



Klinické studie u amyloidózy a Morbus Waldenström

Mikulov, 10. 4. 2015



www.fno.cz



Amyloidóza AL

Aktivní klinické studie - Amyloidóza

Nová diagnóza

- Studie EMN03 AKADEMICKÁ (Brno, Hradec Králové, Olomouc, Ostrava)

Relaps

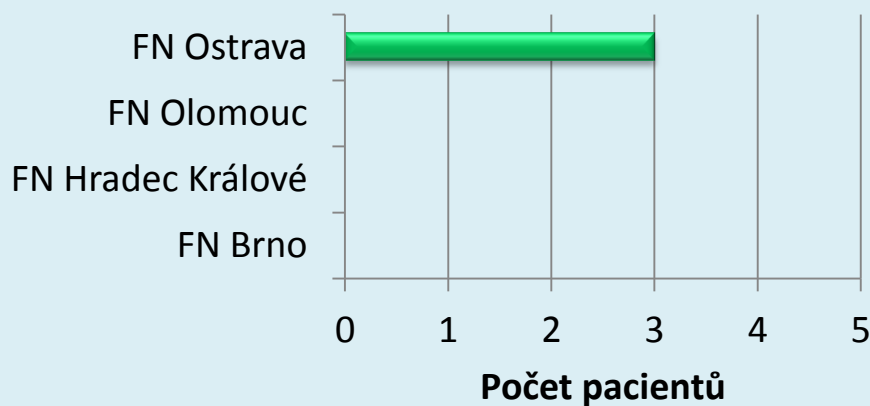
- Studie MLN C16011 (Ostrava, VFN Praha)

Připravované klinické studie v ČR

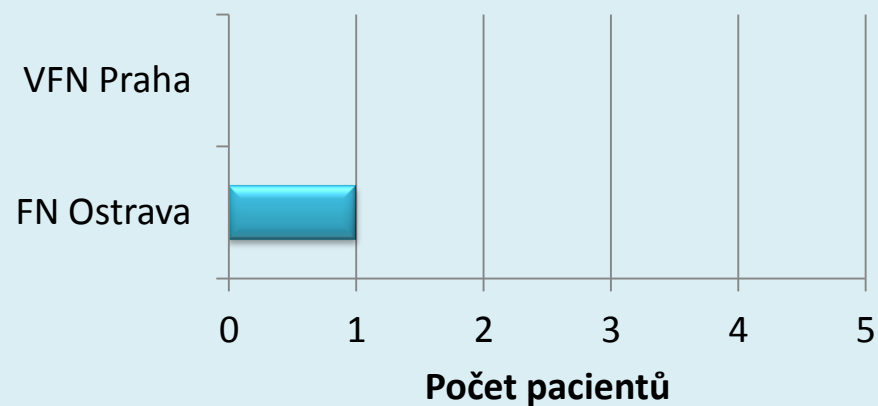
- Studie NEOD001
NEOD001 + standardní léčba vs. placebo + standardní léčba u nově diagnostikovaných pacientů s AL amyloidózou

Počty pacientů v centrech

EMN03



Millenium C16011



Amyloidóza – nová diagnóza

EMN03

Randomizované otevřené multicentrické klinické hodnocení fáze III léčby Melfalanem a Dexametazonem (MDex) versus léčba Bortezomibem, Melfalanem a Dexametazonem (BMDex) u neléčených pacientů se systémovou AL-amyloidózou z lehkých řetězců

Amyloidóza – nová diagnóza

Hlavní vstupní kritéria

- ✓ Histologicky prokázaná diagnóza amyloidózy
- ✓ Pacienti nevhodní či odmítající Tx
- ✓ ECOG 0-2
- ✓ Měřitelné onemocnění v séru
- ✓ Postižení srdce, ledvin, GIT či periferního nervového systému
- ✓ Adekvátní laboratorní hodnoty

