INFOBLAD MYELODYSPLASTISCH SYNDROOM (MDS)

Stichting Contactgroep Leukemie, najaar 2012

De Stichting Contactgroep Leukemie brengt (ex) leukemiepatiënten en hun naasten met lotgenoten in contact, informeert over medische ontwikkelingen en behartigt de belangen van patiënten op het gebied van geneesmiddelenvoorziening, werk, inkomen en verzekeringen.
De Stichting Contactgroep Leukemie is aangesloten bij de Nederlandse Federatie van Kankerpatiëntenorganisaties (NFK) en wordt mede gefinancierd door KWF Kankerbestrijding

Door donateur te worden steunt u het werk van de Stichting Contactgroep Leukemie.

Stichting Contactgroep Leukemie
p/a Nederlandse Federatie van Kankerpatiëntenorganisaties
Postbus 8152
3503 RD Utrecht
Telefoon: 030 2916090 (algemeen, secretariaat Stichting Contactgroep Leukemie bij NFK); 0800 - 022 66 22 (bemiddeling in lotgenotencontact via gratis KWF Kanker Infolijn)
Email: secretariaat@leukemie.nfk.nl
Website: www.leukemie.nfk.nl Inhoud infoblad Myelodysplastisch Syndroom (MDS)

Inleiding 2
Bloedcelproductie 2
Oorzaken..... 3
Indeling typen Myelodysplastisch Syndroom..... 3
Risico's en prognose 5
Signalen en symptomen 7
Onderzoek en diagnose.....8
Behandeling..... 8

Dit infoblad is geschreven door Prof. Dr. G.J. Ossenkoppele, internist-hematoloog bij het VU Medisch Centrum. Prof. Ossenkoppele heeft zitting in de adviesraad van de Stichting Contactgroep Leukemie

Dit infoblad is in het voorjaar van 2004 voor de eerste maal gepubliceerd. In het najaar van 2012 is de tekst opnieuw gereviseerd. Over meerdere typen leukemie zijn inmiddels infobladen verschenen.

Inleiding

Het MyeloDysplastisch Syndroom (MDS), ook wel myelodysplasie genoemd, staat voor een groep van ziekten van het beenmerg, waarbij de aanmaak van bloedcellen ernstig is verstoord. MDS is een bloedziekte, die ontstaat doordat het beenmerg op een verkeerde manier bloedcellen aanmaakt. Het resultaat van deze gestoorde aanmaak dat er te weinig bloedcellen in het bloed aanwezig zijn en dat ze daarnaast misvormd en niet goed uitgerijpt zijn. De naam myelodysplastisch syndroom is als volgt samengesteld: "myelo" betekent dat de aandoening betrekking heeft op het beenmerg; "dys-" = abnormaal; "plasie" betekent vorming/aanmaak en een syndroom is een complex van symptomen - verschijnselen.

De slechte kwaliteit van de bij MDS geproduceerde bloedcellen veroorzaakt dat een belangrijk deel van deze bloedcellen al wordt vernietigd, vóórdat zij het beenmerg verlaten. Dit betekent, dat het aantal rode en witte bloedcellen en bloedplaatjes bijzonder laag kan worden. Deze situatie wordt anemie (rode bloedcellen – erytrocyten – te laag), leukocytopenie (witte bloedcellen te laag), trombocytopenie (bloedplaatjes te laag) of pancytopenie (alle drie te laag) genoemd. Bij MDS is er niet alleen sprake van een aanmaak van gestoorde bloedcellen, maar sommige voorlopercellen kunnen ook ontsporen richting acute leukemie.
In ongeveer 30-40% van de gevallen van MDS ontwikkelt zich inderdaad een acute vorm van leukemie, meestal acute myeloïde leukemie (AML), maar dit hangt sterk af van het type MDS, waar een patiënt zich mee presenteert. Sommige vormen van MDS ontsporen vrijwel nooit, andere veel vaker.

