sjukhus till sjukhus vid hur många tillfällen undervisningen sker. När hembehandlingen har pågått ett tag bör en uppföljning göras. Det är viktigt att få grundläggande kunskap om sin sjukdom, behandlingen och dess inverkan för att känna sig trygg och för att behandlingen ska ske på ett säkert sätt. SISSI, Sveriges immunbristsjuksköterskors intresseförening har tagit fram riktlinjer som bl a omfattar patientundervisning, ansvarsfördelning, vilka hjälpmedel (pumpar och nålar) som finns på marknaden, volym och hastighet. Riktlinjerna är rekommendationer till stöd för immunbristsjuksköterskor vid planering, genomförande och utvärdering av undervisningen. De ger samtidigt möjlighet till lika vård oavsett var i landet personer med primär immunbrist bor.

Biverkningar

Svullnader och ömhet efter subkutan gammaglobulinbehandling förekom-



mer. Relativt nytt är att man i dag rekommenderar att ta infusionen på samma instickställe varje gång, i stället för att variera som tidigare har sagts. Huden/Området "vänjer sig" när proceduren upprepas och får till följd att svullnader minskar. Samtidigt kan det vara värt att först prova sig fram vilket rekommenderat område som känns bäst att sticka i eftersom känsligheten kan variera mellan olika infusionsställ. Vanliga ställen att ge SCIG är buken, lårens framsida, men även skinkorna och överarmarna kan användas.

Systemreaktioner som t ex huvudvärk och illamående kan förekomma. I vissa fall kan sänkt infusionshastighet hjälpa. ALPI-studien från 2007 visade att det var vanligare att patienterna upplevde systemreaktioner vid intravenös behandling än vid subkutan behandling.

Frossa, trötthet och/eller feberkänsla efter en behandling kan bero på en pågående infektion i kroppen som visar sig då kroppen får tillgång till antikroppar och immunförsvaret får möjlighet att försvara sig. Det är vanligare med den här typen av symptom bland personer som får låg dos av immunglobulin eller som får immunglobulin under pågående infektion.

Hjälpmedel vid SCIG

I huvudsak används i dag fem olika pumpar till subkutana immunglobulininfusioner som tillhandahålls av fyra olika leverantörer.

NordicInfu Care: Super Crono PID, Crono PCA 20 och 50

Steripolar: Freedom 60

Smiths Medical: Graseby MS 16A

Gröndolf Medical: Medis Infusa T1

Vilka sprutor som används beror på infusionspump. Vissa ger möjlighet att dra upp större mängd gammaglobulin än andra. Det finns även en mängd olika nålar som varierar i längd och utformning. Vanligt är korta nålar som sticks rakt in i huden och s k butterflynålar/fjärilsnålar samt färdigböjda nålar. Tillverkarna rekommenderar inte att böja nålarna själva för bättre passform. Några studier som visar vilken nål som är att föredra finns inte, men längden skall anpassas efter personens fettlager vid infusionsstället. Den ska nå så långt in som möjligt i underhudsfettet.

I dag finns även möjlighet att ta en större mängd gammaglobulin på kortare tid än tidigare, med en förgrenad slang. Upp till fyra nålar kan fästas samtidigt till vissa pumpmodeller. De

få medlemmar vi har varit i kontakt med som har provat dessa nålar var mycket nöjda över möjligheten att minska behandlingstiden.

Personer med subkutan hembehandling uppmanas att spara batchnumret som finns på ampullen med immunglobulin. Det är en säkerhetsåtgärd, bl a för att kunna spåra vilket preparat man fått. Detta är viktigt om något preparat skulle visa sig innehålla virusmitta.

Säkerhet

Gammaglobulin är en blodprodukt som framställs ur plasma insamlad från ett stort antal friska personer. Blodgivarna kontrolleras varje gång de ger plasma eller blod. Dessutom används specifika metoder vid framställandet av immunglobulinet som upptäcker och oskadliggör olika smittämnen. Den omfattande säkerhetspro-

ceduren ska döda alla idag kända smittämnen. Trots detta kan man aldrig helt utesluta risken för överföring av virus eller andra smittämnen när det handlar om blodprodukter. Senaste kända fallet av smitta i Sverige var ett utbrott av hepatit C-virus på nittioalet då flera PIO-medlemmar drabbades av smittan.