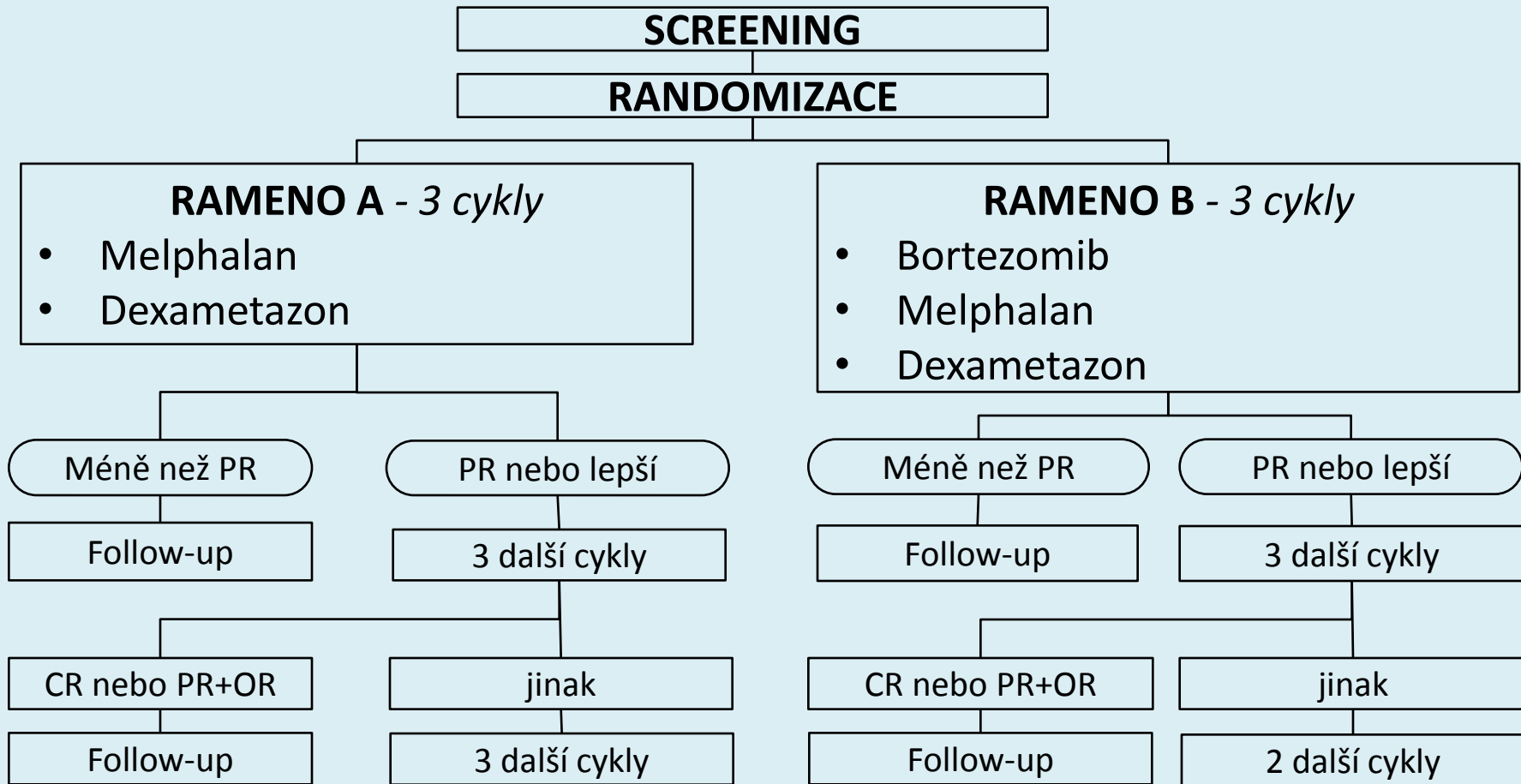
Amyloidóza – nová diagnóza

Hlavní vylučovací kritéria

- Onemocnění hereditární formou amyloidózy
- Přítomnost non-AL amyloidózy
- Předěšlá léčba onemocnění plazmatických buněk
- Počet plazmocyťů v kostní dřeni nad 30%
- Pacienti se srdečním onemocněním (NYHA III-IV)
- Onemocnění mnohočetným myelomem

