

Možnosti léčby myelodysplastického syndromu v roce 2021

Petra Bělohávková

IV. interní hematologická klinika, LF UK a FN Hradec Králové

Heterogenní povaha myelodysplastického syndromu (MDS) s sebou přináší velmi variabilní chování onemocnění s nutností individualizované léčby. Prognóza a léčba pacientů závisí na stanoveném IPSS (International Prognostic Scoring System) a jeho revidované formy IPSS-R, které nám MDS pacienty rozdělí do skupiny nižšího a vyššího rizika. Cílem léčby pacientů nižšího rizika je ovlivnění cytopenie, především anémie. U nemocných vyššího rizika MDS se léčbou snažíme oddálit progresi onemocnění a zlepšit přežití nemocných. Alogenní transplantace krvetvorných kmenových buněk (HSCT) představuje jedinou kurativní metodu léčby MDS, avšak vzhledem k věku a komorbiditám pacientů je proveditelná velmi zřídka.

Klíčová slova: azacitidin, erythropoezu-stimulující preparáty, myelodysplastický syndrom, léčba, lenalidomid.

Treatment strategies for myelodysplastic syndrome in 2021

The heterogeneous nature of myelodysplastic syndrome (MDS) brings a very variable prognosis of patients with the need for individualized treatment. The prognosis and treatment depend on the conventional determination of IPSS (International Prognostic Scoring System) and its revised form IPSS-R, which divides patients into lower and higher risk groups. Treatment of patients with lower risk of MDS include the improvement of cytopenia, especially anemia. The goal of treatment in patients with higher risk of MDS is delaying disease progression and improve patient survival. The only curative method for therapy of MDS is allogeneic hematopoietic stem cell transplantation (HSCT), however it is rarely applicable due to the age and comorbidities of patients.

Key words: azacitidin, erythropoiesis-stimulating agents, myelodysplastic syndromes, lenalidomide, treatment.

Úvod

Myelodysplastický syndrom (MDS) je získané klonální onemocnění krvetvorby vycházející z poškozené hematopoetické kmenové buňky, které vede k neefektivní hematopoéze, jejímž důsledkem je rozvoj periferní cytopenie. MDS je především onemocněním starších osob s mediánem věku při stanovení diagnózy 70 let. Pouze desetina případů se vyskytuje u osob mladších 50 let. Ve věku nad 70 let je incidence MDS 20 až 40 nových případů na 100 000 obyvatel ročně. Ve většině případů onemocnění vzniká primárně, avšak 10–20% případů se rozvine jako sekundární forma po předchozí expozici rizikovým faktorům (cytostatická či radioterapeutická léčba, opakovaný kontakt s chemikáliemi – organická rozpouštědla, benzen, pesticidy). Tato sekundární forma MDS je často doprovázena nepříznivým cytogenetickým nálezem s výrazně horší prognózou nemocných (1).

Morfologické vyšetření nátěrů periferní krve a kostní dřeně spolu s cytogenetickým vyšetřením zůstávají klíčovými kameny pro stanovení diagnózy MDS. Velký rozvoj v posledních letech zaznamenává výzkum na poli molekulární genetiky se snahou lépe pochopit složitou patogenezi onemocnění a zhodnotit prognostický význam přítomnosti mutací (např. *EZH2*, *ASXL1*, *RUNX1*, *nRAS*, *TP53* atd.). Určení podtypu MDS v současné době vychází z WHO klasifikace z roku 2016 (Tab. 1), ve které je poprvé zahrnuta i přítomnost molekulární změny – *SF3B1* (2).

Ke stanovení rizika pacienta s následným výběrem vhodné léčby používáme mezinárodní prognostický skórovací systém (IPSS), který je založen na počtu cytopenií, počtu blastů ve dřeni a cytogenetickém nálezem. Podle zjištěných rizik pacienty dělíme na kategorii nižšího rizika (IPSS nízké a střední-1) a vyššího rizika (IPSS střední-2 a vysoké). V roce 2012 byla publikována revidovaná verze tohoto skórovacího systému (IPSS-R),