



**INSTYTUT HEMATOLOGII
I TRANSFUZJOLOGII**



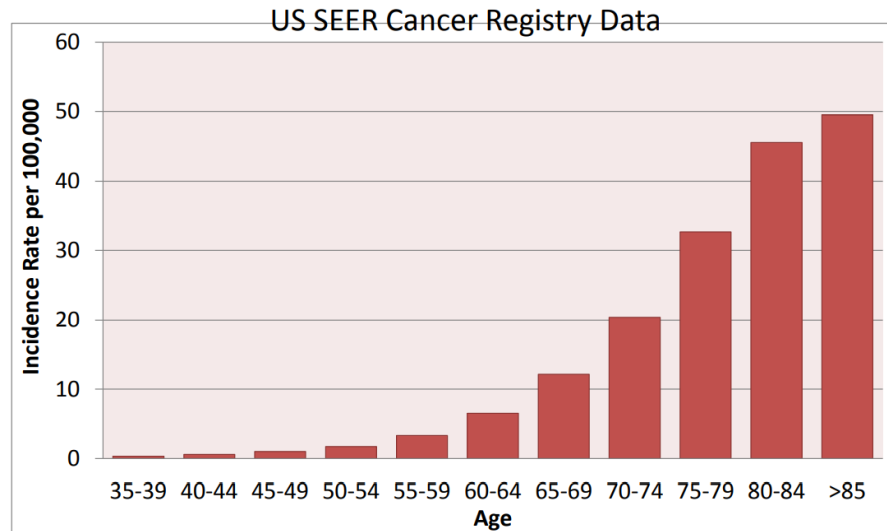
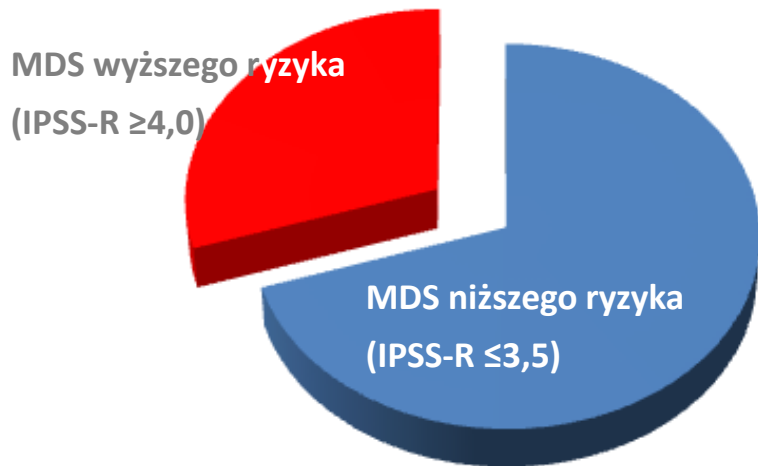
**CENTRUM MEDYCZNE
KSZTAŁCENIA PODYPLOMOWEGO**