Amyloidóza – nová diagnóza

Schéma protokolu



Amyloidóza – nová diagnóza

Transport vzorků

V den odběru odeslat do Biobanky FN Ostrava

- Zkumavka EDTA 7,5 ml s periferní krví
- Vyplněná žádanka

- Zamražené kryotuby se zasílají v kryoboxu na suchém ledu, jakmile je kryobox plný

Amyloidóza – relaps

MLN C16011

Randomizovaná, kontrolovaná multicentrická a otevřená studie fáze III ověřující bezpečnost a účinnost dexamethazonu v kombinaci s přípravkem MLN9708 nebo léčbu podle volby lékaře u pacientů s recidivující nebo refrakterní systémovou amyloidózou z lehkých řetězců (AL)

Amyloidóza – relaps

Hlavní vstupní kritéria

- ✓ Biopsií prokázaná diagnóza systémové AL amyloidózy
- ✓ Měřitelné onemocnění v séru – hladina FLC vyšší než 50 mg/l
- ✓ Měřitelné postižení srdce či ledvin (ISA kritéria)
- ✓ Pacienti s relapsem či refrakterním onemocněním po 1 až 2 léčebných liniích
- ✓ ECOG 0-2

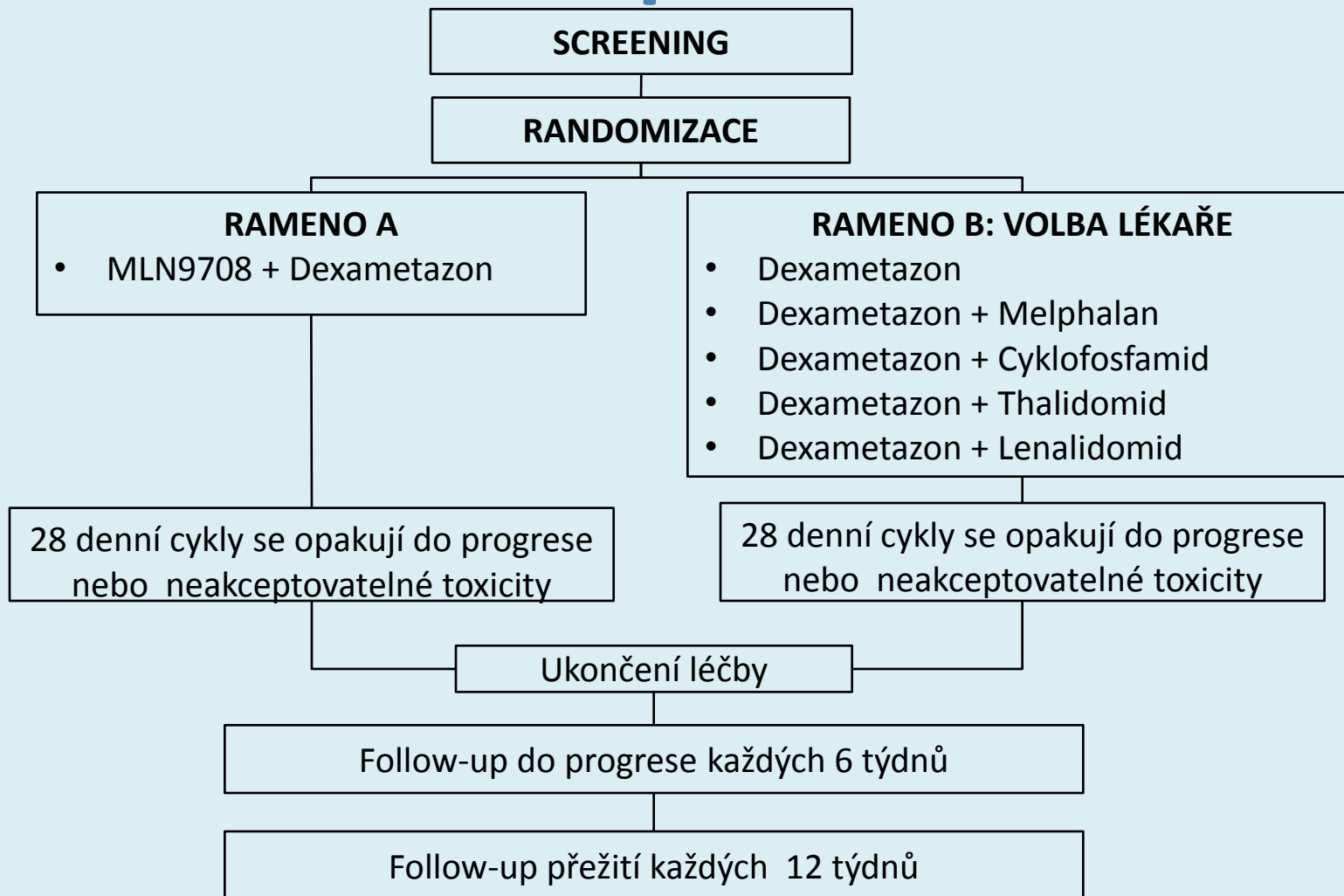
Amyloidóza – relaps

Hlavní vylučovací kritéria

- Onemocnění mnohočetným myelomem

