

## Treatment of myelodysplastic syndrome patients with erythropoietin with or without granulocyte colony-stimulating factor: results of prospective randomized phase 3 trial by the Eastern Cooperative Oncology Group (E1996)

Greenberg PL, Sun Z, Miller KB et al., *Blood* 114, 2009, 2393-2400

### Úvod

Myelodysplastický syndrom (MDS) je heterogenní skupinou klonálního onemocnění myeloidních buněk kostní dřeně charakterizovaného narušenou proliferací a diferenciací krvetvorných buněk. Pro MDS s nízkým rizikem dle mezinárodního skórovacího systému IPSS je typické delší přežití a nižší riziko transformace do akutní leukémie. Terapie zahrnuje léčbu anémie pomocí erythropoetinu (ESA, např. erythropoetin EPO) s cílem snížit potřebu transfúzí. U části pacientů neodpovídajících na léčbu EPO pomáhá kombinace EPO s granulocyty-stimulujícím faktorem (G-CSF). Autoři této randomizované prospektivní studie zkoumali účinky EPO a G-CSF u pacientů s nízkým rizikovým MDS.

### Metodika

Do studie bylo zařazeno 110 anemických pacientů s MDS. Pacienti byli randomizováni do skupiny A léčené transfúzí a do skupiny B léčené EPO v dávce 150 U/kg denně podkožně společně s transfúzí. Skupina A začala být při nedostatečné erytroidní odpovědi po 4 měsících léčena také kombinací transfúzí a EPO shodně se skupinou B. Při nedostatečné odpovědi byl ke stávající léčbě přidán G-CSF v dávce 1 µg/kg/den, dále pak i navýšena dávka EPO na 300 U/kg/den. Primárním cílem bylo zhodnocení relativního benefitu léčby kombinací transfúze a EPO (úprava anémie, snížení potřeby erymas) a zhodnocení přínosu kombinace s G-CSF či zvýšení dávky EPO. Sekundárně pak porovnání toxicity, celkového přežití, incidence akutní leukémie a kvality života.

### Výsledky

Nejdůležitější výsledky jsou shrnuty v následující tabulce.

	Skupina A	Skupina B	P
Kompletní + parciální remise	36 %	9,6 %	0,002
Potřeba transfúzí	51 %	29 %	neuvedeno
Medián celkového přežití (roky)	2,6	3,1	0,28
Transformace do akutní leukémie	10,5 %	7,5 %	0,74

Kvalita života pacientů se významně nelišila, stejně tak i léková toxicita byla převážně v obou skupinách srovnatelně nízká. Posílení léčby EPO kombinací s G-CSF nebo zvýšením dávky EPO zvýšilo celkovou odpověď z 36 % na 46,6 %.

### Závěr

Léčba EPO samotným nebo v kombinaci s G-CSF jsou účinnými prostředky k léčbě anémie u pacientů s MDS, aniž by tato léčba vedla ke zkrácení celkového přežití nebo ke zvýšení morbiditativního rizika transformace do akutní leukémie.

Zpracovala: MUDr. Marie Langová