Zespoły mielodysplastyczne - nowe perspektywy leczenia pacjentów

Bożena Katarzyna Budziszewska

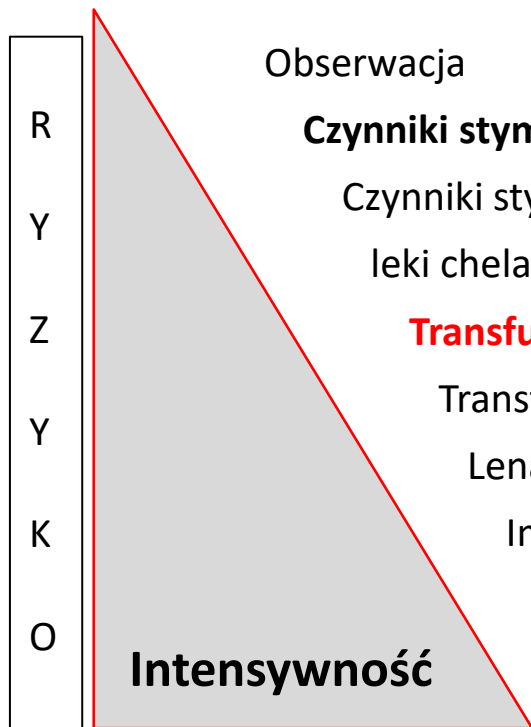
Innowacje w Hematologii 09.06.2021

Zespoły mielodysplastyczne niższego i wyższego ryzyka



- Grupa hematologicznych chorób nowotworowych.
- Na podstawie danych z projektu „Mapy potrzeb zdrowotnych — baza analiz systemowych i wdrożeniowych „
 - liczba nowych zachorowań na MDS wynosi ok. 1500/rok,
 - liczba chorych na MDS w Polsce – ok. 4370,
 - liczba chorych na MDS niższego ryzyka w Polsce – ok. 3000

Leczenie zespołów mielodysplastycznych



Obserwacja

Czynniki stymulujące erytropoezę

Czynniki stymulujące kolonie granulocytów

leki chelatujące żelazo

Transfuzje krwinek czerwonych

Transfuzje krwinek płytkowych

Lenalidomid

Immunosupresja

Leki hipometylujące

Transplantacja komórek macierzystych

Próby kliniczne – zawsze najlepsza opcja

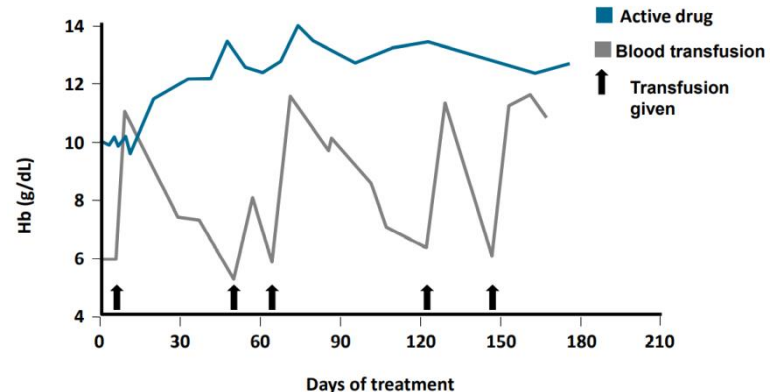
Zespoły mielodysplastyczne (MDS)

Niedokrwistość jest najczęstszą (90%) cytopenią u chorych na MDS

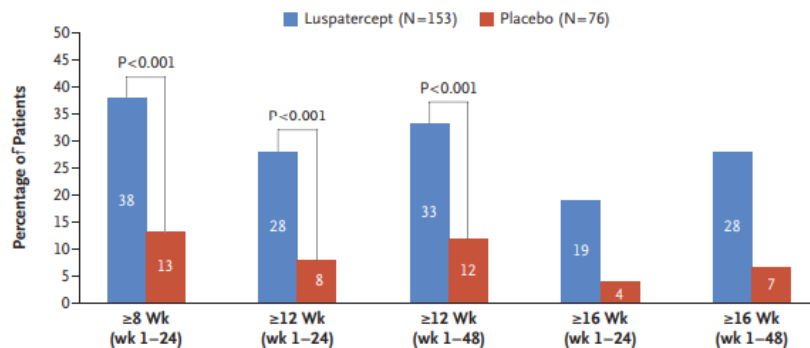
- czas całkowitego przeżycia chorych zależnych od przetoczeń KKCz **jest zmiennie statystycznie krótszy w porównaniu z pacjentami niewymagającymi przetoczeń i mają istotnie niższą jakość życia**
- Leczenie za pomocą przetoczeń KKCz nie gwarantuje istotnej poprawy ze względu na dużą amplitudę stężenia hemoglobiny pomiędzy przetoczeniami
- **Stosowanie leków utrzymujących stałe, stabilne podwyższenie stężenia hemoglobiny jest najlepszą opcją**