Bij MDS worden vaak bepaalde bij de ziekte horende afwijkingen in de chromosomen vastgesteld. Dit zijn verworven afwijkingen. MDS is geen erfelijke ziekte. Een deel van de chromosomale afwijkingen wordt soms ook gevonden bij AML. Sommige gevallen van MDS kunnen soms al sterk op een AML lijken door de toename van het aantal primitieve voorlopercellen (blasten) in het beenmerg.

MDS is een ziekte van de oudere mens en wordt vaak vastgesteld tussen de 60 en 90 jaar en komt vaker voor bij mannen dan bij vrouwen. Het aantal jongeren met MDS is stijgende. Ook als gevolg van een verbeterde diagnosestelling neemt het aantal geconstateerde gevallen van MDS toe. Het geschatte aantal nieuwe patiënten is 3,3 op de 100.000, toenemend op hogere leeftijd tot 50 op de 100.000 personen. De behandeling bij MDS is voornamelijk gericht op bestrijding van de bijbehorende verschijnselen, omdat de ziekte namelijk bij de meeste patiënten niet te genezen is. Alleen bij bepaalde vormen van MDS is genezing mogelijk. Dit kan worden bereikt met hoge dosis chemotherapie, eventueel gevolgd door stamceltransplantatie. Echter, de meeste patiënten met MDS zijn veelal te oud om voor een dergelijke zeer intensieve behandeling met vele risico's in aanmerking te komen. Bij jongere patiënten kan de toepassing van chemotherapie of stamceltransplantatie leiden tot een lange periode van vrij zijn van ziekteverschijnselen en soms leiden tot volledig herstel.

Bloedcelproductie

Het lichaam heeft drie soorten bloedcellen: rode bloedcellen (erytrocyten) die zuurstof door het lichaam vervoeren, witte bloedcellen (leukocyten), die helpen infecties te bestrijden en bloedplaatjes (trombocyten), die bloedingen stelpen. De witte bloedcellen kunnen verder worden onderverdeeld in granulocyten (met een verdere onderverdeling in neutrofielen, eosinofielen en basofielen), lymfocyten en monocyten. De bloedcellen worden aangemaakt in het beenmerg van met name platte botten zoals bekken, wervels ribben, borstbeen. In dit beenmerg bevinden zich de stamcellen waaruit de diverse typen bloedcellen ontstaan. Stamcellen reageren op chemische signalen (cytokines, groeifactoren), die het lichaam afgeeft wanneer er bepaalde soorten bloedcellen moeten worden aangemaakt om het aantal op het benodigde peil te brengen. De stamcel ondergaat dan een proces dat celdeling wordt genoemd, waarbij de cel steeds weer in twee nakomelingen opdeelt. Hierdoor ontstaan er steeds weer nieuwe bloedcellen. Deze nakomelingen rijpen uit en ontwikkelen zich stapsgewijs tot volwaardige rode bloedcellen, witte bloedcellen en bloedplaatjes, die tenslotte door het

beenmerg aan het bloed worden afgegeven.

Oorzaken, erfelijkheid en frequentie

In de meeste gevallen van MDS kan er geen oorzaak voor de gestoorde bloedcel aanmaak worden aangewezen. Aannemelijk is dat de aanmaakfout ligt in het DNA van de stamcel in het beenmerg. In bepaalde gevallen kan MDS mogelijk optreden als gevolg van de behandeling voor andere vormen van kanker (door met name de hierbij gegeven chemotherapie). Dit wordt secundaire MDS genoemd of soms ook aangeduid als 'aan behandeling-gerelateerde MDS'. In zeer zeldzame gevallen kan er sprake zijn van in de familie voorkomende afwijkingen, die de kans om MDS te krijgen vergroten.
Ook blootstelling aan straling, chemicaliën, bestrijdingsmiddelen en aan hoge concentraties van benzeen over een langere tijd kunnen oorzaak zijn van het ontwikkelen van MDS.