Länktips

En sida som visar hur en subkutan gammaglobulinbehandling går till finns under länken Gammaglobulinbehandling på www.immunbrist.se.

Två instruktionsfilmer för subkutan hembehandling finns på www.infucare.se.

Källa: Socialstyrelsens databas för ovanliga diagnoser, Riktlinjer framtagna av SLPI samt SISSI, "Primär immunbrist hos barn och vuxna" (PIO), immunbrist.se, IPOPI.org, pidcare.com och ALPI-studien.

Tillsyn och prissättning

Text Ann-Sofie I Nordmark Foto Sandor Weisz

Granskad av: prof. Anders Fasth, Drottning Silvias barn- och ungdomssjukhus



BILLIGT

DYRT

Läkemedelsverket är den myndighet som kontrollerar och godkänner läkemedel och läkemedelsnära produkter i Sverige och följer upp så att godkända läkemedel används på ett ändamålsenligt och kostnadseffektivt sätt.

En annan viktig uppgift är att utvärdera de biverkningar av läkemedel, naturläkemedel och även kosmetika som inrapporteras till Läkemedelsverket. Viktigt är att det är inte bara läkare och veterinärer som kan rapportera biverkningar utan också den som tar ett läkemedel uppmanas att meddela biverkningar. Detta kan göras via internet (www.lakemedelsverket.se) eller vanligt brev.

Vart femte år ska ett godkänt läkemedel omprövas. Det finns inga varor på den svenska marknaden som kontrolleras så noggrant som läkemedel.

Om en patient behöver ett visst läke-

medel, som inte är godkänt i Sverige, kan Läkemedelsverket ge läkaren ett särskilt tillstånd att använda det.

Det råder i princip fri prissättning på läkemedel i Sverige. Men läkemedel och andra varor som omfattas av läkemedelsförmånen ska däremot följa särskilda prisbestämmelser.

Priset på förmånsberättigade receptbelagda läkemedel ska vara lika i hela landet. En överenskommelse om priset görs mellan läkemedelsföretaget och Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV).

När det finns flera likvärdiga läkemedel på den svenska marknaden ska apoteken lämna ut det billigaste preparatet, om inte personen väljer att betala mellanskillnaden eller läkaren har skrivit att läkemedlet inte får bytas ut. Detta kallas generisk substitution. •

Immunglobulinets historia

Text Docent Ann Gardulf Foto Otis Historical Archives of the National Museum of Health and Medicine



Blodplasmabank och första hjälpen station vid slaget om Tarawa under andra världskriget. Behovet av blod under kriget ledde bl a till möjligheten att framställa immunglobulin.

Det var redan i slutet av 1930-talet som en amerikansk kemist, Dr. Edwin J. Cohn, utvecklade en metod för att identifiera och separera de olika proteiner som finns i människors blod.

Under 2:a världskriget fanns ett mycket stort behov av att kunna ge blodtransfusioner för att rädda sårade soldaters liv. Blod är dock en färskvara och kan inte transporteras och förvaras någon längre tid. Det här ledde snabbt till att man inte kunde ge livräddande blodtransfusioner till soldaterna som befann sig långt borta i andra länder.

Krigsmakten i USA efterlyste nu något som skulle kunna användas istället för blod på slagfältet i Europa och Stilla Havet. Pentagon uppmärksammade Dr Cohn och gav honom pengar för att genom forskning ta fram ett blodersättningsmedel. Han använde då sin metod som han utvecklat på 1930-talet för att i stor skala separera fram albumin, ett av blodets proteiner, ur blod från blodgivare. Albumin visade sig bli ett utmärkt blodersättningsmedel eftersom detta blodprotein kunde frystorkas, transporteras och lagras på plats vid krigsfronterna.

Dr Cohn insåg att det måste finnas även andra viktiga proteiner i blodet och vidareutvecklade sin teknik. Man brukar säga att han utvecklade en teknik för att kunna "separera fram proteinfraktioner

ur blod" och det är därför som den här tekniken än i dag kallas för Cohns fraktioneringsmetod och används för att framställa bl a gammaglobulin.

En grupp av proteiner som Dr Cohn separerade fram med sin fraktioneringsmetod var antikroppar. Det läkemedel som kallas gammaglobulin (ibland även kallat IgG) är ett koncentrat av antikroppar från friska blodgivare.

