proLékaře.cz | 10.11.2026

23. Inagaki J, Nagatoshi Y, Kawano Y, et al. Bone marrow transplantation in children with severe aplastic anemia using a conditioning regiment containing 3 Gy of total body irradiation, cyclophosphamide with or without antithymocyte globulin. Pediatr Transplant 2007; 11: 180-186.
24. Bacigalupo A, Locatelli F, Lanino E, et al. Fludarabine, cyclophosphamide and anti-thymocyte globulin for alternative donor transplants in acquired severe aplastic anemia: a report from EBMT-SAA Working party. Bone Marrow Transplant 2005; 36: 947-950.
25. Gupta V, Ball SE, Sage D, et al. Marrow tranplantants from matched unrelated donors for aplastic anaemia using alemtuzab, fludarabine and cyclophosphamide based conditioning. Bone Marrow Transplant 2005; 35: 467-471.
26. Kang HJ, Shin HY, Choi HS, et al. Fludarabine, cyclophosphamide plus thymoglobulin conditioning regiment for unrelated bone marrow transplantation in severe aplastic anaemia. Bone Marrow Transplant 2004; 34: 939-943.
27. Maury S, Balere-Appert ML, Chir Z, et al. Unrelated stem cell transplantation for severe acquired aplastic anemia: improved outcome in the era of high resolution HLA matching between donor and recipient. Haematologica 2007; 92: 589-596.
28. Siegal D, Xu W, Sutherland R, et al. Graft-versus-host disease following marrow transplantation for aplastic anaemia: different impact of two GVHD prevention strategies. Bone Marrow Transplant 2008; 42: 51-56.

autorka
MUDr. Ester Pindurová
Klinika dětské hematologie a onkologie
2. LF UK a FN v Motole
V Úvalu 84, 150 06, Praha

Korespondence
Prof. MUDr. Petr Sedláček, CSc.
Klinika dětské hematologie a onkologie
2. LF UK a FN v Motole
V Úvalu 84, 150 06, Praha
petr.sedlacek@lfmotol.cuni.cz

Doručeno do redakce: 2. 6. 2011
Přijato po recenzi: 8. 6. 2011

Výběr z tisku a zpráv o knihách

A randomized controlled study in patients with newly diagnosed severe aplastic anemia receiving antithymocyte globulin (ATG), cyclosporine, with or without G-CSF: a study of the SAA Working Party of the European Group for Blood and Marrow Transplantation

André Tichelli, Hubert Schrezenmeier, Gérard Socié, et al.
Hematology, University Hospital, Basel, Switzerland; Institute for Clinical Transfusion Medicine and Immunogenetics, University Hospital Ulm, Ulm, Germany; Hospital Saint Louis, Hematology-Transplantation and University Paris VII, Paris, France; et al.

Blood, 28 April 2011, Vol. 117, No. 17, pp. 4434-4441

Tato práce představuje největší otevřenou multicentrickou randomizovanou studii, kterou provedla Pracovní skupina pro těžkou aplastickou anémii při EBMT u pacientů s nově diagnostikovanou získanou těžkou aplastickou anémií (SAA) nebo velmi těžkou SAA (VSAA).

Cílem studie bylo srovnat na velkém souboru pacientů výsledky léčby při standardní imunosupresivní léčbě antithymocytovým globulinem (ATG) a cyclosporinem (CSA) ve skupině s přidaným kolonie granulocytů stimulujícím faktorem (G-CSF) a skupině pacientů bez G-CSF. Statistická analýza měla zjistit, zda přidaný G-CSF má signifikantní efekt v definovaném souboru pacientů.

Metody, soubor a výsledky. Kritéria pro diagnózu SAA: buněčnost kostní dřeně < 30 % a ≥ 2 ze 3 kritérií v periferní krvi: počet destiček ≤ 20 x 10^9/l, počet neutrofilů ≤ 0,5 x 10^9/l a počet retikulocytů ≤ 20 x 10^9/l. Pacienti s počtem neutrofilů < 0,2 x 10^9/l byli klasifikováni jako VSAA. Zahrnuti byli pacienti s SAA nebo VSAA s trváním choroby pod 6 měs, kteří nedostali před tím ATG v žádné době, CSA během 4 týdnů, jiné růstové faktory během 4 týdnů nebo G-CSF během 2 týdnů před zařazením. Do studie byli zařazeni pacienti jakéhokoliv věku, mimo Německo a UK, kde etické komise nepřijaly zařazení dětí pod 18 roků. Medián věku všech pacientů při zařazení (192) byl 46 roků (rozmezí 2-81), pod 20 roků bylo 31 pacientů (16 %). SAA mělo 122 (64 %), VSAA 70 pacientů (36%). PNH klon při diagnóze byl přítomen u 23 pacientů, nepřítomen u 116 pacientů a neproveden u 53 pacientů. Randomizace pacientů proběhla v době od ledna 2002 do července 2008. Pacienti pocházeli z 54 evropských center z 8 zemí, které se podílely na této studii (36 z těchto mělo jen jednoho nebo dva pacienty). Léčebný protokol: koňský ATG (lymphoglobuline, Genzyme), CSA a G-CSF byly podávány podle popsaného schématu a podrobeny podrobnému statistickému vyhodnocení. Kompletní remise byla definována jako průběh nezávislý na transfuzích při hemoglobinu ≥ 110 g/l, počtu neutrofilů ≥1,5 x 10^9/l a počet destiček ≥150 x 10^9/l. Obecné výsledky studie: Při mediánu sledování 41 měsíců (rozmezí 1-96 měs.) u přežívajících žilo 148 pacientů (77 %). Celkové přežití OS a šestileté přežití bez příhody EFS všech pacientů bylo 76 % ± 4 % a 42 % ± 4 %. Celkový podíl odpovědí byl 70% (134 ze 192 pacientů). Kompletní remise byla zaznamenána u 21 pacientů (11 %), parciální remise u 113 pacientů (59 %). U 54 nemocných nedošlo k odpovědi a u 19 pacientů (10 %), kteří neměli odpověď, byla následně provedena HSCT.

Závěr. Studie ukázala, že přidání G-CSF ke standardní imunosupresivní terapii ATG/CSA nemělo signifikantní efekt na OS a EFS nebo na remisi, podíl mortality a relapsy. Výsledky mohly pouze prokázat, že u pacientů s G-CSF bylo méně časných infekčních epizod a byl menší počet dnů hospitalizace u pacientům s VSAA, což má klinický význam zvláště u pacientů s vysokým rizikem. Positivní dopad i limitace studie jsou podrobeny hlubší diskusi autorů.

Prof. MUDr. Otto Hrodek, DrSc.