proLékaře.cz | 10.11.2026



# Safety and efficacy of eltrombopag for treatment of chronic immune thrombocytopenia: results of the long-term, open-label EXTEND study

**Mansoor N. Saleh, James B. Bussel, Gregory Cheng, et al.**
Georgia Cancer Specialists, Marietta, GA; Weill Medical College of Cornell University, New York, NY; The Chinese University of Hong Kong, Shatin, Hong Kong; et al.

*Blood 17 January 2013, Vol. 121, No. 3, pp. 537-545*

Práce předkládá výsledky dlouhodobého podávání látky **eltrombopag** při léčbě chronické imunitní trombocytopenie (ITP) trvající víc než 6 měsíců. Jde o předběžnou analýzu v rámci dlouhodobé studie EXTEND tj. běžící globální multicentrické otevřené studie. Je zaměřena na bezpečnost a účinnost eltrombopagu, prvního perorálního nepeptidového agonistu trombopoetinového receptoru (TPO-R), podávaného u 299 pacientů s chronickou ITP až 3 roky. Podmínky pro zařazení do studie, předchozí léčba, trvání léčby eltrombopagem, metody klinického a laboratorního sledování v průběhu léčby, kumulativní a průběžné hodnoty i rizika vedlejších nežádoucích projevů jsou v práci podrobně rozvedeny. Studie EXTEND byla zahájena v červnu r. 2006 a běží v zemích, kde eltrombopag není zatím komerčně dostupný. V práci uvedená data byla získána na 299 pacientech až do února 2010. Medián trvání léčby eltrombopagem byl 100 týdnů (698,5 dní; rozmezí 2–1267). V závěru předběžné analýzy u 299 pacientů považují autoři eltrombopag jako účinný, bezpečný a dobře tolerovaný při dlouhodobém podávání až do 3 roků u pacientů s dříve neúspěšně léčenou chronickou ITP. Data z této analýzy a budoucí data ze 2 dalších studií u pediatrické ITP pomohou lékařům při rozhodování, u kterých pacientů a kdy v průběhu nemoci by bylo vhodné zavést léčbu agonisty TPO-R do léčby v zájmu maximálního klinického benefitu a minimalizace rizik.

**Prof. MUDr. Otto Hrodek, DrSc.**

# Extramedullary relapse of acute myeloid leukemia following allogeneic hematopoietic stem cell transplantation: incidence, risk factors and outcomes

**Andrew C. Harris, Carrie L. Kitko, Daniel R. Couriel, et al.**
Blood and Marrow Transplant Program, University of Michigan, Ann Arbor, MI ; Department of Biostatistics, University of Michigan, Ann Arbor, MI, USA

*Haematologica 1 February 2013, Vol. 98, No. 2, pp. 179-184*

Extramedulární relaps po alogenní transplantaci hematopoetických kmenových buněk (HSCT) pro akutní myeloidní leukemii přispívá k potransplantační mortalitě. Rizikové faktory pro vznik a výsledky léčby nejsou dosud dobře charakterizovány. Proto provedli autoři podrobnou retrospektivní analýzu pacientů, kteří se podrobili HSCT pro AML v uvedeném transplantačním centru University v Michiganu v době od ledna 2001 do května 2008. Cílem bylo identifikovat predisponující faktory pro extramedulární relaps a analyzovat celkové postrelapsové výsledky léčby. Do analýzy byla zahrnuta data 257 pacientů, u nichž byla podrobně vyhodnocena incidence a charakteristika extramedulárního relapsu před HSCT a extramedulární relapsy po HSCT. Pětiletá kumulativní incidence izolovaného extramedulárního relapsu byla 9 %, zatímco izolovaný relaps v kostní dřeni byl ve 29 %. Podrobně rozebrány relapsy post HSCT, jejich incidence, lokalizace, léčba a celkové léčebné výsledky. Klíčovým nálezem této studie je zlepšené pochopení zřetelně odlišné charakteristiky relapsů v extramedulárních místech ve srovnání v kostní dřeni. Extramedulární leukemie se sama manifestuje mno-



057_TH_0213.indd 119 7/29/13 9:37:02 AM

proLékaře.cz | 10.11.2026



hem později po HSCT, než je tomu u relapsů v kostní dřeni. Práce definuje rizikové faktory pro vznik extramedulárních relapsů po HSCT. Akutní GVHD neměla protektivní vztah proti dřeňovému relapsu nebo relapsu v extramedulární lokalizaci. Podíl celkového přežití po extramedulárním relapsu byl 30 % v jednom roce a 12 % ve 2 letech. Práci ukončuje pohled na léčebnou strategii a budoucí efektivní strategie.

**Prof. MUDr. Otto Hrodek, DrSc.**

## Characteristics and outcome of early-onset, severe forms of Wiskott-Aldrich syndrome

**Nizar Mahlaoui, Isabelle Pellier, Cécile Mignot, et al.**

Unité d'Immunologie et d'Hématologie Pédiatrique, Hôpital Universitaire Necker-Enfants Malades, Assistance Publique des Hôpitaux de Paris (AP-HP), Paris, France; Centre de Référence Déficits Immunitaires Héréditaires (CEREDIH), Hôpital Universitaire Necker-Enfants Malades, AP-HP, Paris, France; Unité d'Onco-hémato-immunologie Pédiatrique, Centre Hospitalier Universitaire Angers, France; et al.

*Blood 28 February 2013, Vol. 121, No. 9, pp. 1510-1516*

Tato retrospektivní studie vychází z celonárodní francouzské databáze 160 pacientů s Wiskottovým-Aldrichovým syndromen (WAS), zahrnuých ve Francouzském národním centru pro primární imunodeficience (CEREDIH). Tato národní síť 58 léčebných zařízení shromažďuje zkušenosti s péčí pediatrických a dospělých pacientů s primární imunodeficiencí (PID). **Mutace WAS genu** vedou k širokému spektru choroby od lehké formy (XLT, vrozená trombocytopenie vázaná na X chromozom) až po těžkou formu (angl. v práci: „archetypal phenotype"). Klinická závažnost WAS je vyjádřena stupněm dle Ochsovy škály: 1–3 pro XLT (pacienti s lehkou formou) a 4–5 (pacienti se závažnou formou). Těžká, život ohrožující manifestace u malých dětí je zvláště náročný léčebný problém. Autoři provedli podrobnou analýzu celonárodního souboru pacienů s cílem lépe identifikovat poskupinu malých dětí se signifikantně přesnějším zařazením do těžkého fenotypu WAS (Ochsovo skóre 5). Revidovali klinická, imunologická a genetická data, včetně sekvenové analýzy WAS genu. Stanovili kumulativní pravděpodobnost zařazení do Ochsova skóre 5. Výsledkem studie je identifikace odlišné podskupiny malých dětí s časným začátkem (ve věku pod 2 roky) a těžkými život ohrožujícími projevy (často těžkou refrakterní trombocytopenií, autoimunitní hemolytickou anémii a vaskulitidou). Kurativní strategií u těchto pacientů je transplantace hematopoetických kmenových buněk (HSCT), provedená časně v životě, i když chybí plně shodný dárce. Komentář k práci: Luigi D. Notarangelo: In WAS syndrome, platelet count matters. Blood 28 February, Vol. 121, No. 9, pp. 1484-1485.

**Prof. MUDr. Otto Hrodek, DrSc.**

Inzerce A1310083228 ▶ Inzerce A1310083234 ▶▶



057_TH_0213.indd 120 7/29/13 9:37:02 AM