Att vi i dag har tillgång till gammaglobulin för behandling av olika sjukdomar – däribland primära och sekundära antikroppsbrister – är alltså resultatet av Edwin J. Cohns arbete under 2:a världskriget.

Gammaglobulinbehandling vid primär antikroppsbrist

All vår kunskap om behandling med gammaglobulin vid primär antikroppsbrist startar med en artikel som skrevs av den amerikanske barnläkaren Ogdon Bruton. Artikeln publicerades 1952 och är fortfarande efter 60 år en fantastisk läsning om hur en liten pojke som lever sitt liv i stort sett hela tiden på sjukhus p g a den ena allvarliga infektionen efter den andra upptäcks ha en antikroppsbrist, börjar få gammaglobulin, blir "frisk" (dvs infektionerna förebyggs) och kan få återvända hem till sina föräldrar.

Den lille pojken som beskrivs i artikeln hade troligen den sjukdom som vi idag kallar XLA (X-bunden agammaglobulinemi), eller som den ibland fortfarande kallas, Brutons sjukdom. Och nu förstår du varför sjukdomen kallas så.

Dr Bruton måste ha varit en fantastisk och kreativ läkare. Primär antikroppsbrist fanns ju aldrig någonsin tidigare beskriven. Dr Bruton började misstänka att pojken kunde ha ett nedsatt immunförsvar och undersökte detta genom att ta ett blodprov och kontrollera hur mycket antikroppar pojken hade i blodet. När svaret kom fick han sin misstanke bekräftad för pojken hade mycket låga nivåer av antikroppar och pojkens immunförsvar kunde alltså inte kunde skydda honom mot infektioner.

Det fantastiska är att Dr Bruton kom på idén att ta gammaglobulin (antikroppar från andra människor) och ge till pojken som snabbt började må bättre. Han måste ha tänkt att "den här pojkens immunförsvar kan inte tillverka antikroppar – alltså måste jag ge honom färdiga antikroppar från andra människor för att ersätta det som pojken immunförsvar inte själv kan tillverka". Substitutionsbehandling1 med gammaglobulin var uppfunnen och det är så här vi också i dag behandlar primära och sekundära antikroppsbrister.

Subkutanbehandling är den ursprungliga metoden

Det intressanta med Dr Brutons artikel är att han också beskriver att han gav pojken gammaglobulinet genom subkutana2 injektioner, dvs subkutan gammaglobulinbehandling är det ursprungliga sättet att ge gammaglobulin när man ska ge det till någon som har primär antikroppsbrist. När vi idag ser att subkutan gammaglobulinbehandling är den metod som används mest till både barn och vuxna i Sverige så har vi egentligen återvänt till den ursprungliga behandlingsformen.

Hur mycket gammaglobulin gav man förr och hur mycket ger man nu?

Efter Dr Brutons artikel började förstås allt fler barn och vuxna med primär antikroppsbrist att upptäckas och diagnostiseras och under de första åren efter artikeln gavs säkert alla möjliga doser. Vid 1960-talets slut enades dock immunbristläkarna i England om att en dos på 100 mg gammaglobulin per

kilo kroppsvikt och månad skulle vara standard. Den artikel där detta beslut presenterades publicerades 1969 och blev vägledande även i andra länder.

Fortsatt forskning har dock visat att det behövs en 4 gånger högre dos för att skydda mot infektioner så i dag rekommenderas en dos på 400 mg gammaglobulin per kilo kroppsvikt och månad.

Det är dock helt nödvändigt med en individuell utvärdering, dvs att följa och tillsammans med varje patient/familj utvärdera hur bra skyddet mot infektioner

fungerar; vissa personer kanske klarar sig på den rekommenderade dosen medan andra patienter behöver mycket mer än 400 mg gammaglobulin per kilo kroppsvikt och månad.

Det är alltså mycket viktigt att fråga och verkligen lyssna till hur ett barn eller en vuxen själv känner att han eller hon mår. •

Fotnot

1 *Substituera=ersätta*

2 *Subkutant=i underhudsfettet*

Behandling vid HAE

Text Camilla Eriksson

Granskad av prof. Janne Björkander, Länssjukhuset Ryhov

Enligt konsensusriktlinjer från WAO 2012 bör alla svullnader som ger nedsatt funktion och/eller drabbar huvud- halsregionen eller mag- tarmkanalen övervägas för akut behandling. Enligt samma riktlinjer bör alla personer med HAE ha tillgång till två behandlingsdoser för att vid behov kunna uppsöka sjukvårdsinrättning för behandling eller i samråd med behandlande läkare själv administrera preparatet hemma. Vid ansikts- och halssvullnader rekommenderas att personen alltid söker sjukvård även efter eventuell hem-/egenbehandling.

