



SÖDERSJUKHUSET



**Karolinska  
Institutet**

# Barnhematologins patienter i vuxenlivet

Christian Kjellander



# Agenda

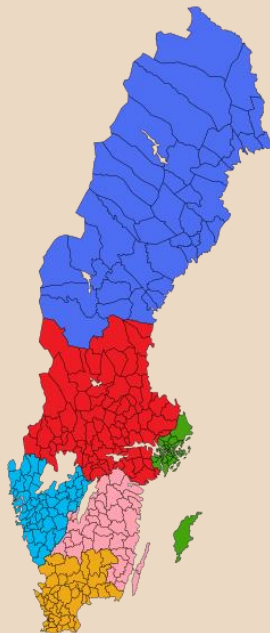
- Organisatoriska aspekter på benign hematologi hos vuxna

- Vuxna med SCD och Talassemi



SÖDERSJUKHUSET

<https://www.menti.com/alsooqrwvton>



**AIHA - 2025**

**SCD - 2024**

**TTP - 2022**

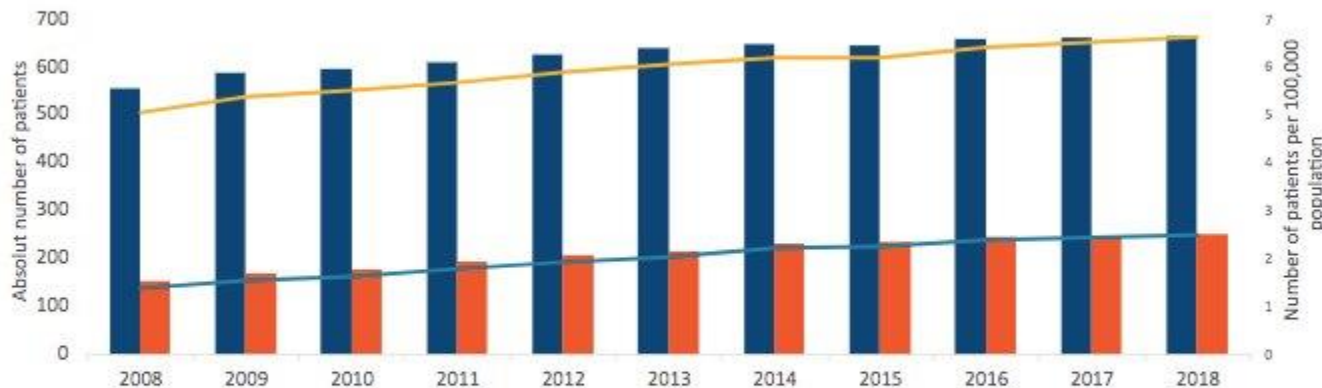
