



PPMS,

**CZYLI POSTAĆ PIERWOTNIE POSTĘPUJĄCA
STWARDNIENIA ROZSIANEGO.
CO WARTO WIEDZIEĆ?**



PPMS CZYLI POSTAĆ PIERWOTNIE POSTĘPUJĄCA STWARDNIENIA ROZSIANEGO – CO WARTO WIEDZIEĆ?

Stwardnienie rozsiane (SM, skrót od łacińskiej nazwy: *sclerosis multiplex*) to choroba bardzo zróżnicowana. W zależności od dynamiki rozwoju choroby wyróżnia się 3 **postacie kliniczne**:

- **postać rzutowo-remisyjna** (RRMS, *relapsing-remitting multiple sclerosis*)
- **postać wtórnie postępująca** (SPMS, *secondary progressive multiple sclerosis*)
- **postać pierwotnie postępująca** (PPMS, *primary progressive multiple sclerosis*)

Czym charakteryzuje się PPMS? Jakie ma objawy? Jak się ją diagnozuje i leczy? Pytania na te odpowiedzi znajdziesz w poradniku, który oddajemy w Twoje ręce.

Kluczowe znaczenie ma czas! Im szybciej zostanie rozpoznana PPMS, tym skuteczniejsze będzie jej leczenie!

W Polsce na SM choruje ok. 50 tysięcy, a na całym świecie **2 miliony 800 tysięcy** osób.

Okolo 65% osób z SM ma postać rzutowo-remisyjną, a okolo 10-15% z wszystkich osób żyjących z SM stanowią chorzy na postać pierwotnie postępującą. Oznacza to, że w Polsce jest okolo 5 tysięcy osób z PPMS.

Cechą charakterystyczną PPMS jest stałe pogłębianie się objawów i narastanie niepełnosprawności od początku trwania choroby. Nie ma w tej postaci, tak jak ma to miejsce w przypadku formy rzutowo-remisyjnej, występowania nagłych zaostrzeń, określanych rzutami choroby. W PPMS stan pacjenta stopniowo, ale systematycznie pogarsza się. PPMS jest rozpoznawana zazwyczaj w wieku nieco późniejszym niż postać rzutowo-remisyjna, bo około 40. roku życia. Zachorowalność na PPMS jest podobna wśród mężczyzn i kobiet.

Czym charakteryzuje się **postać pierwotnie postępująca** stwardnienia rozsianego (PPMS)?



OBJAWY PPMS

Stwardnienie rozsiane jest schorzeniem heterogennym, którego objawy mogą być niezwykle różnorodne. W postaci pierwotnie postępującej stwardnienia rozsianego (**PPMS**) statystycznie najczęściej (aż **u 83% pacjentów**) występuje **narastający niedowład kończyn, głównie dolnych**. Neurologi określają go terminem „parapareza spastyczna”. Osłabienie i niedowład mogą dotyczyć równomiernie obu nóg, ale może być też tak, że jedna kończyna jest słabsza od drugiej. W praktyce parapareza objawia się trudnościami w chodzeniu, które zauważa pacjent lub osoby z jego otoczenia. Nieprawidłowy chód wiąże się z nieprawidłowym obciążaniem kręgosłupa podczas chodzenia. Dochodzi do przeciążenia i nasilenia zmian zwyrodnieniowych w dolnym odcinku kręgosłupa, dlatego pacjenci z PPMS często skarżą się na ból w dole pleców. Zdarza się, że parapareza w przebiegu postaci pierwotnie postępującej stwardnienia rozsianego dotyczy kończyn górnych lub jednej kończyny górnej.

Statystycznie u 83% osób z PPMS występują niedowłady kończyn dolnych, nasilające się trudności w chodzeniu i nieprawidłowy chód.

To objaw, na który trzeba zwrócić szczególną uwagę!

Drugim co do częstości objawem PPMS, po **niedowładach kończyn**, są **zaburzenia mózdkowe** (występujące u 8% pacjentów), czyli zaburzenia równowagi, nieborność, niezgrabność ruchów. U 6% chorych występuje **hemiplegia** czyli porażenie połowiczne, objawiające się niemożnością wykonania ruchów kończyn górnych i dolnych po jednej stronie ciała. U części chorych na PPMS pojawiają się również **problemy ze zwieraczami**, czyli z oddawaniem moczu, rzadziej stolca, oraz problemy z potencją w przypadku mężczyzn. Natomiast zapalenie nerwu wzrokowego i zaburzenia widzenia, które są bardzo częste w postaci rzutowo-remisyjnej, w postaci pierwotnie postępującej występują sporadycznie.

**Objawy postaci pierwotnie postępującej
stwardnienia rozsianego (PPMS)**



Problemy z chodzeniem
niedowład i osłabienie
kończyn dolnych



Problemy
z równowagą



Sztywność,
drętwienie kończyn



Zaburzenia
kontroli zwieraczy



Nadmiernie szybkie
męczenie się



Zaburzenia funkcji
poznawczych
np. pamięci i koncentracji

DIAGNOZA PPMS

PPMS rozpoznawana jest przez neurologów na podstawie kryteriów diagnostycznych McDonalda, uaktualnionych w 2017 roku.