OBS! Man bör också alltid ha med sitt läkemedel på resor.

Preparaten har ett färdigt set med nålar och blandningsvätskor.

De flesta anfall kommer utan någon tydlig orsak men kända utlösande faktorer kan vara kvinnliga könshormoner, östrogen, skador, slag, och tryck på hud och slemhinnor, till exempel operationer, tandläkarbehandlingar, cykling och ridning. Anfall kan också utlösas av infektioner och stress samt i samband med vissa läkemedel, särskilt ACE-hämmare.

Preparat i Sverige

Tillgängliga leverantörer och HAE-preparat på den svenska marknaden just nu är:

Beriner, CSL Behring

Beriner är ett C1-INH-koncentrat, framställt av blodplasma. Preparatet är godkänt för barn, inkl. spädbarn och är godkänt för egenbehandling. Beriner kan ges tillfälligt eller i förebyggande syfte. En allmän praxis är att man ger Beriner 1-2 timmar före en operation.

Cinryze, ViroPharma

Cinryze är också ett C1-INH-koncentrat, framställt av blodplasma. Preparatet är registrerat i Sverige men ingår ännu inte i högkostnadsskyddet. Preparatet är inte godkänt för barn under 12 år. Preparatet är godkänt för egenbehandling och vid korttids- och långtidsprofylax.

Ruconest, Sobi

Ruconest är ett rekombinant läkemedel. Det framställs av kaninmjölk som med hjälp av en ny teknik innehåller humant C1-INH. Man får ej vara kaninallergisk och kaninallergitester bör göras. Preparatet är inte godkänt för barn under 18 år och inte för egenbehandling.

Firazy, Shire

Firazy (ikatibant) är en syntetisk peptid som verkar genom att blockera bradykininreceptorerna. Preparatet ges som en subkutan injektion. Firazy finns i förfyllda sprutor. Preparatet är ej godkänt för barn under 18 år. Preparatet är godkänt för egenbehandling.

Tranexamsyra, t ex Cyklokapron, är ett blödningshämmande ämne som även kan motverka svullnader hos vissa personer med HAE. Kan ges till barn under 12 år. Tranexamsyra ges både tillfälligt eller kontinuerligt i förebyggande syfte.

Androgener, oxandrolon, Oxandrin, danazol, Danol, Danazol

Androgener är anabola steroider, ett konstgjort ämne som liknar manliga hormoner. Preparatet är godkänt för både korttids- och långtidsprofylax. •

Särläkemedel - vad är det?



Text Ann-Sofie I Nordmark Foto flickr.com
Granskad av Prof. Anders Fasth, Drottning Silvias barn- och ungdomssjukhus

Särläkemedel är mediciner som endast används vid behandling av sällsynta sjukdomar som drabbar färre än 5 av 10 000 individer, är livshotande, allvarligt funktionsnedsättande och innebär en "betydande fördel" för patienten, som befintlig behandling och vård inte kan ge. Det finns en motvilja bland läkemedelsföretag att framställa mediciner för en liten grupp, eftersom kostnader för forskning och utveckling inte täcks pga. den begränsade efterfrågan. Men för att personer med sällsynta sjukdomar ska få samma rätt till vård, behandling och forskningsframsteg som personer med vanliga åkommor har stimulansåtgärder vidtagits. 1999 antog EU-parlamentet och EU-rådet en gemensam förordning gällande särläkemedel som bl a ger tillverkaren olika minskade kostnader och ensamrätt på marknaden efter godkännande för försäljning, i tio år. Den antogs även av EU-kommissionen året efter.

Men ett särläkemedel är tyvärr inte automatiskt tillgängligt i alla länder, trots EU:s godkännande. Läkemedelsföretaget bestämmer själv i vilka länder produkten ska marknadsföras, prissätter oftast läkemedlet själv och ska även själv ansöka om subventionering i de olika länderna. Tillgången försvåras ytterligare av medlemsländernas egna lagar och förordningar.