**Talassemi - 2019**

**ITP - 2014**

**PNH - 2010**

**Aplastisk anemi – 2010?**

## One-year prevalence of SCD in Sweden



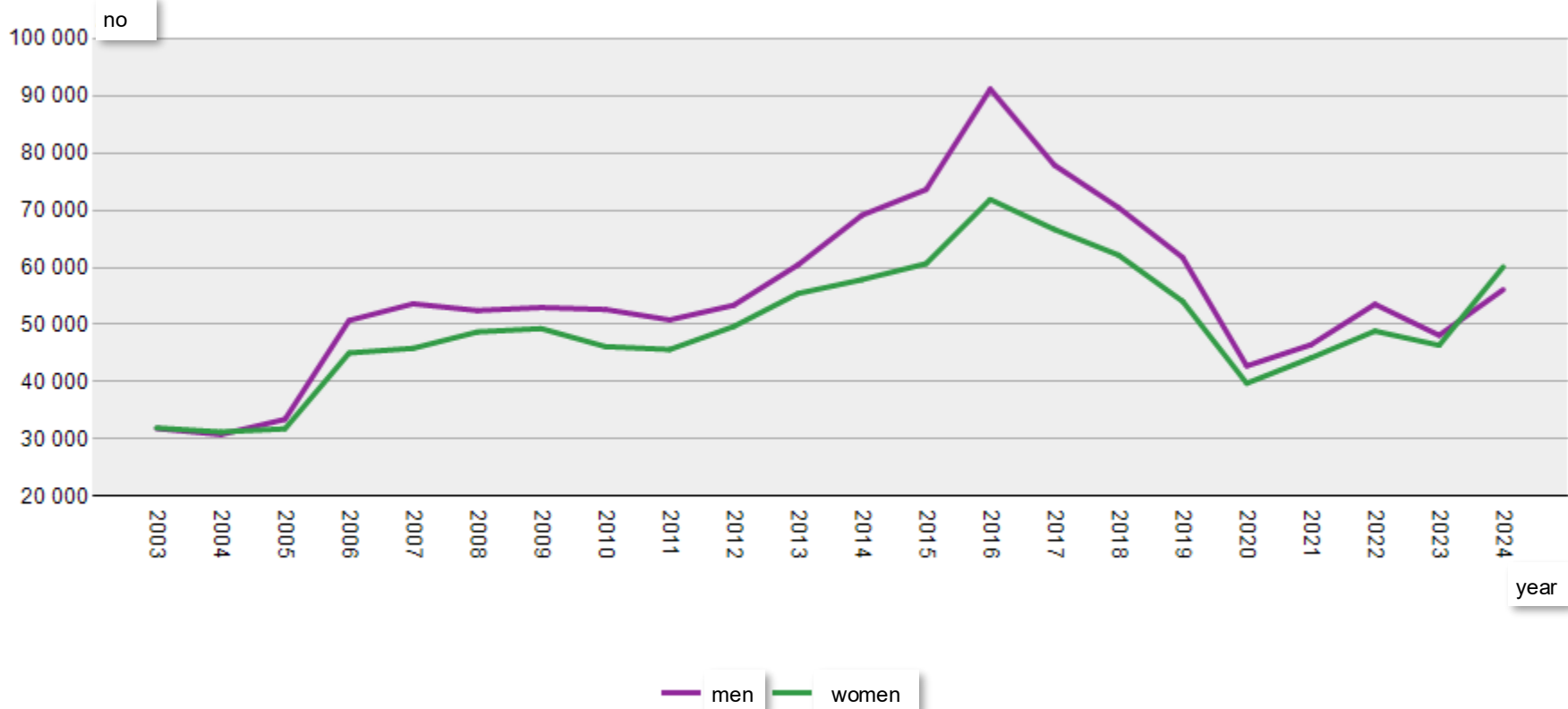
- SCD: 552 in 2008 and 670 in 2018, increase by 21%.

- SCD with crisis: 164 in 2008 and to 260 in 2018, increase by 59%.

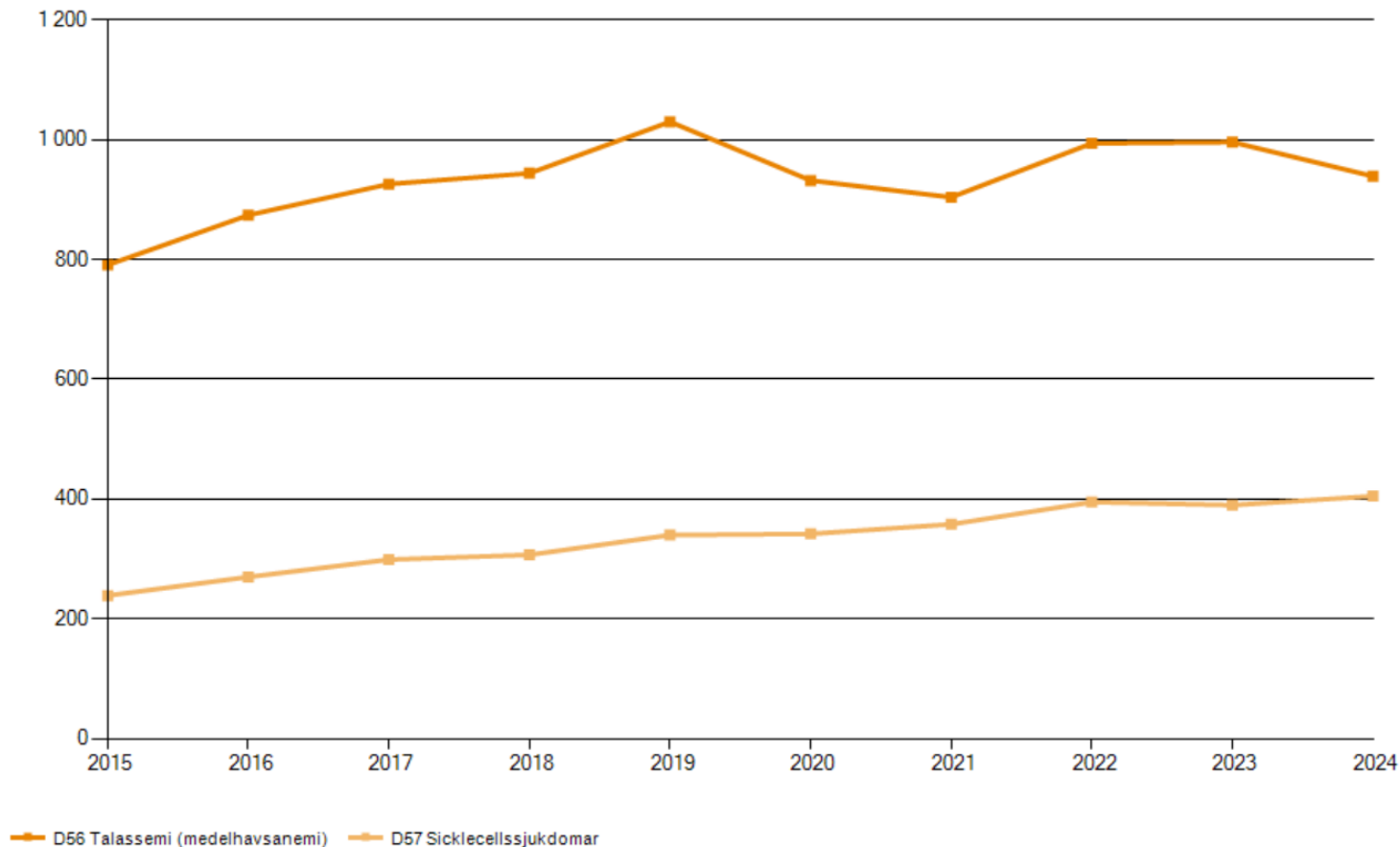
- TIF estimated around 2020  
584 individuals to have SCD

