proLékaře.cz | 9.11.2026

10 CÍLE LÉČBY A LÉČEBNÉ STRATEGIE U AL AMYLOIDÓZY

Cíle léčby AL amyloidózy jsou následující:

a) **rychlá eliminace tvorby amyloidogenních lehkých řetězců**, což je podmínkou, aby došlo k zastavení dalšího poškozování orgánů a následně i ke zlepšení funkce amyloidem poškozených orgánů *(Merlini, 2006; Merlini, 2008)*;

b) **úplná eliminace patologického buněčného klonu produkujícího lehké řetězce**.

Při opakovaném vyšetřování podkožního tuku na přítomnost AL amyloidu v oblasti břišní stěny u pacientů po dokončení léčby bylo zjištěno, že depozita amyloidu vymizela u 80 % pacientů, kteří po 3,2 letech setrvávali nadále v kompletní remisi, zatímco u pacientů v parciální remisi došlo k vymizení amyloidových depozit jen u malé části nemocných *(Van Gameren, 2009)*. Tato práce tak dokazuje, že cílem léčby u AL amyloidózy by tedy mělo být dosažení kompletní hematologické remise.

I zkušení hematologové přistupují k léčbě tohoto raritního onemocnění často podobně jako k léčbě zdánlivě podobného mnohočetnému myelomu. Patogeneze obou onemocnění je však rozdílná. U amyloidózy i malý klon plazmocytů s minimální produkcí lehkých řetězců často zapříčiní závažná poškození orgánů. U asymptomatického myelomu často s léčbou čekáme, u AL amyloidózy si to nemůžeme dovolit.

Léčebná strategie korespondující s výše uvedenými cíli by tedy měla znamenat výběr nejúčinnější dostupné léčby u individuálního nemocného zohledňující věk, celkový stav nemocného, závažnost poškození orgánů a další faktory jako přidružená závažná onemocnění. Při takovémto individuálním přístupu je dnes jen asi jedna třetina nemocných indikována k provedení autologní transplantace, řada z nich ji bezpečně může dostat jen v redukované formě (100 mg/m^2 melfalanu místo obvyklých 200 mg/m^2).

Dosažení maximální léčebné odpovědi u AL amyloidózy je klíčový prognostický faktor *(Wechalekar, 2013)* a má význam i u nemocných se značným kardiálním postižením. Dnešní léčebná strategie by tedy měla využít všech dostupných léčebných metod k dosažení maximální léčebné odpovědi. Je-li maximální léčebnou odpovědí na první léčebnou linii parciální remise, je správným postupem neprodleně léčbu změnit za jinou kombinaci. Léčba by se neměla zastavit, ale musí se v ní pokračovat vždy, když je to možné a smysluplné. Jinak dochází k dalšímu poškozování orgánů.

Léčebná strategie by měla zahrnovat včasné zahájení léčby při nově zjištěné AL amyloidóze i u nemocných s minimálním poškozením orgánů. Metoda „watch & wait“ se u nově diagnostikované AL amyloidózy neaplikuje (kromě nejasných případů), neboť i minimální produkce lehkých řetězců může způsobit velmi rychle závažné poškození. Totéž platí i pro zahájení léčby relapsu AL amyloidózy.

V roce 2013 nebyl stále nalezen konsenzus stran optimální léčby pro nově diagnostikované pacienty s AL amyloidózou *(Gatt, 2013)*. Existuje jen málo randomizovaných studií srovnávajících různé léčebné přístupy a žádná z nich nezahrnuje léčbu novými léky ani rizikovou stratifikaci založenou na biomarkerech kardiálního postižení. První randomizovaná studie s novým lékem (konkrétně srovnání léčby kombinací bortezomib+melfalan+dexametazon versus melfalan+dexametazon) v roce 2013 stále ještě probíhá.

V léčbě AL amyloidózy se v současné době (v roce 2013) jeví u vhodných pacientů s nízkým rizikem kardiálního postižení a bez přítomnosti dalších závažných komorbidit jako nejperspektivnější provedení autologních transplantace krvetvorných buněk, u ostatních pak kombinovaná léčba s bortezomibem či alkylační látkou, podrobnosti jsou uvedeny dále.

003_THSUPPL_1213.indd 35 12/12/13 2:05:17 PM