

## Development and validation of a prognostic scoring system for patients with chronic myelomonocytic leukemia

Esperanza Such, Ulrich Germing, Luca Malcovati, et al.

The Spanish MDS cooperative group; Department of Hematology, Hospital Universitario La Fe, Valencia, Spain; Department of Hematology, Oncology and Clinical Immunology, Heinrich-Heine-University, Düsseldorf, Germany; et al.

*Blood 11 April 2013, Vol. 121, No. 15, pp. 3005–3015*

Chronická myelomonocytová leukemie (CMML) je klonální hematologické onemocnění, které má některé rysy myelodysplastických syndromů (MDS) a chronických myeloproliferativních onemocnění. Má velmi variabilní klinický průběh s výraznými rozdíly v celkovém přežití (OS) a rizikem transformace do akutní myeloblastické leukemie (AML). Různé studie identifikovaly důležité prognostické faktory a některé vytvořily prognostické systémy. Žádný z nich však nebyl široce přijat. Cílem studie uvedených autorů bylo vyvinout **nový pro CMML specifický prognostický systém (CPSS)**, který by identifikoval nezávislé prognostické faktory pro OS a vývoj do AML na velkém souboru pacientů s CMML. Dalším cílem bylo určit prediktivní kapacitu tohoto CPSS a porovnat ji s jinými prognostickými systémy pro CMML. Retrospektivní studie analyzovala data až dosud největšího počtu 558 pacientů v první

zaváděcí fázi u pacientů s CMML („trainig cohort“). Nezávislý ověřovací soubor tvořilo 274 pacientů („validation cohort“). Práce podrobně popisuje charakteristiku a výsledky získané univariantní a multivariantní analýzou obou souborů. Potvrzuje dříve známý prognostický dopad podtypů podle WHO a FAB klasifikace a specifických chromozomálních abnormalit. Poprvé zjišťuje relevanci závislosti na transfuze erytrocytů při diagnóze CMML. Výsledkem celé studie je definice 4 rizikových skupin pacientů pro celkové přežití a vývoj do AML. Zatím nový specifický prognostický systém CPSS představuje snadno proveditelný a užitečný způsob pro určení prognózy, plánování terapie a vhodnost pro budoucí klinické studie u pacientů s CMML.

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

## Outcomes of transplantation using various hematopoietic cell sources in children with Hurler syndrome after myeloablative conditioning

Jaap Jan Boelens, Mieke Aldenhoven, Duncan Purtill, et al.

University Medical Center Utrecht, Pediatric Blood and Marrow Transplantation Program, Utrecht, The Netherlands; Eurocord/Hôpital Saint Louis, Department of Hematology/BMT, Paris, France; Program in Blood and Marrow Transplantation, University of Minnesota, Minneapolis, MN; et al.

*Blood 9 May 2013, Vol. 121, No. 19, pp. 3981–3987*

Syndrom Hurlerové (HS) je nejtěžší fenotyp ve spektru mukopolysacharidózy typu I (MPS I), typu lyzozomální stárádavy choroby. Neléčený HS syndrom vede k progresivnímu a konečnému fatálnímu multisystémovému zhoršení, včetně psychomotorické retardace, těžkých kostních deformit a život ohrožujících kardiálních a plicních komplikací. Transplantace hematopoe-

tických kmenových buněk (HSCT), zavedená u těžkého typu HS I v roce 1980, se stala celosvětově nejčastější transplantovanou chorobou v rámci vrozených poruch metabolismu. Samotná léčba pomocí náhrady deficitního enzymu (alfa-L-iduronidázy) neochrání centrální nervový systém u těžké formy HS před deteriorací. Přes velké úspěchy transplantačního přístupu zůstává