Både Socialstyrelsen och Orphanet har informationsportaler för ovanliga sjukdomar. På Orphanets hemsida finns bl a en lista över europeiska särläkemedel. Firazy är ett HAE-preparat som klassas som särläkemedel i Sverige och är godkänt för försäljning i Europa. Immunglobulin är inget särläkemedel i Sverige. •

Fler behandlingar och tips på självhjälp

Text Ann-Sofie I Nordmark Foto flickr.com



Handtvätt med tvål är en bra "behandling" mot smittoämnen som ännu inte har fått fäste. Och kanske det vanligaste rådet en person med primär immunbrist får.

Stamcellstransplantation

Vid de allvarligaste formerna av primär immunbrist, som svår kombinerad immundefekt (SCID), hyper-IgM-syndromet (HIGM), kronisk granulomatös sjukdom (CGD), Wiskott Aldrichs syndrom och X-kromosomrelaterad lymfoproliferativt syndrom kan en blodstamcellstransplantation (även kallat benmärgstransplantation) vara aktuellt. Stamceller är omogna celler som kan dela sig och mogna till många olika typer celler. Vid en blodstamcellstransplantation tar man blodstamceller från givarens benmärg, blod eller infrysat navelsträngsblod (som fanns kvar i moderkakan efter att barnet fötts) ger dessa på samma sätt som en blodtransfusion till mottagaren.

Precis som vid andra transplantatio-

ner finns det risk för en avstötningsreaktion, men vid en blodstamcellstransplantation är det immunceller i transplantatet som stöter bort patienten. Denna avstötningsreaktion kallas på engelska för Graft-versus-Host reaktion och förkortas GvH. Patienten har vanligen fått stora doser cytostatika ("cellgifter") innan så patientens immunsystem inte skall stöta bort de inkommande cellerna. GvH kan man undvika om givarens vävnadstyp (HLA-typ) är identisk med mottagarens. Mest idealiskt är HLA-identiska syskon.

Det är en riskfylld behandling och personens hälsa

har stor betydelse för resultatet. Men efter en stamcellstransplantation har den drabbade möjligheten att bli helt frisk från sin immunbristsjukdom.

Genterapi

Även vid genterapi kan en person bli botad från sin primära immunbristsjukdom. Vid genterapi korrigeras den felaktiga genen i personens stamceller. För närvarande har den bara använts för att behandla vissa svåra primära immunbrister där den defekta genen har identifierats, t.ex. SCID och CGD. Denna behandling testas fortfarande och används inte rutinmässigt.

G-CSF

Granulocytkolonistimulerande faktor (G-CSF) är en naturlig tillväxtfaktor framställd som läkemedel med hjälp

av genteknik och som används för att öka produktionen av granulocyter, vid brist på dessa celler. Exempel på primära immunbristsjukdomar med granulocytribrist (neutropeni eller agranulocytos) är svår medfödd agranulocytos som Kostmanns sjukdom.

Gammainterferon (IFN-γ)

IFN-γ är ett protein som produceras av lymfocyter. Det hjälper immunsystemets celler att döda invaderande mikroorganismer. Ges ibland till personer med CGD.

Vid autoimmuna sjukdomar

Primär immunbrist orsakar ofta autoimmunitet, dvs. immunförsvaret angriper den egna kroppen. Autoimmunitet kan ge smärta och svullnad i lederna, artrit. Det kan också orsaka hudutslag, förlust av röda blodkroppar (anemi) eller inflammation i blodkärlens vägg (vaskulit), diarré och njursjukdomar. Vid vissa immunbristsjukdomar är det också mer vanligt att ha allergier och astma.

Autoimmuna problem som artrit behandlas med olika mediciner som hjälper till att stoppa immunceller från att attackera kroppen. Många gånger används kortikosteroider (kortison) för detta. Eftersom dessa läkemedel undertrycker immunförsvaret kan de öka risken för infektioner. Därför bör en läkare som är specialiserad på behandling av personer med primär immunbrist vara inkopplad i behandlingen.

Vaccination - de som kan

Vaccination handlar om att ge en liten dos av de bakterier eller de virus som orsakar en infektion, för att hjälpa kroppen att bilda antikroppar och bli immun mot dem. Vissa vacciner innehåller avdödade mikroorganismer, andra enbart vissa proteiner från mikroorganismer, medan ytterligare andra innehåller försvagade, levande mikroorganismer.

