

PANANG-MONITOR ITI ADDA KENKA A SAAN A NAKADEPENDAR ITI PANAGSALIN A THALASSEMIA (NON-TRANSFUSION-DEPENDENT THALASSEMIA, NTDT)

Addaanka man iti alpha- wenna beta-thalassemia, ti panangammo no ania dagiti kasapulan a panageksamen ket makatulong kenka ken iti doktormo iti panaglapped ken panangimaton kadagiti komplikasion. Napateg ti makitinnulong iti grupom iti panangaywan tapno makaaramid iti nairanta a para-personal a plano ti panagmonitor a naibatay iti klase ti adda kenka a thalassemia ken kapadasam iti panagsalin. Babaen ti pannakitinnulong kadakuada, masurotmo ti planom iti panaglabas ti tiempo.

Ipakita ti giya iti baba ti mairekomenda a panageksamen ken ti kasansanna para kadagiti tattao nga agbibagi nga addaan iti saan a nakadependar iti panagsalin nga alpha- wenna beta-thalassemia nga agtawen iti 18 ken nasursurok. Naaramid ti eskediul a naibatay iti impormasion manipud kadagiti pagannurotan ti Thalassemia International Federation (TIF) ken dagiti kangrunaan nga eksperto iti thalassemia. No maminsan laeng iti makatawen nga agpakonsultaka iti hematologist-mo, mabalin a kiddawen ti sabali a miembro ti grupom iti panangaywan ti dadduma kadagitoy a panageksamen.

Mabalinmo nga usaren dagiti kolom ti "Petsa" tapno mawanawanam dagiti panageksamen kenka. Mabalin nga usaren daytoy nga impormasion kadagiti pannakisaritam iti doktormo maipapan iti panagmonitor. Napateg met nga iranudmo no kasano ti panangapektar ti adda kenka a thalassemia iti kalidad ti biagmo.

Dagitoy a Pagannurotan ti Panag-monitor ket insurat ti Steering Committee dagiti kangrunaan nga eksperto iti thalassemia nga inorganisa ti Agios; baybayadan ti Agios dagitoy nga eksperto para iti panawenda.

Saan a medikal a balakad daytoy. Pangngaasim ta agkonsultaka iti doktormo.

DAGITI MAIREKOMENDA A PANAGEKSAMEN KEN PANAGSUKIMAT PARA ITI TUNGGAL PANAGBISITA

Medikal a pakasaritaan, agraman ti kalidad ti biag, a rumbeng a marepaso ken maidilig iti naudi a panagbisita

Pisikal a panageksamen

Dagiti panageksamen iti laboratorio

Kompleto a bilang ti dara* (No madama nga umaw-awatka iti iron chelator a maaw-awagan iti deferiprone (Ferriprox®), rumbeng a maaramid ti panagsukimat iti tunggal 2 a lawas)

Serum ferritin

Ti panagandar ti dalem ken bekkel (No madama nga umaw-awatka iti iron chelation therapy, rumbeng a maaramid daytoy a panageksamen iti kada bulan)

MAIREKOMENDA NGA ISKEDIUL TI PANAG-MONITOR PARA KADAGITI NAKALISTA A KOMPLIKASION

	Baseline	Petsa	Tinawen	Tunggal 2 a tawen	Petsa
Dagiti naaramid a nalabaga a selula ti dara iti ruar ti pata ti tulang (extramedullary hematopoiesis)					
MRI C/T/L* duri nga addaan iti pagidiligan	Nakadependar ti kasansan ti panag-monitor iti kakaro ti panagkurang ti dara ken kadagiti sintoma, kas iti sakit ti bukot wenno akinngato a paset ti tian, pannakarikna iti pannakabsog, ken pannakapukaw wenno panagbaba ti abilidad a makarikna kadagiti bambanag wenno mangikuti kadagiti paset ti bagim				
Kadakkel ti pali (pisikal a panageksamen/ultrasound)					
Nangangato a rukod ti iron (Nalabes nga iron)					
MRI ti dalem para iti konsentrasion ti iron iti dalem [†]	●		● [‡]		
Panag-scan iti puso (cardiac T2* MRI [§])	●				
Panagandar ti puso					
ECHO,* agraman ti TRV*			●		
Panag-holter monitor wenno katupagna	Nakadependar ti kasansan ti panag-monitor iti espesipiko a kasasaad ti salun-atmo				
Nakapuy ken narasi a tulang (osteoporosis*) ken sakit iti tulang					
Kinatibker ti tulang (DEXA scan*)	●			●	
Bitamina D	●		●		
Saan a balanse nga hormone (endocrinopathy*) Mangkolekta ti doktormo iti baseline a panagtingiting ken mangaramid kadagiti panageksamen iti kada tawen no adda ebidensia ti nalabes nga iron [¶]					
Nababa a hormone ti reproduktibo* (hypogonadism)					
FSH,* LH,* testosterone, ken estrogen	●		●		
Nakapsut a panagandar ti thyroid (hypothyroidism)					
Libre a thyroxine (FT4) ken TSH*	●		●		
Nakapsut a panagandar ti parathyroid (hypoparathyroidism)					
PTH,* calcium, phosphate, magnesium	●		●		
Diabetes mellitus					
Panageksamen iti glucose kalpasan ti panagayunar wenno panageksamen iti glucose babaen ti ngiwat	●		●		

