Literatura ACTA MEDICINAE 4/2019 Kazuistiky v onkologii a hematoonkologii

2 Oxykodon IR: nová forma opioidu s okamžitým uvolňováním
doc. MUDr. Jitka Fricová, Ph.D.
Klinika anesteziologie, resuscitace a intenzivní medicíny, Centrum pro léčbu bolesti 1. LF UK a VFN, Praha

2 Osimertinib v léčbě nemalobuněčného bronchogenního karcinomu s prokázanou mutací T790M
MUDr. Helena Čoupková | MUDr. Ondřej Bílek Klinika komplexní onkologické péče, Masarykův onkologický ústav, Brno
RNDr. Jan Mužík, Ph.D. | prof. RNDr. Ladislav Dušek, Ph.D. | RNDr. Denisa Krejčí | Mgr. Ivana Svobodová Institut biostatistiky a analýz, LF MU, Brno, Ústav zdravotnických informací a statistiky ČR, Praha

2 Kazuistika s dlouhodobou léčebnou odpovědí na terapii axitinibem
MUDr. Igor Richter, Ph.D. Onkologické oddělení, Krajská nemocnice Liberec, a. s., Onkologická klinika 1. LF UK a Thomayerovy nemocnice, Praha
doc. MUDr. Josef Dvořák, Ph.D. Onkologická klinika 1. LF UK a Thomayerovy nemocnice, Praha

2 Sunitinib v sekvenční léčbě metastatického gastrointestinálního tumoru žaludku u pacientky s metachronním bazaliomem obličeje aneb mýty a omyly v diagnostice a léčbě solidních nádorů
doc. MUDr. Ilona Kocáková, Ph.D. Klinika komplexní onkologické péče MOÚ, Brno

2 Pacient s generalizovaným papilárním karcinomem v solitární ledvině
MUDr. Josef Gruna Komplexní onkologické centrum Nemocnice Nový Jičín

3 Využití enzalutamidu v „pre-chemo" indikaci u pacienta s výraznými komorbiditami
MUDr. Miroslav Hodek, Ph.D. Klinika onkologie a radioterapie FN Hradec Králové

3 Léčba ribociclibem u pacientky s metastatickým karcinomem prsu
MUDr. Dagmar Brančíková, Ph.D. Interní hematologická a onkologická klinika LF MU a FN Brno

3 Cílená léčba generalizovaného maligního melanomu s prokázanou BRAF mutací
MUDr. Michaela Fridrichová Ústav radiační onkologie Nemocnice Na Bulovce, Praha

3 Dlouhodobá léčba pacienta s adenokarcinomem gastroezofageální junkce paklitaxelem s ramucirumabem v rámci druhé linie
MUDr. Michal Eid Interní hematologická a onkologická klinika FN Brno, LF MU, Brno

3 Dlouhodobé přežívání pacientky s ALK pozitivním metastatickým adenokarcinomem plic
MUDr. Renata Jirásková Klinika tuberkulózy a respiračních nemocí 1. LF UK a VFN, Praha, Onkologická klinika 1. LF UK a VFN, Praha
MUDr. Ilona Roušalová, Ph.D. Klinika tuberkulózy a respiračních nemocí 1. LF UK a VFN, Praha

3 Enoxaparin v prevenci a terapii tromboembolické nemoci u onkologických pacientů
doc. MUDr. Tomáš Kvasnička, CSc. Trombotické centrum, ÚLBLD VFN a 1. LF UK, Praha

4 Pacientka s Gaucherovou nemocí
MUDr. Hana Ptoszková Klinika dětského lékařství FN Ostrava

4 Lonoctocog alfa v managementu léčby hemofilie A
MUDr. Tomáš Šimurda, Ph.D. | prof. MUDr. Ján Staško, Ph.D. | prof. MUDr. Peter Kubisz, DrSc.
Národné centrum hemostázy a trombózy, Klinika hematológie a transfuziológie JLF UK a UN Martin

4 Úspěšná léčba daratumumabem u silně předléčené pacientky s refrakterním a relabovaným mnohočetným myelomem
MUDr. Martin Štork | MUDr. Ivanna Boichuk Interní hematologická a onkologická klinika, FN Brno
MUDr. Alexandra Litavcová Klinika radiologie a nukleární medicíny, FN Brno
prof. MUDr. Zdeněk Adam, CSc. Interní hematologická a onkologická klinika, FN Brno

Oxykodon IR: nová forma opioidu s okamžitým uvolňováním

doc. MUDr. Jitka Fricová, Ph.D.