De flesta som behandlas med immunoglobulin behöver inte vaccineras, eftersom de via behandlingen får

antikroppar som de friska givarna har bildat efter vaccinationer. Och de allra flesta med primär immunbrist skall inte få levande vacciner, eftersom de kan orsaka infektioner, som i värsta fall kan vara livshotande. Levande, försvagat vaccin inkluderar rotavirus, oralt poliovaccin (används inte i Sverige, men vanligt utomlands), mässling, påssjuka, röda hund (MPR) och vattkoppor samt BGC-vaccin mot tuberkulos.

Även om personen med primär immunbrist inte kan vaccinera sig bör gärna familjemedlemmarna göra det, för att minska risken för infektionsspridning i hemmet. Men att rådgöra med doktorn i alla frågor som rör vaccinering är ett gott tips.

Självhjälp

För att undvika infektioner är god hygien viktigt:

- Tvätta händer regelbundet och noggrant med tvål och avsluta helst med handsprit. Speciellt före måltider, efter toalettbesök, efter utomhusaktiviteter.
- Rengöra skärsår och skrubbsår.
- Hålla god, personlig hygien, inkl. noggrann tandborstning och regel-

bundna besök hos tandläkaren.

- Hålla god hygien vid mathantering, för att undvika matförgiftning.
- Hålla rent i hemmet och rengöra barnens leksaker regelbundet.
- Undvika rökiga lokaler och folksamlingar.

Personer med primär immunbrist skall inte röka. Rökningen påverkar lungorna som ofta redan är ansträngda och i vissa fall skadade pga. långdragna infektioner. Rökningen förstör dessutom flimmerhåren som behövs för att förhindra bakterier och virus att tränga in i luftvägarna.

Hälsosam, vällagad och varierad kost är nyttig för alla. Vad en person med primär immunbrist bör undvika däremot är rått eller inte tillräckligt tillagat kött och ägg, även vissa ostar. Inte heller dricka vatten som har stått länge i samma behållare eller vatten med okänt ursprung.

Många med primär immunbrist upplever positiva effekter av att regelbundet skölja näsan med koksaltlösning. Många rekommenderas dessutom lunggymnastik. Det hjälper bl a till att lossa segt slem som

fastnar i lungorna. Motion i lagom mängd och efter egna förutsättningar ökar välbefindandet. Sjukgymnasten kan ge goda råd. Men precis som kroppen behöver motion för att må bra är även vilan viktig för hälsan. Balans och tid för återhämtning.

Skriv gärna infektionsdagbok. Där kan man hålla koll på när man har haft en infektion och hur länge den varade och vilken behandling som gavs. Infektionsdagboken är ett bra hjälpmedel vid kontakten med doktorn.

Det underlättar också om man skaffar sig kunskap om sin egen eller anhörigs sjukdom. Som PIOs motto säger: "Ju mer man kan om sin sjukdom desto större möjlighet till god livskvalitet."

Källa: "Treatment for primary immunodeficiencies: a guide for patients and their families" (IPOPI), "Så mår immunförsvaret bättre" (PIO), Immunbrist.se.

Granskad av: Prof. Anders Fasth



ALLA PATIENTER FÖRTJÄNAR HOPP

ViroPharma är ett läkemedelsföretag som forskar inom bioteknik och har som målsättning att hjälpa patienter som lider av livshotande sjukdomar, genom att utveckla innovativa läkemedel som kan förbättra hälsa och rädda liv.

Vi utvidgar våra insatser globalt och arbetar för att utveckla behandlingar mot olika sällsynta sjukdomar.

Dagens arbete leder till morgondagens behandlingar.

Copyright ©2012/2013 ViroPharma Incorporated. Med ensamrätt. VIROPHARMA och ViroPharma-logotypen är varumärken som tillhör ViroPharma Incorporated.

SE/CIN/13/0043 1/13

VIROPHARMA
INCORPORATED

Läns- och lokalavdelningarna INFORMERAR

PIO Jönköping – Vi testar något nytt...

Text: Anette Andersson, ordförande i PIO Jönköping

I september hade PIO Jönköping besök av riksföreningens nyvalda ordförande Maria Monfors och Maria Michelfelder kanslist på PIO:s kontor i Örebro.

Vi började dagen med att äta gemensam lunch innan vi sattes oss ned för att berätta om vårt arbete och Maria och Maria om vad PIO Riks arbetar med.