Kjellander et al Economic burden of sickle cell disease in Sweden: a population-based national register study with 13 years follow up 2023  
DOI=10.3389/frhem.2023.120594 1

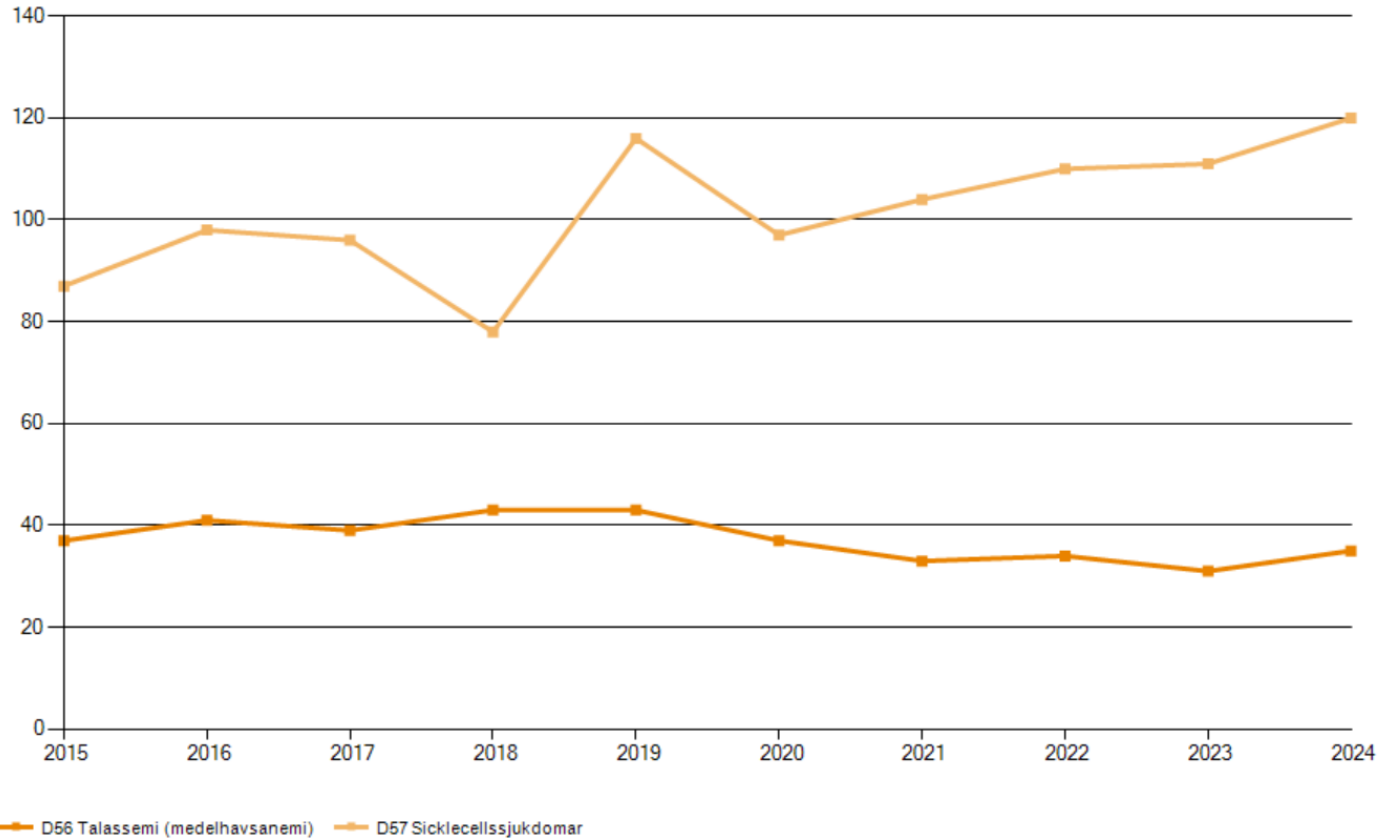
# Immigration sorted by gender and year




## Diagnoser, Specialiserad öppen vård, Antal patienter, Riket, Ålder: 0-85+, Båda könen



## Diagnoser, Sluten vård, Antal patienter, Riket, Ålder: 0-85+, Båda könen





## Kliniska pågående läkemedelsstudier

- - En fas 3, randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad multicenterstudie av ravulizumab hos vuxna och ungdomar som har trombotisk mikroangiopati (TMA) efter hematopoetisk stamcellstransplantation (HSCT)
- Voxelator vid SCD - avbruten

# SCD / Talassemi

- Prevalens
- Prognos
- Framtid

# SCD

- 50-90% dör innan fem års ålder (Am J Prev Med. 2011 Dec;41(6 Suppl 4):S398-405)