Indeling typen Myelodysplastisch Syndroom

MDS werd tot circa 1999 in vijf typen onderverdeeld volgens het zogenaamde FAB-systeem, genoemd naar een groep onderzoekers uit Frankrijk, Amerika en Groot-Brittannië. Dit systeem bewees zijn waarde bij het vaststellen van het waarschijnlijke proces van de ziekte en de mate waarin de bloedcelproductie was beschadigd. Bovendien was door de vaste terminologie voor iedereen in de wereld duidelijk welke fase van MDS bij een individuele patiënt in het spel was. Nadien is door de World Health Organization (WHO) een nieuwe classificatie ontwikkeld, die nu vrijwel overal wordt toegepast. Omdat sommige specialisten ook nog werken met de oude vertrouwde FAB classificatie, wordt deze hieronder toch ook nog beschreven.

*MDS indeling volgens de oude **FAB** classificatie:*

- **Refractaire Anemie (RA)**
- **Refractaire Anemie met Ring Sideroblasten (RAS) c.q (RARS)**
- **Refractaire Anemie met Excess – overmaat – aan Blasten (RAEB)**
- **Refractaire Anemie met Excess aan Blasten in transformatie (RAEB-t)**
- **Chronische Myelomonocyten Leukemie (CMML) c.q (CMMoL)**

*MDS Indeling volgens de moderne **WHO2008*** classificatie:*

1. **Refractaire cytopenie**
   - refractaire** anemie(RA)
   - refractaire neutropenie(RN)
   - refractaire trombocytopenie(RT)
2. **Refractaire anemie met ringsideroblasten (RARS**)
3. **Refractaire cytopenie met multilineage dysplasie (RCMD)**
4. **Refractaire anemie met excess aan blasten (RAEB)**
5. **MDS met geïsoleerde 5q-afwijking**
6. **MDS niet goed te classificeren**

* Indeling volgens de Wereld Gezondheidsorganisatie uit 2008
** Refractair = niet op behandeling reagerend

<u>Refractaire Anemie (RA)</u>
Dit type komt in ongeveer 20-30% van de gevallen van MDS voor. Het beenmerg is normaal of overvol (hypercellulair). De cellen in het beenmerg, die rode bloedcellen aanmaken zien er abnormaal uit. Er is tevens sprake van cytopenie (verlaagd aantal cellen) bij minstens één type bloedcel (meestal de rode bloedcellen, waardoor er bloedarmoede (= anemie) ontstaat, die niet reageert op bij voorbeeld het toedienen van ijzertabletten, vandaar de naam 'refractair'. Het aantal blasten in het beenmerg bedraagt minder dan 5% en in het perifere bloed minder dan 1%. Zelden is er een ontwikkeling richting acute leukemie.
De gemiddelde overlevingsduur bedraagt vele jaren.

Refractaire Anemie met Ring Sideroblasten (RARS) Er worden dezelfde veranderingen vastgesteld als bij MDS (RA), maar er worden bijkomende afwijkingen waargenomen bij de rode bloedcellen. Naarmate de voorlopercellen (blasten) meer en meer defecten gaan vertonen, zijn zij ook steeds minder in staat om gebruik te maken van ijzer om hemoglobine aan te maken teneinde zuurstof te vervoeren. In de plaats daarvan wordt het ijzer opgeslagen in de zich ontwikkelende rode bloedcel, waarbij er een karakteristieke ring wordt gevormd, die goed te zien is door de microscoop.

Deze cellen worden 'ringsideroblasten' genoemd en dienen volgens afspraak in meer dan 15% van de rode voorlopercellen aanwezig te zijn. Ongeveer 2 tot 5% van de MDS-patiënten hebben deze vorm van MDS. De overlevingskansen zijn gelijk aan die van MDS (RA). Heel soms reageert een patiënt goed op zeer hoge doses vitamine B6 (pyridoxine).

Refractaire Cytopenie met Multilineage Dysplasie (RCMD)
Dit beeld lijkt erg op de gewone refractaire anemie, alleen ditmaal zijn niet alleen de rode cellen, maar ook de witte cellen en/of bloedplaatjes bij het beeld betrokken. Multilineage wil zeggen, dat er meerdere cellijnen bij de ziekte betrokken zijn
Cytopenie (een tekort aan cellen) geeft aan dat er bij deze patiënten sprake kan zijn van een anemie en/of leukocytopenie en/of trombocytopenie.