Amyloidóza – relaps

Schéma protokolu



Morbus Waldenström

„Aktivní“ klinické studie - Waldenströmová makroglobulinemie

Nová diagnóza

- Studie ECWM-1 AKADEMICKÁ (Brno, Olomouc, Ostrava)

Aktuální stav

- Olomouc – podepsat smlouvu
- Počkat na schválení dodatečného dokumentu k Rituximabu SÚKLeM

Waldenströmová makroglobulinémie

EWMC - 1

Zhodnocení účinnosti léčebného režimu
Dexametazon, Rituximab a Cyklofosfamid (DRC) +/-
Bortezomib v primoléčbě pacientů
s Waldenströmovou makroglobulinémií

Waldenströmova makroglobulinémie

Hlavní vstupní kritéria

- Klinicko-patologická diagnóza WM
- Biologický materiál odeslaný do národního referenčního centra
- CIRS skóre <6, ECOG 0-2
- Adekvátní laboratorní hodnoty
- Přítomnost alespoň jednoho z kritérií:
 - Horečka, noční pocení, hubnutí, únava,
 - Hyperviskozita, spleno- či hepatomegalie, organomegalie
 - Periferní neuropatie, kryoglobulinémie, lymfadenopatie
 - Nefropatie, amyloidóza
 - Anémie, trombocytopenie, M-protein v séru nad 5 g/l