Na podstawie danych z Polskiego Rejestru MDS:

- **47%** chorych na MDS w momencie rozpoznania
- **68%** (46% MDS LR) w trakcie dalszej obserwacji **jest uzależnionych od przetoczeń KKCz**

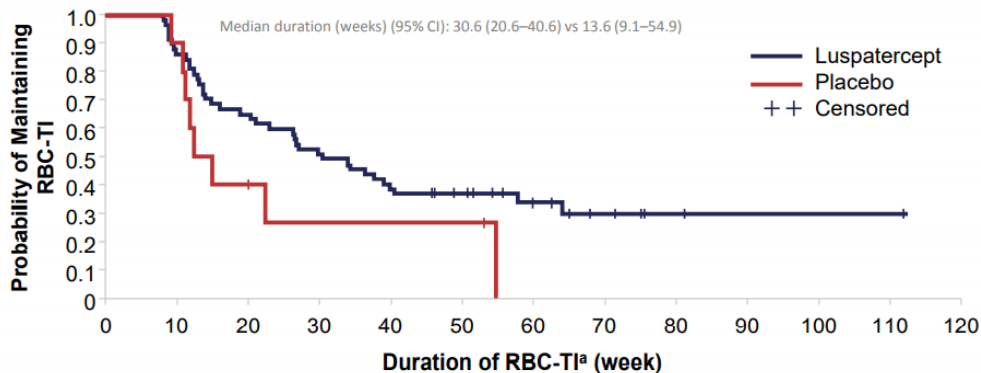


MEDALIST : Badanie III fazy luspaterceptu w leczeniu zależnych od transfuzji pacjentów z MDS bardzo niskiego, niskiego i pośredniego ryzyka z $\geq 15\%$ pierścieniowatych syderoblastów, którzy są oporni lub nie kwalifikują się do leczenia czynnikami stymulującymi erytropoezę



38% pacjentów uniezależniło się od transfuzji

czas trwania odpowiedzi - uniezależnienie od transfuzji



30.6 weeks
13.6 weeks

Podsumowanie

- U chorych zależnych od transfuzji stosowanie luspaterceptu powoduje średnie zmniejszenie zużycia KKCz o ok. 21%, co przekłada się na 8 jednostek KKCz rocznie na pacjenta (4 litry krwi): oszczędności krwi i przesunięcia KKCz dla chorych, dla których przetoczenia są jedyną dostępną terapią.
- Wobec deficytowego zaopatrzenia w krew i świadomości zagrożeń leczenia transfuzjami w chorobach przewlekłych dostęp do leków obniżających zużycie krwi wpisuje się w ogólną koncepcję optymalizacji leczenia krwią – dostosowywania terapii do indywidualnych potrzeb chorych w ramach aktualnych możliwości systemu krwiodawstwa i krwiolecznictwa.