*Mabalin nga aramiden ti doktormo ti baseline MRI ti dalem no masansan nga umaw-awatka iti panagsalin wenna serum ferritin ≥ 300 ng/mL.

†Mabalin nga agaramid ti doktormo kadagiti panagtingiting iti kada tawen no madama nga umaw-awatka iti chelation therapy ken tunggal 2 a tawen no saanka nga umaw-awat iti chelation therapy.

‡Mabalin nga aramiden ti doktormo ti MRI ti puso no ti konsentrasion ti iron iti dalem ket ≥ 10 mg/g a dry weight (ti normal a timbangmo nga awan ti sobra a pluido iti bagim).

§Mabalin nga aramiden ti doktormo daytoy a panageksamen iti tunggal 2 a tawen wenna kada tawen no adda maduktalan nga abnormalidad.

||Mabalin a maiturong dagiti panageksamen iti endocrinologist wenna indipendiente a maaramid.

*Dagiti Kangrunaan a Termino ken Abbreviation

Chelation therapy: Agas a manglitipon iti iron iti pagayusan ti daram tapno maikkat dayta babaen iti bagis wenna pagayusan ti isbo. **Naan-anay a bilang ti dara:** Tingtingenna ti adu nga elemento tapno makagun-od iti mas kompleto a ladawan ti salun-at ti daram ken gagangay nga iramanna, malaksid iti dadduma pay a proseso, ti kaadu ti hemoglobin, hematocrit, ken puraw a selula ti dara. **Endocrinopathy:** Kasasaad a dagiti glandula wenna organom ket saan a makapataud iti umiso a kaadu ti hormone. **Extramedullary hematopoiesis:** Mapasamak no mangrugin nga agaramid ti bagim kadagiti nalabaga a selula ti dara kadagiti lugar iti ruar ti pata ti tulang, kas iti dadduma nga organo wenna iti duri. Mapasamak daytoy gapu ta pabassiten ti thalassemia ti bilang dagiti nalabaga a selula ti dara iti bagim, isu a padasenna nga aramiden dagitoy iti dadduma a lugar tapno masupusapan ti kinakurang. **Dagiti hormone:** Dagiti kemikal nga agbiahe iti intero a bagim babaen iti pagayusan ti dara. Tumulongda a mangkontrol iti panagdakkel ken pangrang-ay, metabolismo (panagaramid iti taraan nga enerhia), rikna, seksual a panagandar, ken reproduksion. Dagiti hormone ket paset ti endocrine system. **Osteoporosis:** Maysa a kasasaad a kumapuy ken narasi dagiti tulangmo, a makagapu a nalakiakada a matukkol.

C/T/L=cervical/thoracic/lumbar; DEXA=dual-energy X-ray absorptiometry; ECHO=echocardiogram; FSH=follicle-stimulating hormone; LH=luteinizing hormone; MRI=magnetic resonance imaging; PTH=parathyroid hormone; TRV=tricuspid regurgitant jet velocity; TSH=thyroid-stimulating hormone.