Klinika anesteziologie, resuscitace a intenzivní medicíny, Centrum pro léčbu bolesti 1. LF UK a VFN, Praha

1 A Study to Demonstrate Improvement in Symptoms of Constipation in Subjects That Require Around-the-clock Opioid Pain Killer Therapy. ClinicalTrials.gov Identifier: NCT01438567. Dostupné z: https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT01438567, vyhledáno 18. 3. 2019.
2 **Thibault, K. – Calvino, B. – Rivals, I., et al.**: Molecular mechanisms underlying the enhanced analgesic effect of oxykodone compared to morphine in chemotherapy-induced neuropathic pain. *PLoS One*, 2014, 9, e91297.
3 **Nakamura, A. – Hasegawa, M. – Minami, K., et al.**: Differential activation of the mu-opioid receptor by oxycodone and morphine in pain-related brain regions in a bone cancer pain model. *Br J Pharmacol*, 2013, 168, s. 375–388.
4 **Söderberg Löfdal, K. C. – Andersson, M. L. – Gustafsson, L. L.**: Cytochrome P450-mediated changes in oxycodone pharmacokinetics/pharmacodynamics and their clinical implications. *Drugs*, 2013, 73, s. 533–543.
5 **Kokki, H. – Kokki, M.**: Central nervous system penetration of the opioid oxycodone. In: Preedy, V. R. (ed): *Neuropathology of drug addictions and substance misuse*. 2016, s. 3, New York, Academic.
6 **Lalovic, B. – Kharasch, E. – Hoffer, C., et al.**: Pharmacokinetics and pharmacodynamics of oral oxycodone in healthy human subjects: role of circulating active metabolites. *Clin Pharmacol Ther*, 2006, 79, s. 461–479.
7 **Walter, C. – Knothe, C. – Lotsch, J.**: Abuse-deterrent opioid formulations: pharmacokinetic and pharmacodynamic considerations. *Clin Pharmacokinet*, 2016, 55, s. 751–767.
8 **O'Brien, T. – Christrup, L. L. – Drewes, A. M., et al.**: European Pain Federation position paper on appropriate opioid use in chronic pain management. *Eur J Pain*, 2017, 21, s. 3–19.
9 **Fricová, J. – Hakl, M.**: Metodické pokyny pro farmakoterapii bolesti. *Bolest*, 2017, 19, s. 1–28.
10 **Curry, S. C. – Watts, D. J. – Katz, K. D., et al.**: The effect of single-dose tramadol on oxycodone clearance. *J Emerg Med*, 2007, 33, s. 407–411.
11 **Pöyhiä, R. – Seppälä, T. – Olkkola, K. T., et al.**: The pharmacokinetics and metabolism of oxycodone after intramuscular and oral administration to healthy subjects. *Br J Clin Pharmacol*, 1992, 33, s. 617–621.
12 SPC Oxycodon STADA 5 mg, dostupné z: http://www.sukl.cz/modules/medication/detail.php?code=0172782&tab=texts, vyhledáno 18. 3. 2019.

Osimertinib v léčbě nemalobuněčného bronchogenního karcinomu s prokázanou mutací T790M

MUDr. Helena Čoupková | MUDr. Ondřej Bílek Klinika komplexní onkologické péče, Masarykův onkologický ústav, Brno

RNDr. Jan Mužík, Ph.D. | prof. RNDr. Ladislav Dušek, Ph.D. | RNDr. Denisa Krejčí | Mgr. Ivana Svobodová Institut biostatistiky a analýz, LF MU, Brno, Ústav zdravotnických informací a statistiky ČR, Praha