- Medianöverlevnad 5 år (BMJ,2005 Feb 26;330(7489):432–433)
- 20 år (Blood. 2019;133(6):615)
- Följsamhet till Hydrea är låg (Medicina (Kaunas). 2024 Jan 10;60(1):124)

# Talassemi

Italiensk longitudinell studie, TDT, födda 1970 - 1997 har följts fram till 2020.

- Överlevnaden vid 30åå ökat från 84% (födda 1970-1974) till 93% (födda 1985-1997)

Risken för att dö:

- Hjärtsjukdom (hazard ratio [HR] 4.63, 95% CI 1.78-12.1)
- Serum ferritin >1000 ng/mL (HR 15.5, 95% CI 3.52-68.2)
- Manligt kön (HR 2.75, 95% CI 0.89-8.45)
- Splenektomi (HR 6.97, 95% CI 0.90-54.0)

Am J Hematol. 2023 Mar;98(3):381-387

# Transitionsfasen SCD

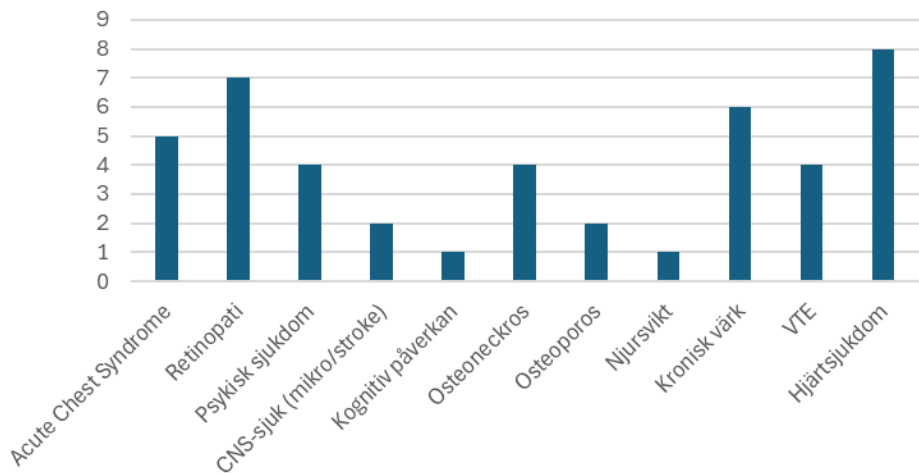
- Mortaliteten ökar: reduktion i livslängd
- Sämre mental hälsa, neurokognitiv dysfunktion och ökad sjukdomsaktivitet
- Konsumtion av inneliggande vård och besök till akuten ökar

