

## **Informacja dla rodziców dotycząca zastosowania Rapamycyny w leczeniu dziecka z mnogimi naczyniakami krwionośnymi.**

Naczyniaki są to zmiany guzowate zbudowane z rozrastających się naczyń krwionośnych. Naczynia te nie mają prawidłowej budowy, a krew w nich nie płynie w prawidłowy sposób.

U Państwa dziecka liczne naczyniaki wypełniają prawie całą wątrobę, zaburzając przepływ krwi przez nią. Prawidłowej tkanki wątroby jest bardzo mało, przez co nie spełnia ona swoich normalnych funkcji. Na skutek tej choroby wątroba staje się powiększona, pojawia się żółtaczka, zaburzenia krzepnięcia, wątroba wytwarza za mało białek. Z czasem rozwija się zatrucie organizmu związkami, które w normalnych warunkach są unieczynnione przez prawidłowo funkcjonującą wątrobę. Zaburzony przepływ krwi przez nią może doprowadzić do niewydolności krążenia.

Stąd konieczne jest stosowanie leczenia, które spowoduje zmniejszenie lub zaniknięcie naczyniaków.

Terapię zaczęliśmy od leków stosowanych już od dawna u dzieci z naczyniakami. Są nimi Encorton i Propranolol. U około 1/3 dzieci ten rodzaj leczenia nie daje oczekiwanego efektu. Jeśli u Państwa dziecka naczyniaki nie będą się zmniejszać i czynność wątroby nie ulegnie poprawie wskazane będzie podjęcie próby leczenia Rapamycyną.

Rapamycyna jest lekiem, który między innymi ogranicza rozwój tworzenia się naczyniaków i pomaga w ich zmniejszaniu się i zanikaniu. W czasie jej stosowania mogą pojawić się objawy niepożądane takie jak: biegunka, nudności, wymioty, zmiany ciśnienia krwi, zaburzenia rytmu serca, niedokrwistość, zmniejszenie liczby krwinek białych i płytek krwi, upośledzenie czynności nerek, większa podatność na zakażenia.

Jeśli wyrażą Państwo zgodę na ten sposób leczenia, to w trakcie stosowania Rapamycyny systematycznie będą wykonywane badania:

1. oceniające skuteczność tego postępowania (USG, tomografia komputerowa wątroby oraz badania krwi oceniające jej wydolność),
2. mówiące o doborze prawidłowej dawki Rapamycyny u Państwa dziecka oraz
3. oceniające pojawianie się działań niepożądanych leku. W razie ich wystąpienia, leczenie będzie modyfikowane lub nawet dojdzie do zaprzestania podawania Rapamycyny po to by nie dopuścić do pogorszenia stanu zdrowia dziecka wynikającego z samego zastosowania leku.

Leczenie Rapamycyną w razie nieskuteczności Encortonu i Propranololu stwarza możliwość uniknięcia ostatniego etapu terapii przy tak rozległych naczyniakach wątroby jakim jest przeszczepienie tego narządu.

W razie nie wyrażenia przez Państwa zgody na zastosowanie Rapamycyny dziecko będzie nadal leczone w naszym ośrodku zgodnie z najnowszą wiedzą, stosując dotychczasową terapię, a w razie konieczności zostanie przeprowadzona kwalifikacja do transplantacji wątroby.