

Výsledky modifikované „risk-adapted“ autologní transplantace u pacientů s AL-amyloidózou – zkušenosti jednoho centra

Špička I.¹, Vacková B.¹, Ryšavá R.², Straub J.¹, Kořen J.¹, Trněný M.¹

¹ I. interní klinika – klinika hematologie 1. LF a VFN, Univerzita Karlova v Praze

¹ Nefrologická klinika 1. LF a VFN, Univerzita Karlova v Praze

SOUHRN

Východisko: AL-amyloidóza je nejčastějším typem amyloidózy v západních zemích. Ve srovnání s ostatními plazmocytárními dyskrazemi má nejhorší prognózu – ta se však v posledním desetiletí se zlepšuje a současně uváděné přežití pacientů jsou přibližně 4 roky. Vysokodávkovaná chemoterapie s podporou kmenových buněk (ASCT) vede relativně často k dosažení kompletní remise, v úvodních studiích však byla zatížena vysokou mortalitou. Navíc multicentrická randomizovaná studie neprokázala vyšší efekt ASCT proti konvenční léčbě – proto je úloha tohoto postupu stále nejasná.

Soubor pacientů a metody: Během poslední dekády byla na našem pracovišti provedena ASCT u 14 pacientů s AL-amyloidózou. Předtransplantační dávky melfalanu, volené podle dříve publikovaného „risk-adapted“ systému, jsme ještě dále modifikovali, respektive redukovali.

Výsledky: Transplantační mortalita byla 7,1%. Orgánovou odpověď dosáhlo 57% nemocných včetně 21% kompletních remisí (KR). Hematologickou odpověď jsme pozorovali u 58% pacientů z 12 hodnocených. Střední doba přežití je 77 měsíců, medián doby bez progresu 31 měsíců.

Závěr: ASCT s redukovanou dávkou melfalanu je podle našich zkušeností účinná a relativně bezpečná možnost léčby AL-amyloidózy.

Klíčová slova: AL-amyloidóza, ASCT, „risk-adapted“ program, transplantační mortalita.

SUMMARY

Špička I., Vacková B., Ryšavá R., Straub J., Kořen J., Trněný M.: Results of modified „risk-adapted“ autologous transplantation in patients with AL-amyloidosis – experience of one center

Purpose: AL-amyloidosis is the most frequent form of amyloidosis in western countries. The prognosis is the worst among other plasma cell dyscrasias but it appeared to be improved during last decade – currently reported survival is approximately 4 years. High-dose therapy with stem cell support (ASCT) could yield a high rate of complete remission. However, transplant-related mortality (TRM) was high in the early studies. Moreover, a multicenter randomized trial did not confirm the superiority of ASCT and thus the role of this approach remains still unclear.

Patients and methods: Fourteen consecutive patients with AL-amyloidosis were treated using own “strict risk-adapted” dosed melphalan conditioning within last 10 years in our center.

Results: TRM was 7,1%, organ response was 57%, including 21% complete remission. Hematologic response was 58% in twelve evaluable patients. Median overall survival was 77 months, median progression-free survival 31 months.

Conclusion: We conclude that ASCT with reduced dose melphalan is effective and relatively safe treatment option for AL-amyloidosis.

Key words: AL-amyloidosis, ASCT, risk-adapted program, TRM.