MABALIN A MAINAYON DAGITI DADDUMA A DOKTOR ITI GRUPOM ITI PANANGAYWAN

Mangala iti referral tapno makaapanka iti cardiologist	Mangala iti referral tapno makaapanka iti endocrinologist	Mangala iti referral tapno makaapanka iti endocrinologist ti reproduksion
No ipakita ti ECHO* nga addaan kadagiti TRV* wenno MRI* scan dagiti posible a parikut iti pusom wenno nangato a presion ti dara iti baram (maaw-awagan pay kas altapresion ti pagangsan). No ipakita ti panangmonitor iti puso dagiti saan a regular a panagpitik ti puso wenno dadduma pay a parikut iti elektrikal a sistema ti pusom.	No ipasimudaag dagiti resulta ti panageksamen iti dara ti: - Nababa a kaadu ti hormone iti reproduktibo, thyroid, wenno parathyroid, wenno diabetes - Dagiti abnormal a resulta iti DEXA scan* Mabalinmo met ti mangala iti referral tapno agpakonsulta iti espesialista iti salun-at ti tulang no abnormal dagiti resulta ti DEXA scan.	No pampangunotem ti maaddaan kadagiti annak, mabalin a kayatmo nga ammuen ti ad-adu pay maipapan iti pertilidadmo ken sukimatem dagiti posible a pagpilian iti suporta.

DAGITI DADDUMA PAY A KOMPLIKASYON A BANTAYAN

Komplikasyon ken/wenno kondision	Dagiti detalye
Krisis iti hemolysis Kellaat ken masansan a nakaro a panagkurang ti dara wenno nakaro nga anenia a mapasamak no saan a makapataud ti bagi iti umdas a nalabaga a selula ti dara a mangsukat kadagidlay madaddadael.	No addaanka iti alpha-thalassemia ken makapadaska iti impeksion nga addaan iti gurigor, mabalin a saritaen ti doktormo ti peggad ti medikal nga emerhensia, a maaw-awagan kas krisis iti hemolysis wenno hemolytic crisis. Ibagam iti doktormo no makapadpadaska kadagiti pagilasinan ken sintoma a pannakabannog, panagduyaw ti kudil, wenno nalidem ti kolorna nga isbo.
Sakbay ken kalpasan ti splenectomy Ti splenectomy ket maysa a proseso ti operasion a mangikkat iti pali.	Makaalaka kadagiti bakuna sakbay ken/wenno kalpasan ti splenectomy. Kasaritam ti doktormo no ania dagiti bakuna a maitutop unay kenka maibatay kadagiti rekomendasyon ti CDC*. Kalpasan ti splenectomy, napateg a makisaritaka iti doktormo maipapan iti peggad dagiti impeksion ken no ania ti aramidem no adda medikal nga emerhensia. Mabalin a nangato ti bilang dagiti platelet dagiti tattao a naikkat ti palina, nga agtungpal kadagiti panagbalay ti dara.
Trombosis ken dagiti paspasamak iti vascular Pannakabukel dagiti panagbaba iti uneg dagiti pagayusan ti daram, a mabalin a mangsinga wenno manglapped iti panagayus ti dara.	Kasaritam ti doktormo no makariknaka kadagiti pagilasinan ken sintoma ti: - DVT*: panagebbal, ut-ot, pudot, kinasensitibo no sagiden, wenno panaglabbaga ti saka - PE*: marigatan nga aganges, panagsakit ti barukong, ken panaguyek
Fibrosis ti dalem, cirrhosis, ken HCC* Ti napaut a pannakadadael ti dalem ket mabalin a pakaigapuan ti mapasubli (fibrosis) wenno permanente (cirrhosis) a tisyu ti piglat. Ti HCC ket maysa a klase ti kanser ti dalem a mabalin a tumaud manipud iti cirrhosis.	No agsagsagabaka iti napaut, nakaro a panagsobra ti iron wenno hepatitis, makisaritaka iti doktormo maipapan iti panangrukod iti baseline AFP* ken panangaramid kadagiti panagala iti imahe a panag-scan (kas iti ultrasound ken FibroScan*).
Dagiti bato iti apro Maporma kadagiti tubo ti apro gapu iti panagkurang ti dara ken pannakadadael dagiti nalabaga a selula ti dara (hemolysis). Naiduma daytoy manipud iti kasasaad nga adu unay ti kolesterol iti bagi.	Kasaritam ti doktormo no makariknaka kadagiti pagilasinan ken sintoma ti: Ut-ot iti makinngato a kannawan a sikigan wenno tengnga ti tian, panagdul-ok, panagsarua, ken kumarkaro a panagduyaw ti kudil ken mata. Mabalin a maipaayanka kadagiti panageksamen iti dara tapno matingiting ti dalemno ken makaala iti ladawan babaen kadagiti panag-scan.
HCV, HBV, ken HIV* Nupay nababa unay ti tsansa, mabalin nga agwaras ti HCV, HBV, ken HIV babaen iti panagsalin ti dara. Dadaelan ti HCV ken HBV ti dalem, idinto a pakapuyen ti HIV ti sistema ti imunidad.	No nasalinanka iti dara iti napalabas a 12 a bulan, makisaritaka iti doktormo maipapan iti pananggun-od iti panageksamen iti antibody ken/wenno antigen tapno matingiting ti daram para iti HCV, HBV, ken HIV. No positibo dagiti resulta ti panageksamen, kiddawem iti doktormo ti panangaramid iti PCR* a panageksamen tapno makumpirma dagiti resulta.
Dagiti ulser iti saka Dagiti silulukat a gaddil wenno sugat iti akinbaba a paset ti saka a saan a nasayaat ti panagimbagna.	Kasaritam ti doktormo no makariknaka kadagiti pagilasinan ken sintoma ti: Ut-ot wenno saan a kinakomportable, panagebbal, ken panaglabbaga ti naapektaran a saka. Ipaeksamenmo iti doktormo dagiti ulser iti saka iti tunggal panagbisita.