Refractaire Anemie met Excess aan Blasten (RAEB) Bij deze vorm (die ongeveer 30-35% van de MDS patiënten heeft) komen meer abnormale primitieve (jonge onrijpe) bloedcellen voor.

Het aantal jonge onrijpe cellen (blasten) in het beenmerg ligt tussen de 5% en 20% en is minder dan 5% in de bloedsomloop. Er is sprake van cytopenie bij tenminste 2 soorten bloedcellen. Ongeveer 40 % van de patiënten met MDS (RAEB) krijgt uiteindelijk een vorm van acute leukemie, meestal AML. Daarom zijn de overlevingskansen zonder therapie slechter. De helft van de patiënten leeft niet langer dan ongeveer 1,5 jaar.

De MDS soort 'Refractaire Anemie met Excess aan Blasten in transformatie (RAEB-t) werd in de FAB nog gebruikt, maar is in de nieuwe WHO classificatie afgeschaft, omdat deze groep inmiddels al beschouwd wordt als een vorm van acute myeloïde leukemie, en – als dit mogelijk is – ook als zodanig wordt behandeld met zeer intensieve chemotherapie. De gemiddelde overlevingstijd van deze groep patiënten, indien onbehandeld, is dan ook slechter, namelijk in de orde van 6 maanden.

MDS met 5q-cytogenetische afwijking. Deze zeldzame vorm van MDS gekenmerkt door een specifieke chromosomale afwijking (5q-) wordt apart herkend. Dit betekent, dat een deel van chromosoom 5 ontbreekt. Het betreft nogal eens oudere vrouwelijke patiënten met een anemie en toename aan trombocyten. In het beenmerg worden karakteristieke afwijkingen aan de megakaryocyten gezien, de voorlopercellen van de bloedplaatjes. Het vooruitzicht voor wat betreft de overleving is over het algemeen beter dan van de andere vormen van MDS. Dit is een vorm van MDS die uitzonderlijk goed op behandeling met Lenalidomide lijkt te reageren. Deze behandeling is in Europa nog niet goedgekeurd. Ook is de kans op ontwikkeling richting acute myeloïde leukemie erg klein.

Variaties
Naast de 5 hoofdvormen van MDS bestaan er nog een aantal variaties, zoals:
- Hypoplastische* MDS
- MDS met fibrosis**
- t-MDS (therapie gerelateerde MDS)

Van deze vormen zijn de vooruitzichten voor elk individu verschillend. Patiënten met een therapie-gerelateerde MDS daarentegen hebben juist een slechtere prognose. Bij deze laatste groep wordt vooral gedoeld op vroeger doorgemaakte behandelingen met chemotherapie-achtige geneesmiddelen.

* hypoplastisch = onvolkomen ontwikkeling van bloedcellen
** fibrosis = bindweefselvorming in beenmerg

Chronische Myelomonocyten Leukemie (CMML) c.q (CMMoL)
Dit is een ziekte die vroeger bij de MDS werd ingedeeld maar tegenwoordig meer als een andere entiteit wordt beschouwd. Bij CMML er een toename van het aantal monocyten in het bloed (monocytosis) en in het beenmerg, met wederom soms een toename aan blasten van 5% tot 20%. Er wordt meestal een kleine teruggang in het aantal bloedplaatjes waargenomen en er kan sprake zijn van anemie. Van het aantal gevallen van MDS maakt deze vorm ongeveer 15% tot 20% uit. De gemiddelde overlevingsduur bedraagt ongeveer 12 tot 18 maanden. Ook deze vorm kan uiteindelijk bij ongeveer 30% van de patiënten overgaan in een vorm van acute leukemie, veelal AML.