Aby zdiagnozować PPMS, należy stwierdzić postęp choroby w ostatnim roku (oceniony za pomocą wywiadu lub badania neurologicznego), a także występowanie charakterystycznych zmian patologicznych w badaniu MRI mózgu i rdzenia kręgowego.

W trakcie diagnostyki należy wykluczyć inne choroby, mogące dawać podobne do PPMS objawy, m.in.: choroby rdzenia kręgowego przebiegające z jego kompresją (jak spondyloza szyjna), wady wrodzone rdzenia, zaburzenia metaboliczne (np. niedobór witaminy B12, niedobór miedzi, fenyloketonuria), spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia (NMOSD), choroby infekcyjne (jak HIV, kiła), stwardnienie zanikowe boczne, niektóre choroby naczyniowe.

Ścieżka diagnostyczna osób chorujących na postać pierwotnie postępującą stwardnienia rozsianego jest obecnie zbyt długa. W Polsce od momentu wystąpienia pierwszych objawów choroby do momentu postawienia diagnozy mija średnio 4-5 lat. Neurologi apelują, aby w przypadku niepokojących objawów zgłaszać się do lekarza i dążyć do diagnozy, bo tylko prawidłowe rozpoznanie pozwala na włączenie efektywnego leczenia.

Szybka diagnoza to połowa sukcesu.

Jeśli zauważysz objawy mogące świadczyć o PPMS – nie czekaj!

**Porozmawiaj o nich z lekarzem rodzinnym
i poproś o skierowanie do lekarza neurologa.**

LECZENIE PPMS

Leczenie PPMS powinno być prowadzone w sposób kompleksowy i obejmować:

- farmakoterapię objawową,
- leczenie rehabilitacyjne, (rehabilitację ruchową, logopedyczną i neuropsychologiczną),
- leczenie modyfikujące przebieg choroby, którego celem jest zahamowanie naturalnej progresji choroby i spowolnienie narastania niepełnosprawności.
- wsparcie psychologiczne

Leczenie postaci pierwotnie postępującej
stwardnienia rozsianego (PPMS)



Leczenie modyfikujące
przebieg PPMS



Leczenie objawów
(np. spastyczności)



Rehabilitacja
ruchowa



Trening mózgu



Wsparcie psychologa

Jedynym lekiem obecnie zarejestrowanym w terapii modyfikującej przebieg PPMS jest okrelizumab. Jest to przeciwciało monoklonalne, oddziałujące na limfocyty B, czyli podtyp krwinek białych, uczestniczących w patogenezie stwardnienia rozsianego. Leczenie okrelizumabem jest wygodne dla pacjentów, ponieważ lek jest podawany co pół roku we wlewie dożylnym. Badania kliniczne udowodniły, że okrelizumab wyraźnie spowalnia narastanie niepełnosprawności u większości pacjentów z aktywną postacią pierwotnie postępującą stwardnienia rozsianego. Wczesne włączenie skutecznego leczenia modyfikującego przebieg PPMS jest kluczowe dla zachowania sprawności. Leczenie PPMS okrelizumabem odbywa się w ramach programu lekowego B.29. Włączenie do programu lekowego jest uwarunkowane spełnieniem wymaganych kryteriów oraz przeprowadzeniem niezbędnych badań diagnostycznych.

Kryteria kwalifikacji do leczenia PPMS w programie lekowym B.29 obejmują:

- rozpoznanie pierwotnie postępującej postaci stwardnienia rozsianego oparte na aktualnych kryteriach diagnostycznych McDonald'a łącznie z badaniami rezonansem magnetycznym, przed i po podaniu kontrastu;
- wiek powyżej 18 lat;
- wynik w skali EDSS od 3 do 6,5;
- czas trwania choroby od pierwszych objawów PPMS: mniej niż 10 lat u pacjentów z wynikiem EDSS w chwili kwalifikacji mniejszym bądź równym 5 lub mniej niż 15 lat u pacjentów z wynikiem EDSS w chwili kwalifikacji powyżej 5;
- potwierdzona aktywność zapalna w obrazie rezonansu magnetycznego (MRI) mózgu i rdzenia kręgowego (czyli przynajmniej jedno ognisko aktywne wzmacniające się po kontrastie (T1 Gd+) albo przynajmniej jedno nowe lub powiększające się ognisko T2 w porównaniu do poprzedniego badania MRI).
- brak przeciwwskazań do leczenia wskazanych w Charakterystyce Produktu Leczniczego.