1 Národní onkologický registr, Ústav zdravotnických informací a statistiky ČR.
2 **Zatloukal, P. – Petruželka, L.**: *Karcinom plic*. Praha, Grada Publishing, 2001, s. 367.
3 **Svoboda, M. – Fabian, P. – Slabý, O., et al.**: Cílená léčba bronchioloalveolárního plicního adenokarcinomu inhibitory tyrosinkinázové aktivity EGFR: kazuistika klinicky promptní a výrazné odpovědi a přehled literatury. *Klin Onkol*, 2010, 23, s. 224–230.
4 **Fiala, O. – Šatánková, M. – Kultan, J., et al.**: Výskyt mutací genu EGFR u pacientů s NSCLC v České republice. *Onkologie*, 2014, 8, s. 156–159.
5 **Rosell, R. – Carcereny, E. – Gervais, R., et al.**: Erlotinib versus standard chemotherapy as first-line treatment for European patients with advanced EGFR mutation-positive non-small-cell lung cancer (EURTAC): a multicentre, open-label, randomised phase 3 trial. *Lancet Oncol*, 2012, 13, s. 239–246.
6 **Maemondo, M. – Inoue, A. – Kobayashi, K., et al.**: Gefitinib or chemotherapy for non-small-cell lung cancer with mutated EGFR. *N Engl J Med*, 2010, 362, s. 2380–2388.
7 **Sequist, L. V. – Yang, J. Ch.-H. – Yamamoto, N., et al.**: Phase III study of afatinib or cisplatin plus pmetrexed in patients with metastatic lung adenocarcinoma with EGFR mutations. *J Clin Oncol*, 2013, 31, s. 3327–3334.
8 **Stewart, E. L. – Tan, S. Z. – Liu, G., et al.**: Known and putative mechanisms of resistance to EGFR targeted therapies in NSCLC patients with EGFR mutations – a review. *Transl Lung Cancer Res*, 2015, 4, s. 67–81.
9 **Mok, T. S. – Wu, Y-L. – Ahn, M.-J. – et al.**: Osimertinib or platinum–pemetrexed in EGFR T790M-positive lung cancer. *N Engl J Med*, 2017, 376, s. 629–640.
10 SUKL.cz, souhrn údajů o přípravku Tagrisso, Státní ústav pro kontrolu léčiv, Česká republika. Dostupné z: https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/tagrisso-epar-product-information_cs.pdf, vyhledáno 9. 3. 2019.
11 **Soria, J.-C. – Ohe, Y. – Vansteenkiste, J., et al.**: Osimertinib in untreated EGFR-mutated advanced non-small-cell lung cancer. *N Engl J Med*, 2018, 378, s. 113–125.

Kazuistika s dlouhodobou léčebnou odpovědí na terapii axitinibem

MUDr. Igor Richter, Ph.D. Onkologické oddělení, Krajská nemocnice Liberec, a. s., Onkologická klinika 1. LF UK a Thomayerovy nemocnice, Praha

doc. MUDr. Josef Dvořák, Ph.D. Onkologická klinika 1. LF UK a Thomayerovy nemocnice, Praha

1 **Hu-Lowe, D. D. – Zou, H. Y. – Grazzini, M. L., et al.**: Nonclinical antiangiogenesis and antitumor activities of axitinib (AG-013736), an oral, potent, and selective inhibitor of vascular endothelial growth factor receptor tyrosine kinases 1, 2, 3. *Clin Cancer Res*, 2008, 14, s. 7272–7283.
2 **Rini, B. I. – Escudier, B. – Tomczak, P., et al.**: Comparative effectiveness of axitinib versus sorafenib in advanced renal cell carcinoma (AXIS): a randomised phase 3 trial. *Lancet*, 2011, 378, s. 1931–1939.
3 **Motzer, R. J. – Escudier, B. – Tomczak, P., et al.**: Axitinib versus sorafenib as second-line treatment for advanced renal cell carcinoma: overall survival analysis and updated results from a randomised phase 3 trial. *Lancet Oncol*, 2013, 14, s. 552–562.
4 **Escudier, B. – Michaelson, M. D. – Motzer, R. J., et al.**: Axitinib versus sorafenib in advanced renal carcinoma: subanalyses by prior therapy from a randomised phase III trial. *BJC*, 2014, 110, s. 2821–2828.

