proLékaře.cz | 9.11.2026

Diagnostic and risk criteria for HSCT-associated thrombotic microangiopathy: a study in children and young adults

Sonata Jodele, Stella M. Davies, Adam Lane, et al.

Division of Bone Marrow Transplantation and Immune Deficiency, Division of Biostatistics and Epidemiology, Division of Nephrology and Hypertension, and Division of Critical Care Medicine, Cincinnati Children's Hospital Medical Center, Cincinnati, OH; and Division of Nephrology, The Children's Hospital of Philadelphia, Philadelphia, PA

Blood 24 July 2014; 124 (4) DOI: dx.doi.org/10.1182/blood-2014-03-564997

Trombotická mikroangiopatie (TMA) spojená s transplantací hematopoetických kmenových buněk (HSCT) je těžká komplikace HSCT. Může postihnout 20 % až 30 % příjemců. Jde o multifaktoriální onemocnění, kdy generalizovaná endotelová dysfunkce může progredovat k multiorgánové poruše (mikroangiopatická hemolytická anémie, intravaskulární aktivace destiček, tvorba destičkami bohatých trombů uvnitř cévního řečiště a těžká porucha ledvin). Klinicky může probíhat od mírné formy až k fulminantnímu onemocnění vedoucímu k úmrtí. Mechanismy způsobující endotelovou poruchu jsou pouze v začátečních studiích. Autoři této práce referovali v recentních publikacích, že aktivace komplementového systému se může podílet na patogenezi TMA. Popsali potenciální terapeutický efekt terminální komplementové blokády.(Citace: Sonata Jodele et al.: Eculizumab Therapy in Children with Severe HSCT-Associated Thrombotic Microangiopathy; Biology and Marrow Transplantation; Vol. 20, No. 4, 518-525; April 2014.) Závažným úkolem zůstává identifikovat pacienty s vysokým rizikem těžkého onemocnění, kteří by mohli mít prospěch z okamžitých klinických intervencí. Proto provedli prospektivní studii u 100 pacientů, dětí a dospívajících, příjemců HSCT od září 2010 do prosince 2011. Celkově splňovalo 39 pacientů ze 100 (39 %) kritéria pro diagnózu TMA. U žádného z 10 příjemců autologní transplantace nebyla TMA diagnostikována. Analýza se proto zúžila na 90 příjemců alogenní HSCT. Práce uvádí podrobné demografické a terapeutické charakteristiky všech 90 příjemců alogenních transplantací. Zevrubně popisuje laboratorní monitoring, včetně stanovení sérové koncentrace sC5b-9 („soluble membrane attack complex"), dále klinický monitoring, identifikaci rizikových faktorů pro TMA a časové průběhy klinických a laboratorních markerů v relaci k datu diagnózy TMA, rizikové faktory pro úmrtí u osob diagnostikovaných s TMA. Význam a závěry práce: Toto je první prospektivní studie vyšetřující rizikové faktory pro TMA. Poskytuje rizikovou stratifikaci a algoritmus pro vyhodnocení TMA po HSCT U pacientů s proteinurií a průkazem aktivace komplementu (elevace sC5b-9) měly by být zváženy okamžité intervence. V diskusi jsou uvedeny i limitace popsané analýzy.

Prof. MUDr. Otto Hrodek, DrSc.

Validation and refinement of the Disease Risk Index for allogeneic stem cell transplantation

Philippe Armand, Haesook T. Kim, Brent R. Logan, et al.

Department of Medical Oncology, Biostatistics and Computational Biology, Dana-Farber Cancer Institute, Boston MA; Center for International Blood and Marrow Transplant Research, Department of Medicine, Medical College of Wisconsin, Milwaukee WI; et al.

Blood 5June, 2014; 123 (23); dx.doi.org/10.1182/blood-2014-01-552984

Mnoho faktorů ovlivňuje celkový výsledek alogenních transplantací hematopoetických kmenových buněk (HSCT). Nejsilnějšími determinanty jsou typ a stav choroby v době transplantace. Proto má zásadní význam stratifikace pacientů podle rizika choroby. Byl navržen index rizika choroby (Disease Risk Index; DRI) jako pomůcka rozčlenit pacienty do jedné ze 4 skupin dle celkového přežití (OS) na základě typu a stavu choroby v době transplantace. To bylo provedeno na souboru pacientů jednoho ústavu (Citace: Philippe Armand et al.: Blood July 26, 2012; 120 (4), pp. ´905-913) a úspěšně použito v dalších studiích. Primárním cílem této nové