Przed włączeniem **do leczenia okrelizumabem** w programie lekowym **wykonywane są:**

- badania biochemiczne (oceniające funkcje nerek, wątroby, tarczycy),
- badania ogólne moczu,
- morfologia krwi z rozmazem,
- rezonans magnetyczny głowy i maksymalnie 2 odcinków rdzenia kręgowego (przed i po podaniu kontrastu),
- test ciążowy u pacjentek w wieku rozrodczym,
- ocena statusu neurologicznego w określeniu EDSS,
- badania przesiewowe w kierunku HBV (oznaczenie stężenia przeciwciał antyHBc i HbsAg) i w razie potrzeby konsultacja specjalisty chorób zakaźnych
- RTG płuc i w razie potrzeby konsultacja specjalisty chorób płuc,
- standardowe badania przesiewowe w kierunku raka piersi (USG piersi lub mammografia w zależności od wieku pacjentki).

Przeciwwskazaniami do leczenia okrelizumabem w programie lekowym B.29 są: nadwrażliwość na lek, trwające aktualnie czynne infekcje, ciężkie niedobory odporności, aktywny nowotwór złośliwy.

U osób z PPMS leczonych okrelizumabem w programie lekowym B.29 wymagane jest monitorowanie efektów leczenia i postępu choroby. W związku z tym wykonywane są:

- badanie neurologiczne z oceną EDSS co 3-6 miesięcy (według decyzji lekarza prowadzącego),
- rezonans magnetyczny po każdym 12 miesiącach (według decyzji lekarza prowadzącego),
- badania laboratoryjne przed każdym podaniem leku (obejmujące morfologię krwi, badanie ogólne moczu, badanie funkcji nerek i wątroby, badanie na obecność przeciwciał HBsAg),
- test ciążowy u pacjentek w wieku rozrodczym przed każdym podaniem leku.

**Wczesne włączenie skutecznego
leczenia modyfikującego przebieg PPMS
jest kluczowe dla zachowania sprawności.**

PODSUMOWANIE

Okolo 10-15% osób z SM choruje na postać pierwotnie postępującą (PPMS). W Polsce to ok. 5 tysięcy osób.

Najczęstszym objawem PPMS są niedowłady kończyn dolnych, osłabienie i sztywność nóg, powodujące problemy z poruszaniem się.

Należy dążyć do jak najwcześniejszego rozpoznania PPMS, a u osób spełniających kryteria kwalifikacji do programu lekowego B.29 – do niezwłocznego rozpoczęcia leczenia modyfikującego przebieg choroby.

Piśmiennictwo:

1. Broła i wsp., Profile of Polish patients with primary progressive multiple sclerosis. *Mult Scler Relat Disord.* 2019;33:33-38.
2. Multiple Sclerosis International Federation. (2020). Atlas of MS 2020.
3. Antel J., Antel S., Caramanos Z., Arnold DL., Kuhlmann T. (2012) Primary progressive multiple sclerosis: part of the MS disease spectrum or separate disease entity? *Acta Neuropathol* 123(5):627-638.
4. Broła W. (2022) Pierwotnie postępujące stwardnienie rozsiane w praktyce lekarza rodzinnego *Forum Medycyny Rodzinnej* 16(3): 102-109;
5. Montalban X. (2005) Primary progressive multiple sclerosis. *Curr Opin Neurol.* 18: 261-266.
6. Jamroz-Wiśniewska A. (2022) Stwardnienie rozsiane pierwotnie postępujące - droga pacjenta od lekarza rodzinnego do neurologa, *Lekarz POZ*, vol. 8, 3.
7. Adamczyk-Sowa M., Kalinowska-Lyszczarz A. i wsp. (2021) Diagnostyka stwardnienia rozsianego. Rekomendacje Sekcji Stwardnienia Rozsianego i Neuroimmunologii Polskiego Towarzystwa Neurologicznego. *Polski Przegląd Neurologiczny* 17(4):149-164.
8. Program lekowy B.29 Leczenie chorych na stwardnienie rozsiane (ICD-10: G35) dostępny na stronie <https://www.gov.pl/web/zdrowie/obwieszczenia-ministra-zdrowia-lista-lekow-refundowanych>

Gdzie się leczyć?

W Polsce działa ponad 130 ośrodków prowadzących program lekowy leczenia stwardnienia rozsianego B29. Listę placówek prowadzących program oraz orientacyjny czas oczekiwania na rozpoczęcie leczenia można znaleźć na stronie:

<https://terminyleczenia.nfz.gov.pl/#>

W rubryce: **jakiego świadczenia szukasz**, należy wpisać:

LECZENIE CHORYCH STWARDNIENIE ROZSIANE

Można wybrać województwo i miasto, które nas interesuje, ale warto pamiętać, że obecnie nie obowiązuje rejonizacja i pacjent może leczyć się tam gdzie chce lub gdzie termin oczekiwania jest krótszy.

W razie pytań, zachęcamy do kontaktu z Centrum Informacyjnym Polskiego Towarzystwa Stwardnienia Rozsianego

www.ptsr.org.pl | cism@ptsr.org.pl

Infolinia: 22 127 48 50

(czynna pon. - pt. w godz. 9.00-16.00)