Risico's en prognose

De prognose is sterk afhankelijk van de onderverdeling van de typen MDS. De twee belangrijke scenario's in het beloop van MDS zijn:

1. ontwikkeling tot AML
2. Infecties/bloedingen ten gevolge van de cytopenie

Patiënten met refractaire anemie en refractaire anemie met ringsideroblasten maken minder kans op verergering van de ziekte dan de meer agressieve vormen van MDS. Patienten met de 'mildere' vormen van MDS zullen uiteindelijk mogelijk niet aan MDS, maar aan andere oorzaken overlijden.

Een deel van de MDS-patiënten, vooral als er sprake is van toename aan blasten (de zogenaamde RAEBvorm), zal echter een vorm van acute leukemie kunnen ontwikkelen, meestal Acute Myeloïde Leukemie.

Bij het opstellen van een prognose – vooruitzicht – wordt gebruik gemaakt van het: International Prognostic Scoring System (IPSS). Bij dit systeem worden er 3 factoren bezien die een goede indicatie kunnen geven van de vooruitzichten, n.l. het percentage blasten in het beenmerg, het zogenaamde karyotype (het profiel van afwijkingen in de chromosomen, zie verderop bij 'Onderzoek en diagnose') en de mate van vóórkomen van cytopenie. De score van dit prognostisch systeem loopt van 0 t/m 2.0 met 0 als de beste score.

Factor scoringswaarde

variabele	0	0,5	1,0	1,5
beenmergblasten	<5%	5%-10%		11% - 20%
karyotype		gunstig	gemiddeld	ongunstig
cytopenie (aantal lijnen)	0-1	2- 3		

Karyotype is hoe de chromosomen eruit zien, of ze normaal of afwijkend zijn.

Risico scores:

Laag risico: 0
Gemiddeld 1: 0,5 - 1.0
Gemiddeld 2: 1,5 - 2.0
Hoog risico: 2.5

Sinds kort is een nieuw scoring systeem gepubliceerd dat een verfijning van de eerder gepubliceerde classificatie betekent – zie volgende bladzijde:

Indeling van het herziene Internationale Prognostische Score Systeem (IPSS-R):

variabele	0	0,5	1,0	1,5	2,0	3,0	4,0
Karyotype*	Zeer goed		goed		intermediair	slecht	Zeer slecht
BM blasten (%)	≤ 2		>2-<5		5-10	>10	
Hb (mmol/l)	> 6,2		5-6,2	<5,0			
Trombocyten ($x10^9$/l)	≥ 100	50-100	<50				
ANC ($x10^9$/l)	≥ 0,8	<0,8					

Systeem (IPSS-R)

Hetgeen leidt tot de volgende risicoclassificatie:

Risico scores:

Zeer laag: ≤1.5)
Laag risico: >1.5-3
Intermediair: >3-4.5
Hoog: >4.5-6
Zeer hoog risico: >6

Signalen en symptomen

Op het tijdstip dat de diagnose wordt gesteld vertonen sommige patiënten nog geen symptomen – verschijnselen – van de ziekte. MDS wordt vaak vastgesteld tijdens een routine onderzoek. De meest voorkomende symptomen worden veroorzaakt door anemie, inclusief de daarbij behorende oververmoeidheid en het snel buiten adem raken.

De meest voorkomende signalen en symptomen zijn:

- extra vermoeidheid bij inspanning
- blijvende vermoeidheid en zwakte
- ademnood bij inspanning
- duizeligheid en hoofdpijn
- toenemend aantal bloedingen
- ernstige bloeduitstortingen
- koorts die langer dan enige dagen achtereen duurt
- veelvuldig voorkomen van infecties en het ernstiger worden daarvan
- gewichtsverlies zonder duidelijke oorzaak
- vergroting van milt en lever en pijn in de botten

NB! Deze signalen en symptomen komen niet exclusief bij MDS voor. Ook bij andere ziekten komen ze voor. Het kan wel een indicatie zijn om onderzoek in bepaalde richtingen te doen. Soms komen bij het MDS auto-immuun ziekten* voor, die gekenmerkt kunnen worden door gewrichtsklachten en huidafwijkingen.