Podsumowanie

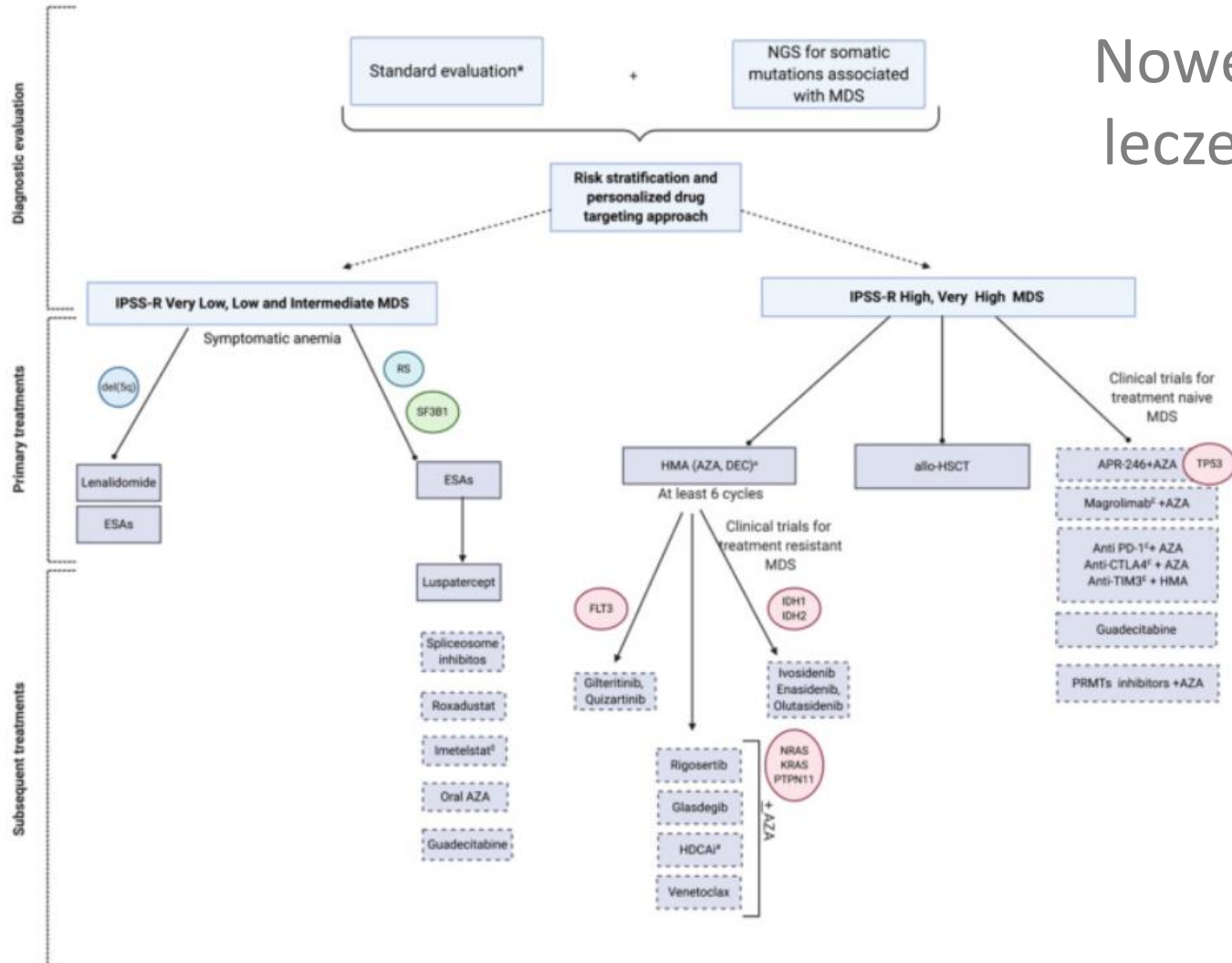
koszty 3-letniego leczenia pacjenta z MDS *	88,264\$ Zależny od transfuzji	29,519 Niezależny od transfuzji
---	-----------------------------------	------------------------------------

*S. L. Goldberg, E. Chen, M. Sasane, C. Paley, A. Guo, and M. Laouri, Transfusion, vol. 52, no. 10, pp. 2131–2138, 2012.

roczne koszty leków potencjalnie leczących anemię (potentially anemia-altering drugs) w MDS	\$26,000 to \$95,000 (zależnie od terapii)	Roczne koszty transfuzji i terapii chelatujących	\$41,412
---	---	--	----------

P. L. Greenberg, L. E. Cosler, S. A. Ferro, and G. H. Lyman, "Journal of the National Comprehensive Cancer Network, vol. 6, no. 9, pp. 942–953, 2008

Nowe perspektywy leczenia pacjentów



Dziękuję