Sunitinib v sekvenční léčbě metastatického gastrointestinálního tumoru žaludku u pacientky s metachronním bazaliomem obličeje aneb mýty a omyly v diagnostice a léčbě solidních nádorů

doc. MUDr. Ilona Kocáková, Ph.D. Klinika komplexní onkologické péče MOÚ, Brno

1 **Demetri, G. D., et al.**: Efficacy and safety of imatinib mesylate in advanced gastrointestinal stromal tumors. *N Engl J Med*, 2002, 347, s. 472–480.
2 **Blanke, C. D., et al.**: Phase III randomized, intergroup trial assessing imatinib mesylate at two dose levels in patients with unresectable or metastatic gastrointestinal stromal tumors expressing the kit receptor tyrosine kinase: S0033. *J Clin Oncol*, 2008, 26, s. 626–632.
3 **George, S., et al.**: Efficacy and safety of regorafenib for advanced gastrointestinal stromal tumours after failure of imatinib and sunitinib (GRID); an international, multicentre, randomised, placebo-controlled, phase 3 trial. *Lancet*, 2013, 381, s. 295–302.

Pacient s generalizovaným papilárním karcinomem v solitární ledvině

MUDr. Josef Gruna Komplexní onkologické centrum Nemocnice Nový Jičín

1 **Vyzula, R., et al.**: *Modrá kniha České onkologické společnosti*. Masarykův onkologický ústav, Brno, 2013.
2 **Escudier, B. – Eisen, T. – Porta, C., et al.**: Renal cell carcinoma: ESMO Clinical Practice Guidelines for diagnosis, treatment and follow-up. *Ann Oncol*, 2012, 23, s. vii65–vii71.

Využití enzalutamidu v „pre-chemo“ indikaci u pacienta s výraznými komorbiditami

MUDr. Miroslav Hodek, Ph.D. Klinika onkologie a radioterapie FN Hradec Králové

1 **James, N. D., et al.**: Addition of docetaxel, zoledronic acid, or both to first-line long-term hormone therapy in prostate cancer (STAMPEDE): survival results from an adaptive, multiarm, multistage, platform randomised controlled trial. *Lancet*, 2016, 387, s. 1163–1177.
2 **Sweeney, C. J., et al.**: Chemohormonal therapy in metastatic hormone-sensitive prostate cancer. *N Engl J Med*, 2015, 373, s. 737–746.
3 **Cornford, P., et al.**: EAU-ESTRO-SIOG Guidelines on Prostate Cancer. Part II: Treatment of relapsing, metastatic, and castration-resistant prostate cancer. *Eur Urol*, 2017, 71, s. 630–642.
4 **Tannock, I. F., et al.**: Docetaxel plus prednisone or mitoxantrone plus prednisone for advanced prostate cancer. *N Engl J Med*, 2004, 351, s. 1502–1512.
5 **Berthold, D. R., et al.**: Docetaxel plus prednisone or mitoxantrone plus prednisone for advanced prostate cancer: updated survival in the TAX 327 study. *J Clin Oncol*, 2008, 26, s. 242–245.
6 **Ryan, C. J. – Smith, M. R. – de Bono, J. S., et al.**: Abiraterone in metastatic prostate cancer. *N Engl J Med*, 2013, 368, s. 138–148.
7 **Beer, T. M., et al.**: Enzalutamide in metastatic prostate cancer before chemotherapy. *N Engl J Med*, 2014, 371, s. 424–433.
8 Janssen-Cilag, souhrn údajů o přípravku Zytiga 500 mg, březen 2019; dostupné z: https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/zytiga-epar-product-information_cs.pdf, vyhledáno 12. 3. 2019.
9 Astellas, souhrn údajů o přípravku Xtandi 40 mg, 2019, dostupné z: https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/xtandi-epar-product-information_cs.pdf, vyhledáno 12. 3. 2019.

Léčba ribociclibem u pacientky s metastatickým karcinomem prsu

MUDr. Dagmar Brančíková, Ph.D. Interní hematologická a onkologická klinika LF MU a FN Brno