Till eftermiddagen hade vi bjudit in "grannmedlemmar" till vår lokalavdelning samt fått hjälp från Infektionskliniken att skicka ut inbjudan till patienter som ännu inte är medlemmar i föreningen, på drop-in fika med hembakade muffins och mingel prat.



Sjuksköterskan Carina Hagstedt föreläste



Styrelsen i PIO Jönköping. Fr v: Ing-Marie Eliasson, Anette Andersson, Susanne Svensk, Gun-Britt Sturesson, Gun Söderholm och Ann Sturesson

Senare under kvällen berättade Maria och Maria för besökarna om PIO:s verksamhet samt att vi fick lyssna på en föreläsning om hur vårt immunförsvar fungerar och vad som fungerar mindre bra när man har en primär immunbrist.

Föreläsare var Carina Hagstedt, sjuksköterska och ansvarig för patient med gammalbehandling, från Infektionskliniken Länssjukhuset Ryhov, Jönköping.

Upplägget på denna dag var mycket lyckat.
Tack Maria och Maria för Ert uppskattade besök och välkomna åter.

Vi stödjer PIO!



Gör det du med! Kontakta PIO för mer info.

HAELP!

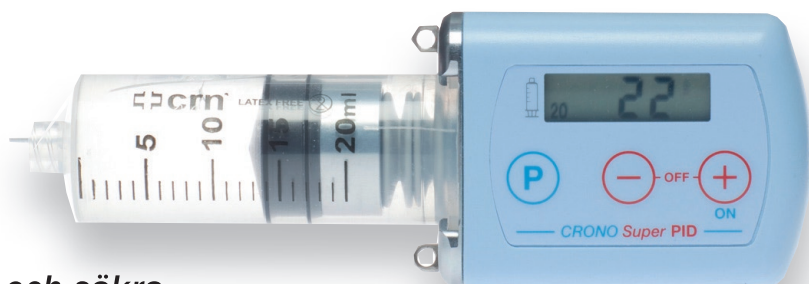
Sobi har tagit fram en app för iPhone och iPad för patienter med Hereditärt angioödem (HAE). Med hjälp av den så kan du bland annat notera anfall, föra patientdagbok och hitta närmaste HAE mottagning i de flesta europeiska länder. Du laddar ned appen på www.haepatient.com/patient/app/



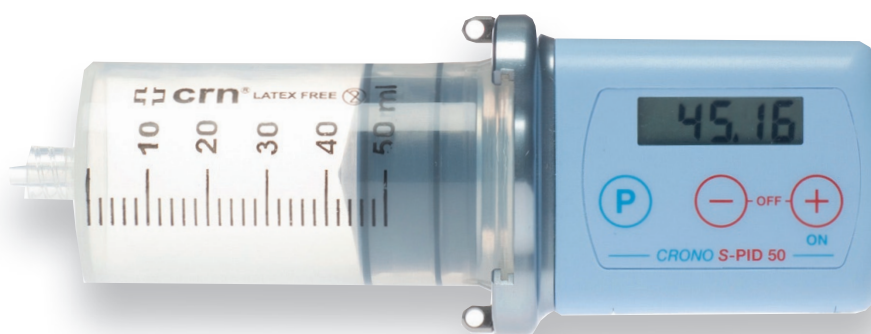
112 76 Stockholm, Tfn 08-697 20 00, www.sobi.com

001RUC-SE-2013

CRONO Super PID-pumparna kommer med nya funktioner december 2012!



- Batteridrivna, små, snabba och säkra individanpassade pumpar som reglerar flödes hastighet och infusionstid.
- Larm för bl a batteri byte, ocklusion och färdig infusion.
- 4 års garanti.



NYA Exklusiva funktioner:

- Större och tydligare display.
- Pausfunktion som tillåter byte av batteri under pågående infusion – utan att inställningarna förändras!

mm mm...



neria™ multi

– nytt och användarvänligt infusionsset!

