proLékaře.cz | 18.2.2026

Development and validation of a prognostic scoring system for patients with chronic myelomonocytic leukemia

Esperanza Such, Ulrich Germing, Luca Malcovati, et al.

The Spanish MDS cooperative group; Department of Hematology, Hospital Universitario La Fe, Valencia, Spain; Department of Hematology, Oncology and Clinical Immunology, Heinrich-Heine-University, Düsseldorf, Germany; et al.

Blood 11 April 2013, Vol. 121, No. 15, pp. 3005–3015

Chronická myelomonocytová leukemie (CMML) je klonální hematologické onemocnění, které má některé rysy myelodysplastických syndromů (MDS) a chronických myeloproliferativních onemocnění. Má velmi variabilní klinický průběh s výraznými rozdíly v celkovém přežití (OS) a rizikem transformace do akutní myeloblastické leukemie (AML). Různé studie identifikovaly důležité prognostické faktory a některé vytvořily prognostické systémy. Žádný z nich však nebyl široce přijat. Cílem studie uvedených autorů bylo vyvinout **nový pro CMML specifický prognostický systém (CPSS)**, který by identifikoval nezávislé prognostické faktory pro OS a vývoj do AML na velkém souboru pacientů s CMML. Dalším cílem bylo určit prediktivní kapacitu tohoto CPSS a porovnat ji s jinými prognostickými systémy pro CMML. Retrospektivní studie analyzovala data až dosud největšího počtu 558 pacientů v první zaváděcí fázi u pacientů s CMML („trainig cohort"). Nezávislý ověřovací soubor tvořilo 274 pacientů („validation cohort"). Práce podrobně popisuje charakteristiku a výsledky získané univariantní a multivariantní analýzou obou souborů. Potvrzuje dříve známý prognostický dopad podtypů podle WHO a FAB klasifikace a specifických chromozomálních abnormalit. Poprvé zjišťuje relevanci závislosti na transfuze erytrocytů při diagnóze CMML. Výsledkem celé studie je definice 4 rizikových skupin pacientů pro celkové přežití a vývoj do AML. Zatím nový specifický prognostický systém CPSS představuje snadno proveditelný a užitečný způsob pro určení prognózy, plánování terapie a vhodnost pro budoucí klinické studie u pacientů s CMML.

Prof. MUDr. Otto Hrodek, DrSc.

Outcomes of transplantation using various hematopoietic cell sources in children with Hurler syndrome after myeloablative conditioning

Jaap Jan Boelens, Mieke Aldenhoven, Duncan Purtill, et al.

University Medical Center Utrecht, Pediatric Blood and Marrow Transplantation Program, Utrecht, The Netherlands; Eurocord/Hôpital Saint Louis, Department of Hematology/BMT, Paris, France; Program in Blood and Marrow Transplantation, University of Minnesota, Minneapolis, MN; et al.

Blood 9May 2013, Vol. 121, No. 19, pp. 3981–3987

Syndrom Hurlerové (HS) je nejtěžší fenotyp ve spektru mukopolysacharidózy typu I (MPS I), typu lyzozomální střádavé choroby. Neléčený HS syndrom vede k progresivnímu a konečnému fatálnímu multisystémovému zhoršení, včetně psychomotorické retardace, těžkých kostních deformit a život ohrožujících kardiálních a plicních komplikací. Transplantace hematopoetických kmenových buněk (HSCT), zavedená u těžkého typu HS I v roce 1980, se stala celosvětově nejčastější transplantovanou chorobou v rámci vrozených poruch metabolismu. Samotná léčba pomocí náhrady deficitního enzymu (alfa-L-iduronidázy) neochrání centrální nervový systém u těžké formy HS před deteriorací. Přes velké úspěchy transplantačního přístupu zůstává

121_TH_0313.indd 191 11/11/13 11:09:58 AM