1 **Balmana, J. – Diez, O. – Rubio, I. T., et al.**: ESMO Guidelines Working Group. BRCA in breast cancer: ESMO Clinical Practice Guidelines. *Ann. Oncol*, 2011, 22, s. vi31–vi34.
2 **Hortobagyi, G. – Stemmer, S. – Burris, H., et al.**: Ribociclib as first-line therapy for HR-positive, advanced breast cancer. *N Engl J Med*, 2016, 375, s. 1738–1748.
3 **Verma, S. – O'Shaughnessy, J. – Burris, H., et al.**: Health-related quality of life (HRQoL) of postmenopausal women with hormone receptor-positive (HR+), human epidermal growth factor receptor 2-negative (HER2–) advanced breast cancer (ABC) treated with ribociclib + letrozole: results from MONALEESA-2. *J ClinOncol*, 2017, 35, abstrakt 1020.
4 **Tung, N. – Wang, Y. – Collins, L., et al.**: Estrogen receptor positive breast cancers in BRCA1 mutation carriers: clinical risk factors and pathologic features. *Breast Cancer Res*, 2010, 12, s. R12.
5 National Comprehensive Cancer Network, NCCN: *Clincial Practice Guidelines in Oncology: Breast Cancer*, version 1.2018.
6 **Quesnel, C. – Savard, J. – Ivers, H.**: Cognitive impairments associated with breast cancer treatments: results from a longitudinal study. *Breast Cancer Res Treat*, 2009, 116, s. 113.
7 **Miwa, M. – Ura, M. – Nishida, M., et al.**: Design of a novel oral fluoropyrimidine carbamate, capecitabine, which generates 5-fluorouracil selectively in tumours by enzymes concentrated in human liver and cancer tissue. *Eur J Cancer*, 1998, 34, s. 1274–1281.

Cílená léčba generalizovaného maligního melanomu s prokázanou BRAF mutací

MUDr. Michaela Fridrichová Ústav radiační onkologie Nemocnice Na Bulovce, Praha

1 **Larkin, J. – Ascierto, P. A. – Dréno, B., et al.**: Combined vemurafenib and cobimetinib in BRAF-mutated melanoma. *N Engl J Med*, 2014, 371, s. 1867–1876.
2 **Ascierto, P. A. – McArthur, G. A. – Dréno, B., et al.**: Cobimetinib combined with vemurafenib in advanced BRAF(V600)-mutant melanoma (coBRIM): updated efficacy results from a randomised, double-blind, phase 3 trial. *Lancet Oncol*, 2016, 17, s. 1248–1260.

Dlouhodobá léčba pacienta s adenokarcinomem gastroezofageální junkce paklitaxelem s ramucirumabem v rámci druhé linie

MUDr. Michal Eid Interní hematologická a onkologická klinika FN Brno, LF MU, Brno

1 **Buas, M. F. – Vaughan, T. L.**: Epidemiology and risk factors for gastroesophageal junction tumors: understanding the rising incidence of this disease. *Semin Radiat Oncol*, 2013, 23, s. 3–9.
2 **Wilke, H. – Muro, K. – Van Cutsem, E., et al.**: Ramucirumab plus paclitaxel versus placebo plus paclitaxel in patients with previously treated advanced gastric or gastro-oesophageal junction adenocarcinoma (RAINBOW): a double-blind, randomised phase 3 trial. *Lancet Oncol*, 2014, 15, s. 1224–1235.

Dlouhodobé přežívání pacientky s ALK pozitivním metastatickým adenokarcinomem plic

MUDr. Renata Jirásková Klinika tuberkulózy a respiračních nemocí 1. LF UK a VFN, Praha, Onkologická klinika 1. LF UK a VFN, Praha
MUDr. Ilona Roušalová, Ph.D. Klinika tuberkulózy a respiračních nemocí 1. LF UK a VFN, Praha

1 **Paez, J. G. – Janne, P. A. – Lee, J. C., et al.**: EGFR mutations in lung cancer: correlation with clinical response to gefitinib therapy. *Science*, 2004, 304, s. 1497–1500.
2 **Soda, M. – Choi, Y. L. – Enomoto, M., et al.**: Identification of the transforming EML4-ALK fusion gene in non-smal-cell lung cancer. *Nature*, 2007, 448, s. 561–566.
3 **Costa, D. B. – Shaw, A. T. – Ou, S. H., et al.**: Clinical experience with crizotinib in patients with advanced ALK rearranged non small cell lung cancer and brain metastases in PROFILE 1005 and PROFILE 1007. *J Thorac Oncol*, 2013, 8, suppl. 2, s. S294–S295.
4 **Solomon, B. J. – Mok, T. – Kim, D. W., et al.**: First-line crizotinib versus chemotherapy in ALK-positive lung cancer. *N Engl J Med*, 2014, 371, s. 2167–2177.
5 **Shaw, A. T. – Kim, D. W. – Nakagawa, K., et al.**: Crizotinib versus chemotherapy in advanced ALK-positive lung cancer. *N Engl J Med*, 2013, 368, s. 2385–2394.
6 **Sakamoto, H., et al.**: Cancer Cell. 2011;19:679-690.; Kodama T, et al. Mol Cancer Ther. 2014;13:2910-2918; Kodama T, et al. Cancer Chemother Pharmacol. 2014;74:1023–1028.
7 **Peters, S., et al.**: Alectinib versus crizotinib in untreated ALK-positive non-small-cell lung cancer. *NEJM*, 2017, 377, s. 829–838.