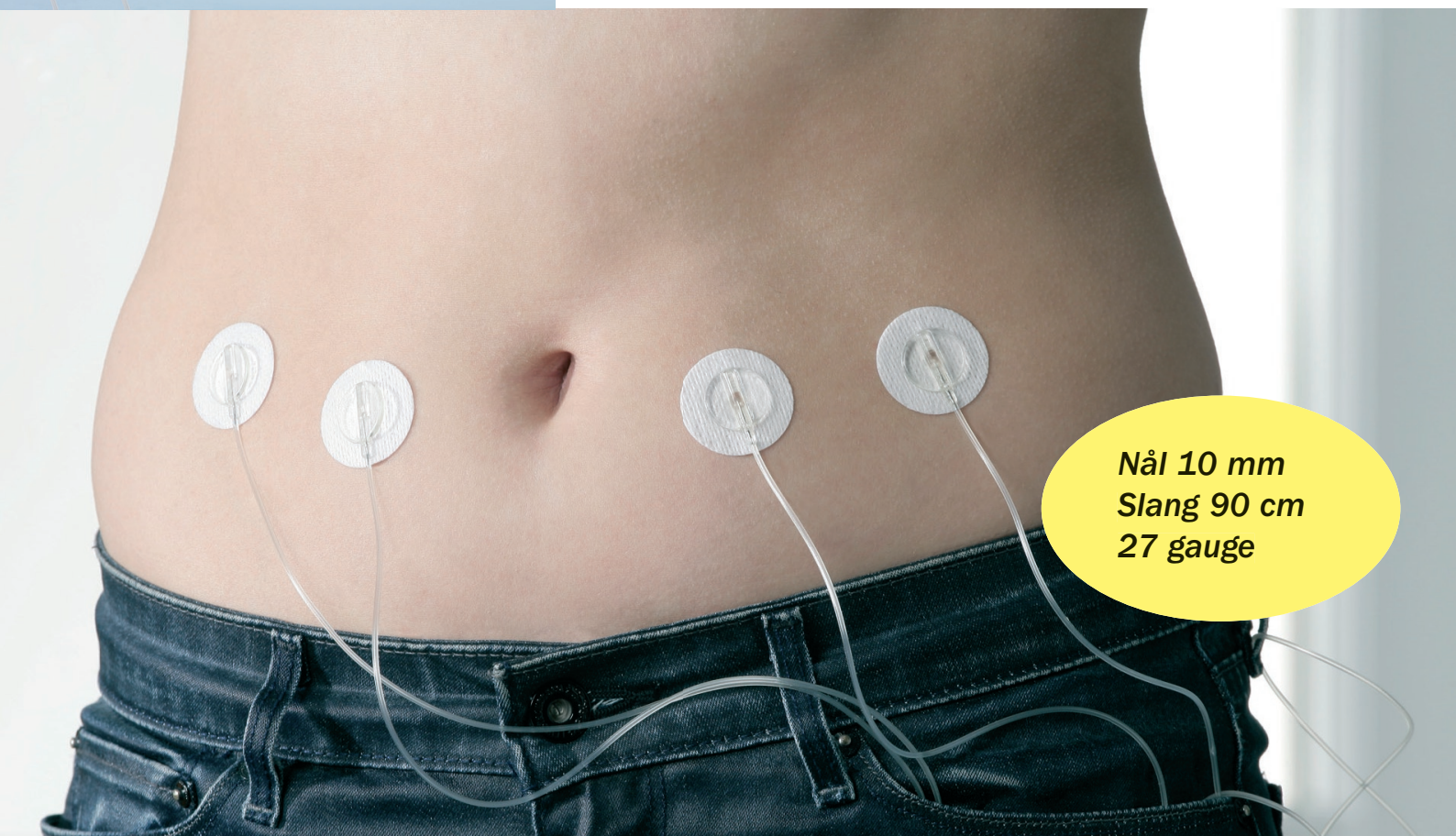


Multiinfusionssetet för dig som behöver större volym gammaglobulin.

Passar bra med PID 50 pump.

Enkelt.

Bekvämt och tidssparande.



**Nål 10 mm
Slang 90 cm
27 gauge**

Varunr

732762 4-delade med 10 st/förp

732761 3-delade med 10 st/förp

732760 2-delade med 10 st/förp





Nära dig!

- Sveriges enda tillverkare av plasmabaserade läkemedel
- Utvecklar informationsmaterial och hjälpmedel i samarbete med sjukvården
- Stöder utbildning av vårdpersonal

www.octapharma.se

Octapharma Nordic AB
11275 Stockholm
fraga@octapharma.se
www.octapharma.se

octapharma

For the safe and optimal use of human proteins

PIO, Mellringevägen 120 B, 703 53 Örebro • www.pio.nu - info@pio.nu
PlusGiro 431 00 03 - I, Bankgiro 5159-3382