

## Wstęp

*Oddajemy w Państwa ręce kolejny suplement czasopisma „Hematologia”, który w całości jest poświęcony polskim doświadczeniom w stosowaniu midostauryny w leczeniu chorych na ostrą białaczkę szpikową (AML, acute myeloid leukemia) z mutacją FLT3. Mutacja FLT3 występuje u około 30% wszystkich chorych na AML; dwa najczęstsze typy to wewnętrzna tandemowa duplikacja (ITD, internal tandem duplication) i mutacja punktowa (TKD, tyrosine kinase domain), obserwowane odpowiednio u około 20% i 10% chorych. Mutacja FLT3-ITD wiąże się z gorszym rokowaniem niż FLT3-TKD, w przypadku której współwystępowanie innych zaburzeń genetycznych, takich jak mutacji NPM1, rearanzacji genu CBF lub biallelicznej mutacji genu CEBPA, wpływa na poprawę rokowania. Midostauryna jest nieselektywnym inhibitorem kinaz tyrozynowych, hamującym w szczególności aktywność kinazy FLT3 i jest zalecana u pacjentów z nowo rozpoznaną AML z obecnością mutacji FLT3 — zarówno TKD, jak i ITD. Autorzy opisują przypadki chorych na AML leczonych midostauryną, pokazując, jak istotnie terapia celowana poprawia wyniki leczenia. Poruszono również problem trudności w leczeniu chorych z obecnością wysokiego stosunku allelicznego FLT3 — FLT3-ITD<sup>high</sup> związanego z wyjątkowo złym rokowaniem. W pracach przedstawiono wiele aspektów praktycznych, takich jak zarządzanie działaniami niepożądanymi, i zwrócono uwagę na konieczność wykonywania badań genetycznych na różnych etapach choroby. Obserwacje te mają obecnie szczególną wartość, ponieważ od 1 maja 2021 roku stosowanie midostauryny u chorych na nowo rozpoznaną AML z mutacją FLT3 jest refundowane w ramach Programu Lekowego, co umożliwi leczenie tej grupy pacjentów zgodnie z polskimi i międzynarodowymi wytycznymi. Zachęcam Państwa do lektury!*

*prof. dr hab. n. med. Iwona Hus*



*Redaktor Naczelna*