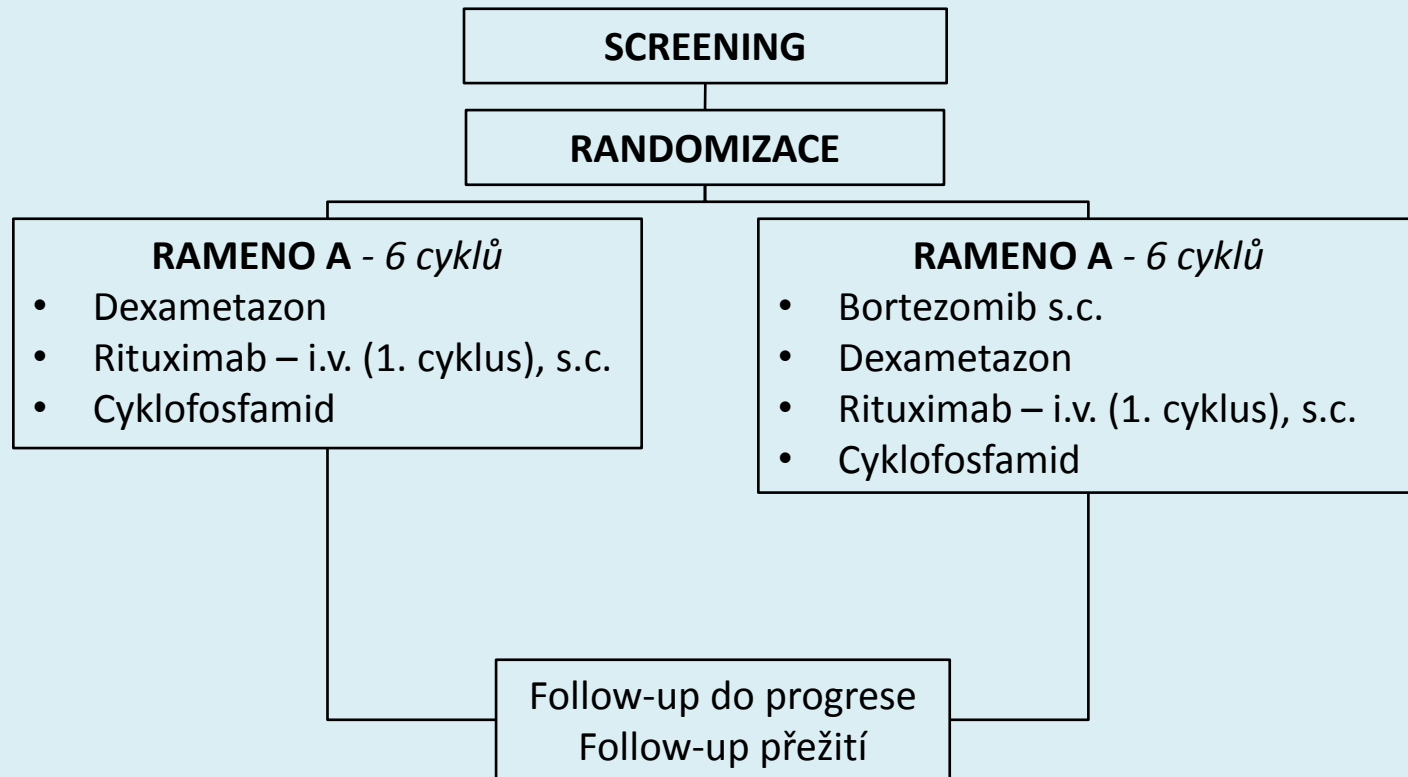
Waldenströmová makroglobulinémie

Hlavní vylučovací kritéria

- Předěšlá terapie WM
- Hypersenzitivita na dexametazon
- Nekontrolovatelná infekce
- Postižení CNS lymfomem
- Onemocnění srdce (NYHA III-IV)
- Nekontrolovatelný diabetes mellitus
- Neuropatie stupně 2 a více

Waldenströмова makroglobulinémie

Schéma protokolu



Waldenströmova makroglobulinémie

Transport vzorků – bioptický materiál

**V den odběru odeslat taxíkem do Biobanky FN
Ostrava**

- váleček KD fixovaný ve formalínu
- 4x nátěr KD (nebarvený)
- 4x nátěr PK (nebarvený)



Materiál bude z FN Ostrava odeslán do Ulmu

Waldenströmova makroglobulinémie

Dobrovolné vzorky

**V den odběru odeslat taxíkem do Biobanky FN
Ostrava**

- 15 ml PK
- 15 ml KD

Skladovat na centru

- 2 x ml séra
- 5 ml plazmy

Děkuji za pozornost!