proLékaře.cz | 6.9.2025

tor VIII and IX pharmacokinetics in prophylactic treatment of haemophilia. Heamophilia 2011; 17(1): 2-10.
6. Den Uijl IE, Mauser Bunschoten EP, Roosendaal G, et al. Clinical severity of haemophilia A: does the classification of the 1950s still stand? Haemophilia 2011; 17(6): 849-853.
7. Bjorkmann S. Pharmacokinetics of plasma-derived and recombinant factor IX – implications for prophylaxis and on-demand therapy. Haemophilia 2013; 19(6): 808-813.

Doručeno do redakce: 27. 8. 2014
Přijato po recenzi: 30. 9. 2014

MUDr. Jan Blatný, Ph.D.
Oddělení dětské hematologie
Fakultní nemocnice Brno
jblatny@fnbrno.cz

VÝBĚR Z TISKU A ZPRÁVY O KNIHÁCH

Phase IV open-label study of the efficacy and safety of deferasirox after allogeneic stem cell transplantation

Carlos Vallejo, Montserrat Batlle, Lourdes Vázquez, et al. on behalf of the Subcommittee of Non-Infectious Complications of the Grupo Español de Trasplante Hematopoyético (GETH)
Hospital Universitario Central de Asturias, Oviedo, Spain; Hospital Universitari Germans Trias i Pujol, Badalona, Spain; Hospital Universitario de Salamanca, Salamanca, Spain; et al.

Haematologica October 2014 99:1632-1637; doi: 10.3324/haematol.2014.105908

Tato práce předkládá výsledky první prospektivní studie deferasiroxu u příjemců alogenních transplantací hematopoetických kmenových buněk (allo-HSCT) s přetížením železem u hematologických malignit. Četné prospektivní studie vyšetřovaly dopad zvýšené koncentrace železa v játrech (LIC) zobrazené magnetickou rezonancí (MRI) na celkový výsledek HSCT. Není však stále shoda v pohledu na závažnost LIC u HSCT. Je to způsobeno hlavně užíváním různých prahových hodnot LIC. Primárním cílem této studie bylo vyhodnotit medián změny sérového feritinu po 52 týdnech léčby deferasiroxem u pacientů s přetížením železem po alogenní HSCT. Sekundární cíle byly zaměřeny na bezpečnost deferasiroxu a využití jaterní MRI ke stanovení LIC. Jde o otevřenou multicentrickou klinickou studii, která byla provedena na hematologických transplantačních jednotkách ve Španělsku. Do studie bylo zařazeno od prosince 2008 do 2010 celkem 30 pacientů s transfuzním přetížením železem ve věku nad 18 roků, u kterých byla alogenní HSCT provedena alespoň 6 měsíců před zařazením do studie. Léčba deferasiroxem byla zahájena dávkou 10 mg/kg/den. Pokračovala po dobu 52 týdnů, nebo dokud sérová hladina feritinu nebyla méně než 400 ng/ml ve dvou po sobě následujících příležitostech. Kategorizace pacientů, průběh dávkování deferasiroxu a efekt léčby na hladinu sérového feritinu jsou podrobně popsány. Vedlejší nežádoucí účinky spojené s léčbou byly zaznamenány u 17 pacientů (56,7 %). Byly většinou lehké nebo střední, žádné nebyly závažné. Z 30 zařazených pacientů dokončilo studii 22 pacientů. Příčiny přerušení léčby před dokončením studie jsou jednotlivě vyjádřeny. Závěry: (1) Deferasirox v dávce 10 mg/kg/den podávaný po dobu 52 týdnů po transplantaci vedl k signifikantní redukci mediánu sérového feritinu a koncentrace železa v játrech u 22 dospělých pacientů, kteří se podrobili HSCT alespoň 6 měsíců před zařazením do studie. (2) Bezpečnost profil deferasiroxu byl obdobný jako v dřívějších studiích pacientů s transfuzní hemosiderózou. (3) Další studie jsou zapotřebí ke stanovení přesné prognostické role přetížení železem u alogenní HSCT a dopadu chelátové terapie deferasiroxem na dlouhodobé výsledky u pacientů s hematologickými malignitami a přetížením železem po alogenní HSCT.

Prof. MUDr. Otto Hrodek, DrSc.