* Auto-immuunziekte = Een afweerreactie van het lichaam tegen lichaamseigen stoffen of organen

Onderzoek en diagnose

De behandelend arts zal naast een lichamelijk onderzoek om lymfekliervergrotingen en eventuele afwijkingen in milt en lever vast te stellen ook een röntgenonderzoek en eventueel een echografie laten uitvoeren. Daarnaast vindt er een bloedonderzoek plaats waarbij de aantallen en conditie van de diverse bloedcellen en o.a. het hemoglobine gehalte worden vastgesteld.

Een MDS-patiënt zal meestal een verlaagd aantal rode bloedcellen (erytrocyten) en bloedplaatjes (trombocyten) hebben en ook het aantal witte bloedcellen (leukocyten) kan lager zijn dan normaal, Het bloedonderzoek zal in combinatie met beenmerg onderzoek en het verwijderen van een stukje bot uit het beenmerg (beenmergbiopsie) gebeuren. Dit gebeurt onder plaatselijke verdoving.
Dit dient onder andere voor het vaststellen van het type MDS en cytogenetisch onderzoek (chromosomen analyse). Het vaststellen van het type MDS is belangrijk om te bepalen hoe de ziekte zich zal gaan ontwikkelen – de prognose. Het chromosomenonderzoek (de bepaling van het karyotype) is ook belangrijk om vast te stellen hoe op een behandeling zal worden gereageerd. Bij onderzoeken is vastgesteld dat bij het merendeel van alle MDS-patiënten duidelijk herkenbare afwijkingen in de chromosomen van de beenmergcellen kunnen worden vastgesteld. Deze afwijkingen worden veroorzaakt door de ziekte en betreffen dus geen erfelijke aandoening. Bepaalde afwijkingen, zoals b.v het geïsoleerde verlies van het Y-chromosoom, of het 5q of het 20q chromosoom, geven aan dat er waarschijnlijk sprake is van een milde of minder ernstige vorm van de ziekte.

Afwijkingen in chromosoom 7 of complexe afwijkingen van drie of meer chromosomen duiden over het algemeen op een ernstiger vorm van MDS. Misschien ten overvloede is het nuttig nog te melden dat het hier alleen gaat om afwijkingen aan de chromosomen in de MDS cellen en niet in de rest van het lichaam. Deze chromosoomafwijkingen zijn dus verworven en niet erfelijk.
De signalen en symptomen bij MDS lijken vaak op die bij andere ziektebeelden. Ze zijn derhalve onvoldoende om de diagnose MDS te stellen. De diagnose MDS moet echter worden verondersteld bij elke patiënt met een onverklaarbare bloedarmoede. De diagnose wordt vervolgens bevestigd door bloed- en beenmergonderzoek, liefst in combinatie met chromosoomanalyse.

Behandeling

Bij het merendeel van de patiënten zal de behandeling zijn gericht op het onder controle houden van de verschijnselen – symptomen – en het bevorderen van de kwaliteit van leven. De omstandigheden zijn bij elke patiënt weer anders, zodat de behandeling bij elke patiënt ook net weer iets anders zal zijn.
Een peiler in de behandeling voor MDS patiënten is het geven van ondersteunende behandelingen om de patiënt te ontlasten bij bepaalde symptomen, bijv. door het zonodig geven van transfusies met rode bloedcellen en/of bloedplaatjes.

Patiënten met een milde vorm van anemie hebben echter over het algemeen geen transfusie nodig. Als er sprake is van een ernstige anemie en een laag gehalte aan erythropoietine (EPO) in het bloed, kan proefbehandeling met erytropoietine zinvol zijn. Erytropoietine bevordert de ontwikkeling van rode bloedcellen uit de stamcel. Erytropoietine kan daarom soms een verbetering van de bloedarmoede geven. Soms kan toevoeging van een andere groeifactor verbetering van de anemie geven.

