

Maria Bieniaszewska

Katedra i Klinika Hematologii i Transplantologii, Gdański Uniwersytet Medyczny

Adres do korespondencji:

Maria Bieniaszewska
Katedra i Klinika Hematologii
i Transplantologii
Gdański Uniwersytet Medyczny
ul. Smoluchowskiego 17
80–214 Gdańsk
e-mail: maria.bieniaszewska@
gumed.edu.pl

Hematologia — Edukacja
2023, tom 3, supl. C, C1
Copyright © 2023 Via Medica
ISSN 2720–2240
e-ISSN 2720–4944

Mielofibroza zaliczana do nowotworów mieloproliferacyjnych *BCR/ABL*-ujemnych jest niezwykle heterogennym schorzeniem. Poznanie molekularnego podłoża klonalnej proliferacji megakariocytów nie wyjaśniło zmienności przebiegu choroby u poszczególnych pacjentów. Mielofibroza pierwotna, bez względu na rodzaj stwierdzonej mutacji (*JAK2*, *CALR*, *MPL*), szczególnie gdy rozpoznania dokonano w fazie prefibrotycznej, może przebiegać przez wiele lat bez objawów klinicznych, by następnie w krótkim czasie rozwinąć się do pełnoobjawowej choroby. W odróżnieniu od postaci pierwotnej transformacji mielofibrotyczna nadpłytkowość samoistnej i czerwienicy prawdziwej jest schyłkową postacią tych schorzeń i charakteryzuje się nieco bardziej powolnym przebiegiem. Pomocne w przewidywaniu przebiegu choroby i rokowania są skale prognostyczne, które pozwalają nie tylko na oszacowanie czasu przeżycia, ale ułatwiają również podejmowanie decyzji terapeutycznych. We wprowadzonych w ostatnim dwudziestolecu wskaźnikach — *International Prognostic Scoring System* (IPSS) i jego modyfikacjach: *Dynamic International Prognostic Scoring System* (DIPSS) oraz DIPSS Plus — uwzględniono, odpowiednio, dynamikę choroby i dodatkowe czynniki prognostyczne, a we wskaźniku MYSEC — odmienność przebiegu mielofibrozy w przebiegu czerwienicy i nadpłytkowości. Jedyną metodą pozwalającą na pełne wyleczenie choroby pozostaje przeszczepienie szpiku. Ze względu na obciążenia wynikające

z transplantacji jest to metoda zarezerwowana dla chorych młodszych, bez poważnych schorzeń współistniejących. Dla pozostałych pacjentów do niedawna pozostawało jedynie leczenie objawowe (głównie przetoczeniami składników krwi) oraz terapie o niewielkiej lub krótkotrwałej skuteczności. Wprowadzenie do leczenia mielofibrozy pierwszego inhibitora kinazy JAK — ruksolitynibu stanowiło szansę nie tylko na łagodzenie objawów choroby i ograniczenie splenomegalii, ale również wydłużenie okresu przeżycia. Ocenie objawów klinicznych służy formularz *Myeloproliferative Neoplasm Symptom Assessment Form Total Symptom Score* (MPN-SAF-TSS). Jest to zobiektywizowane narzędzie, które pozwala również określić skuteczność leczenia inhibitorami kinazy JAK.

Potwierdzenie skuteczności ruksolitynibu w leczeniu mielofibrozy oraz poznanie mechanizmu jego działania dało podstawy do badań nad zastosowaniem tego leku również w innych terapii innych problemów klinicznych, takich jak na przykład potransplantacyjna choroba przeszczep przeciwko gospodarzowi. Ruksolitynib zapoczątkował także wiele dalszych badań klinicznych nad nowymi aktywnymi cząsteczkami, stwarzającymi nadzieję na przedłużoną kontrolę choroby.

Informacje dodatkowe

Konflikt interesów: Autorka deklaruje brak konfliktu interesów.

Finansowanie: Brak.