## VÝBĚR Z TISKU A ZPRÁVY O KNIHÁCH

řada otázek spojených s indikací, nejvýhodnějším dárcovským zdrojem, transplantační charakteristikou a souvisejícími celkovými výsledky, komplikacemi a selháním. Autoři proto provedli kooperativní retrospektivní analýzu výsledků a rizikových faktorů po HSCT u pacientů s HS, léčených v mnohočetných centrech na světě podle hlášení v evropském a mezinárodním centru pro transplantace kostní dřeně (EBMT, CIBMTR). Podrobně referují o výsledcích analýzy u 258 dětí s HS po myeloablativním přípravném režimu z let 1995–2007. Medián věku při transplantaci byl 16,7 měsíců a medián doby sledování 57 měsíců. Potvrdili, že časné provedení HCT s nejlépe HLA shodným dárcem dávají nejlepší

předpoklad pro pětileté celkové přežití a přežití bez selhání. HCT s dobře shodnou nepřibuzenskou jednotkou pupečnickové krve je zvláště atraktivní, protože je rychle dosažitelná. Autoři podrobují diskusi některé otázky pro další studie, včetně přípravného režimu, chimérismu, sledování posttransplantačních hladin enzymu a profylaxe GVHD. K práci se vztahuje velmi zasvěcený komentář: **Better BMT for Hurler syndrome – on the level?** Michael A. Pulsipher, University of Utah School of Medicine, ve stejném čísle časopisu *Blood*, pp. 3785–3787.

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

## Rituximab and dexamethasone vs dexamethasone monotherapy in newly diagnosed patients with primary immune thrombocytopenia

Sif Gudbrandsdottir, Henrik Sverre Birgens, Henrik Frederiksen, et al.

Department of Hematology, Copenhagen University Hospital Roskilde, Roskilde, Denmark; Department of Infectious Diseases and Rheumatology, Institute for Inflammation Research, Copenhagen University Hospital Rigshospitalet, Copenhagen, Denmark; Department of Hematology, Copenhagen University Hospital Herlev, Herlev, Denmark

*Blood* 14 March 2013. Vol. 121. No. 11, pp. 1976–1981

Autoři předkládají první výsledky zatím největšího souboru dospělých pacientů s nově diagnostikovanou primární imunitní trombocytopenií (ITP), kteří byli od začátku léčby randomizováni do dvou srovnatelných podskupin:

- s léčbou dexametazonem samotným (DXM),
- s léčbou kombinací dexametazon plus rituximab. (RTX+DXM).

Jedná se o otevřenou studii fáze 3 na celkovém počtu 133 pacientů z 9 hematologických oddělení v Dánsku od roku 2006 do roku 2011. Soubor je uzavřen a finální zpráva o výsledcích dlouhodobého sledování se očekává v r. 2015. Podmínky pro zařazení do studie, léčebná schémata v obou podskupinách, způsoby sledování a vyhodnocení rozdílů ve výsledcích jsou podrobně popsány. Primárním konečným cílem byla trvající parciální nebo kompletní odpověď po 6 měsících trvajícím sledování. Sekundární konečné cíle zahrnovaly dobu

do relapsu, dobu do záchranné léčby a počet splenektomií. Medián doby sledování byl 922 dní. Primární konečný cíl byl dosažen u 58 % pacientů v podskupině RTX+DXM proti 37 % pacientů v podskupině DXM. Doba do relapsu byla delší a též delší byla doba do záchranné léčby u podskupiny s RTX+DXM. Velmi důležitou částí je odstavec zachycující vedlejší nežádoucí účinky. Byla zjištěna zvýšená incidence vedlejších nežádoucích účinků v podskupině RTX+DXM. Všechny nežádoucí vedlejší účinky byly již dříve popsány u souboru informací k RTX a k DXM. Pozornost zasluhuje sledování hladin sérových Ig. Souborně uzavírá studie, že RTX+DXM dává lepší výsledky než monoterapie DXM. Autoři navrhuji, aby RTX byl brán v úvahu časně v léčebné fázi nově diagnostikované ITP, včetně před splenektomií.

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

Inzerce A131014487 ▼

Inzerce A131013166 ▼