# SCD

## Komplikationer som ökar

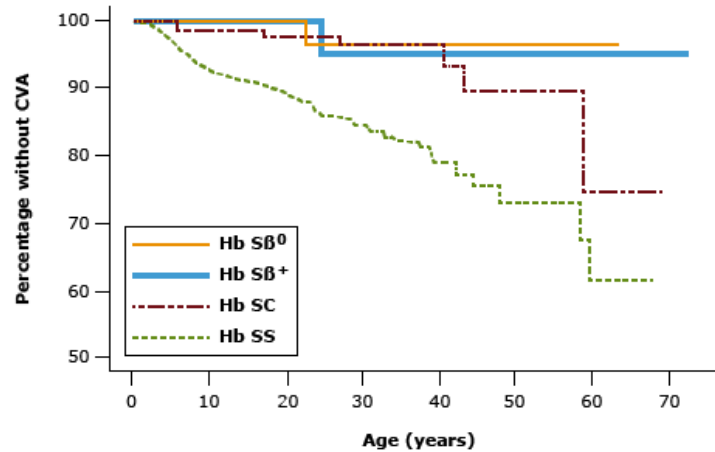
- Stroke och kognitiv dysfunktion
- Njursvikt och hypertoni
- Hjärtsjukdom
- Pulmonell hypertension
- Avaskulär nekros av leder
- Kronisk värk
- Sekundär hemokromatos
- Depression och depressiva symptom

Konstaterade SCD-komplikationer hos 14 individer



- Medianålder 41, Medelålder 42.
- 13 HbSS, 1 HbSC. 4 st har HbF som klart påverkar fenotypen.
- En avliden.
- D-vitaminbrist
- Njursjukdom, Alla har förhöjt GFR.
- Åtminstone en har mycket problematisk irreguljära AK.
- Cirka 50% tar Hydrea. 1 erytraferes (lågt räknat)
- Hjärtsjukdom inkl påverkan på hjärtrum, atypisk AMI, hypertoni

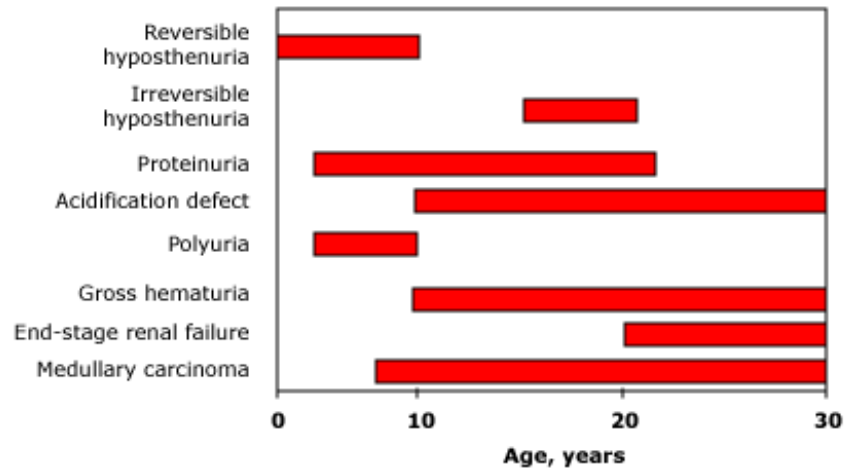
## Age at first stroke and cumulative incidence of stroke in SCD according to the type of SCD



Age at first stroke (ischemic or hemorrhagic) and cumulative incidence of stroke in 2436 patients with sickle cell disease. The graph shows the percentage of individuals without a stroke. These data largely represent patients who did not receive primary prevention. The number of patients of each type is as follows:

- Hb SS – 2346
- Hb S-beta<sup>0</sup> thalassemia – 188
- Hb S-beta<sup>+</sup> thalassemia – 184
- Hb SC disease – 839

## Age of presentation of renal disease in patients with sickle cell disease



Saborio P, Scheinman JI. Sickle cell nephropathy. J Am Soc Nephrol 1999; 10:187



# SCD

## Komplikationer som ökar

- Hjärtsjukdom
- Pulmonell hypertension
- Avaskulär nekros av leder
- Kronisk värk



# SCD

## Komplikationer som ökar

- Avaskulär nekros av leder
- Kronisk värk

# Framtid

- Specialistcentra?
- Genterapi? Nya läkemedel?
- Nyföddhetscreening?
- Transitionsmottagningar