IRANUDMO TI EPEKTO TI THALASSEMIA ITI GRUPOM ITI PANANGAYWAN

Iti tunggal panagbisita, siguraduem a kasaritam ti grupom iti panangaywan maipapan iti riknam, nangnangruna no makapasasarka iti aniaman a panagbaliw kadagiti sintomasmo, abilidad a mangileppas kadagiti inalaw nga aktibidad, ken salun-at ti panunotmo.



Kinasayaat ti pisikal a bagi

Pannakarikna iti pannakapaksuy ken/wenno pannakabannog
Pannakarikna nga agkakapsut wenno nabannog unay
Kinakurang ti enerhia



Kinasayaat ti panangkuti

Abilidad nga agtrabaho
Abilidad a mangaramid kadagiti gagangay nga aktibidad
Abilidad a mangandur iti panagehersisio (kas pagarigan, panaguli iti agdan)



Kinasayaat ti emosion

Nakaro a kinaliday
Panagdanag ken/wenno stress

*Dagiti Kangrunaan a Termino ken Abbreviation

ECHO: Ti echocardiogram, wenno "echo", ket maysa a panag-scan a maus-usar tapno makita ti estruktura ti puso. **DEXA:** Ti X-ray a panag-scan iti kinatibker ti tulang iti partikular a paset ti bagim. **FibroScan:** Maysa nga espesial a teknolohia ti ultrasound a mangrukod iti kinasikkil (kinatangken) ti dalem ken dagiti panagbaliw ti taba iti dalemno.

AFP: alpha-fetoprotein; **CDC:** Centers for Disease Control and Prevention; **DVT:** deep vein thrombosis; **HBV:** hepatitis B; **HCC:** hepatocellular carcinoma; **HCV:** hepatitis C; **HIV:** human immunodeficiency virus; **MRI:** magnetic resonance imaging; **PCR:** polymerase chain reaction; **PE:** pulmonary embolism; **TRV:** tricuspid regurgitant jet velocity.



Makikomunikar iti Agisursuro a Klinikal a Nars (Clinical Nurse Educator, CNE) ti myAgios®, a makaisuro kenka iti daytoy a giya ti panag-monitor ken tumulong kenka nga agsagana para iti panagbisitam iti doktormo. Nasinged a makitintinnulong ti CNE kadagiti pasiente, pamilia, ken grupo iti panangaywan tapno makaidiayada kenka iti nairanta a para iti individual a suporta,[†] kadagiti pammataudan iti pannakaarmo, ken koneksion iti komunidad. Tawagan ti 1-877-77-AGIOS (1-877-772-4467) wenno bisitain ti [RethinkThalassemia.com](https://www.rethinkthalassemia.com) tapno makapagrugika.

[†]Dagiti CNE ket empleado ti Agios Pharmaceuticals ken saanda a mangipapaay iti medikal a balakad. Para iti medikal a balakad wenno kadagiti saludsod a mainaig iti panagagas, pangngaasim ta makisaritaka iti grupom iti panangaywan iti salun-at.