Patiënten met een laag aantal witte bloedcellen kunnen zo nodig worden behandeld met antibiotica ter voorkoming of behandeling van infecties. Ook kan er gebruik gemaakt van groeifactoren zoals G-CSF. Dit wordt gebruikt ter stimulering van de productie van gezonde witte bloedcellen, zoals granulocyten en monocyten. De behandeling met groeifactoren wordt bij het laag risico MDS momenteel als standaard behandeling beschouwd en is bij een deel van de patiënten succesvol. Deze medicamenten worden per injectie toegediend.
Er zijn diverse nieuwe middelen met een eigen werkingsmechanisme in onderzoek. Een interessant middel is lenalidomide dat werkzaam lijkt bij een bepaalde subgroep van

patiënten. Als het middel een effect sorteert, kunnen de bloedgetallen (bijv. de bloedarmoede) verbeteren. Het aangrijpingspunt van dit geneesmiddel is niet goed bekend maar vooral sommige patienten met de zogenaamde 5q- chromosoomafwijking lijken hiervan te kunnen profiteren. Lenalidomide is inmiddels voor deze toepassing geregistreerd in de Verenigde Staten, maar nog niet in Europa. In Nederland wordt dit middel momenteel in studieverband (HOVON) uitgetest. Een ander middel dat soms een gunstige werking heeft is azacytidine, dat na een behandeling van weken tot een verbetering van het bloedbeeld kan leiden. Dit middel is inmiddels geregistreerd voor de behandeling van hoog risico MDS in Nederland. Omdat de kennis van de waarde van deze middelen en de plaatsbepaling in de therapie van MDS nog vrij beperkt is, vindt er volop onderzoek plaats. Dat is de reden dat veel van deze middelen in studieverband worden toegediend en beoordeeld teneinde het inzicht in de behandeling van MDS verder te vergroten.

Dergelijk onderzoek loopt in de Nederlandse centra vaak via de Stichting HOVON (Stichting Hemato-Oncologie voor Volwassenen). De behandeling vindt dan plaats volgens de laatste inzichten volgens de richtlijn van een studieprotocol.

De behandeling van MDS met een verhoogd aantal blasten, de zogenaamde RAEB vorm, geschiedt indien de patiënt daar geschikt voor wordt bevonden meestal met cytostatica (of chemotherapie).

In dat geval wordt over het algemeen een vergelijkbare behandeling toegepast als bij de behandeling van acute myeloïde leukemie. De uiteindelijke keuze van therapie kan verder afhangen van de algemene toestand van de patiënt en de leeftijd.

De enige therapie, die de ziekte met kans op genezing kan bestrijden, is intensieve chemotherapie (zoals gangbaar bij de behandeling van acute leukemie) en stamceltransplantatie. Deze behandeling wordt vooral toegepast bij patiënten met een MDS met een hoog risico en is ook afhankelijk van de leeftijd. Jongere patiënten hebben bij een donor-stamceltransplantatie redelijk goede vooruitzichten om over een lange periode vrij van ziekte te zijn (zie voor verdere toelichting op transplantatie het infoblad over acute myeloïde leukemie, ook te vinden op deze website).

De meeste patiënten met MDS zijn boven de 70 jaar en daarom lang niet altijd in staat om intensieve chemotherapie en evenmin in staat om een stamceltransplantatie met succes te ondergaan. De risico’s om te overlijden door deze behandeling kan voor deze groep momenteel groter zijn dan de kans op succes.

Door middel van medische onderzoeken (clinical trials) worden er studies verricht om veelbelovende nieuwe geneesmiddelen, combinaties van middelen en nieuwe behandelingsmethoden te beoordelen of meer te leren over behandelingen die momenteel in gebruik zijn. Deze studies zijn belangrijk omdat de informatie die daarbij wordt verkregen, bijdraagt aan het bereiken van meer veilige en effectievere behandelingsmethoden. Patiënten, die voor deze trials in aanmerking komen worden meestal via hun behandelende arts daarover geïnformeerd en aangezocht om, volgens een vastgesteld protocol, op vrijwillige basis deel te nemen.