

Ruxolitinib v léčbě polycythemia vera – co všechno ještě nevíme?

Petra Bělohávková

IV. interní hematologická klinika, FN Hradec Králové

Polycythemia vera (PV) představuje časté Ph-negativní myeloproliferativní onemocnění, kdy základním léčebným cílem je snížení a udržení hematokritu pod 0,45 a snížení rizika vzniku trombotických či krvácivých komplikací. Pacienty podle věku a prodělané trombotické události dělíme na riziko nízké a vysoké. U nemocných nízkého rizika se mohou provádět pouze venepunkce, ale při jejich nemožnosti nebo výrazném nárůstu leukocytů, trombocytů či progresi splenomegalie je indikováno zahájení cytoredukční léčby. Cytoredukční léčba je vždy indikována pro léčbu PV vysokého rizika a zahrnuje léčbu interferonem (mladší nemocní) nebo hydroxyureou (starší nemocní). U všech pacientů je vždy zahájena léčba kyselinou acetylosalicylovou. Ruxolitinib je inhibitor Janus kinázy 1/2 a představuje léčebnou možnost při rozvoji rezistence či intolerance preparátů první linie (1–3).

Klíčová slova: JAK1/2 inhibitory, léčba, polycythemia vera, ruxolitinib.

Ruxolitinib in treating polycythemia vera: what is it that we do not know yet?

Polycythemia vera (PV) is a frequent Ph-negative myeloproliferative disease where the primary therapeutic goals are to reduce and maintain haematocrit below 0.45 and to reduce the risk of developing thrombotic or haemorrhagic complications. Patients are classified into low-risk and high-risk categories according to age and a past thrombotic event. In low-risk patients, only venepuncture can be performed, but in the case of its infeasibility or a significant increase in leukocytes and thrombocytes or progression of splenomegaly, initiation of cytoreductive therapy is indicated. Cytoreductive therapy is always indicated for the treatment of high-risk PV patients and involves treatment with interferon (younger patients) or hydroxyurea (elderly patients). Treatment with acetylsalicylic acid is always commenced in all patients. Ruxolitinib is a Janus kinase 1/2 inhibitor and is a treatment option when resistance or intolerance to first-line drugs develop (1–3).

Key words: JAK1/2 inhibitors, treatment, polycythemia vera, ruxolitinib.

Úvod

Ruxolitinib, dříve známý jako INCB018424 nebo INC424, je účinný a selektivní perorální inhibitor Janus kinázy (JAK) 1 a 2. Ruxolitinib byl nejprve schválen pro léčbu myelofibrózy (MF) americkým Úřadem pro kontrolu potravin a léčiv (FDA) v roce 2011 a Evropskou lékovou agenturou (EMA) v roce 2012, poté následovalo v roce 2014 schválení pro léčbu pacientů s polycythemia vera (PV) rezistentních/intolerantních k léčbě hydroxyureou (HU) (4).

Studie RESPONSE a RESPONSE-2

RESPONSE a RESPONSE-2 byly randomizované, otevřené, multicentrické studie fáze 3, které hodnotily účinnost a bezpečnost ruxolitinibu u dospělých s PV, kteří měli rezistenci nebo intoleranci k předchozí léčbě hydroxyureou. Splenomegalie byla vyžadována pro zařazení do studie RESPONSE, ale již nebyla nutná pro zařazení do studie RESPONSE-2. Pacienti v obou studiích byli randomizováni v poměru 1 : 1 k ruxolitinibu

DECLARATIONS:

Declaration of originality:

The manuscript is original and has not been published or submitted elsewhere.

Ethical principles compliance:

The authors attest that their study was approved by the local Ethical Committee and is in compliance with human studies and animal welfare regulations of the authors' institutions as well as with the World Medical Association Declaration of Helsinki on Ethical Principles for Medical Research Involving Human Subjects adopted by the 18th WMA General Assembly in Helsinki, Finland, in June 1964, with subsequent amendments, as well as with the ICMJE Recommendations for the Conduct, Reporting, Editing, and Publication of Scholarly Work in Medical Journals, updated in December 2018, including patient consent where appropriate.

Conflict of interest and financial disclosures:

None.

Funding/Support:

None.

Cit. zkr: **Onkologie**. 2024;18(2):121-124

<https://doi.org/10.36290/xon.2024.022>

Článek přijat redakcí: 16. 3. 2024

Článek přijat k tisku: 3. 4. 2024

MUDr. Petra Bělohávková, Ph.D.

petra.belohlavkova@fnhk.cz