Enoxaparin v prevenci a terapii tromboembolické nemoci u onkologických pacientů

doc. MUDr. Tomáš Kvasnička, CSc. Trombotické centrum, ÚLBLD VFN a 1. LF UK, Praha

1 **Agnelli, G. – Sonaglia, F.**: Prevention of venous thrombosis. *Thrombosis Res*, 2000, 97, s. 49–62.
2 **Beer, H. J. – Burger, M. – Gretener, S., et al.**: Outpatient treatment of pulmonary embolism is feasible and safe in a substantial proportion of patients. *J Thromb Haemost*, 2003, 1, s. 186–187.
3 **Breddin, H. K. – Hach-Wunderle, V. – Nakov, R., et al.**; the CORTES Investigators: Effects of a LMWH on thrombus regression and recurrent thromboembolism in patients with deep vein thrombosis. *N Engl J Med*, 2001, 344, s. 626–631.
4 **Hirsh, J. – Warkentin, T. E. – Shaughnessy, S. G., et al.**: Heparin and low molecular weight heparin. *Chest*, 2001, 119, s. 64–94.
5 **Hull, R. D. – Townshend, G.**: Long-term treatment of deep-vein thrombosis with low-molecular-weight heparin: an update of the evidence. *Thromb Haemost*, 2013, 10, s. 14–22.
6 **Hyers, T. M. – Agnelli, G. – Hull, R. D., et al.**: Antithrombotic therapy for venous thromboembolic disease. *Chest*, 2001, 119, suppl. 1, s. 176S–193S.
7 **Kearon, C. – Akl, E. A. – Ornelas, J., et al.**: Antithrombotic therapy for VTE disease: CHEST Guideline and Expert Panel Report. *Chest*, 2016, 149, s. 315–352.
8 **Korkmaz, M. E.**: Low-molecular-weight heparins in acute coronary syndromes. *Curr Vasc Pharmacol*, 2003, 1, s. 259–271.
9 **Lee, A. Y. – Levine, M. N. – Baker, R. I., et al.**: Randomized comparison of low-molecular-weight heparin versus oral anticoagulant therapy

for the prevention of recurrent venous thromboembolism in patients with cancer (CLOT) investigators. Low-molecular-weight heparin versus a coumarin for the prevention of recurrent venous thromboembolism in patients with cancer. *N Engl J Med*, 2003, 349, s. 109–111.
10 **Turpie, A. G. – Norris, T. M.**: Thromboprophylaxis in medical patients, the role of low-molecular-weight heparin. *Thromb Haemost*, 2004, 92, s. 3–12.
11 **Wells, P. S. – Forgie, M. A. – Rodger, M. A.**: Treatment of venous thromboembolism. *JAMA*, 2014, 311, s. 717–728.
12 **Welzel, D. – Hull, R. – Fareed, J.**: Prophylaxis of venous thromboembolism: low molecular weight heparin compared to the selective anticoagulants rivaroxaban, dabigatran and fondaparinux. *Int Angiol*, 2011, 30, s. 199–211.
13 **Zenáhlíková, Z. – Kvasnička, J. – Kudrnová, Z., et al.**: FXa inhibition and coagulation changes during DVT prophylaxis by enoxaparin over the course of a 15-day follow-up in septic patients. *Clin Appl Thromb Hemost*, 2010, 16, s. 584–590.

Pacientka s Gaucherovou nemocí

MUDr. Hana Ptoszková Klinika dětského lékařství FN Ostrava

1 **Honzík, T. – Zeman, J.**: *Dědičné poruchy metabolismu v kazuistikách*, 2016, Mladá fronta, Praha, s. 260.
2 **Kulhánek, J. – Malinová, V. – Honzík, T. – Magner, M.**: Enzymová substituční terapie u lysosomálních onemocnění. *Československá pediatrie*, 2015, 70, s. 224–231.
3 **Malinová, V. – Mazurová, S. – Dvořáková, L.**: Gaucherova nemoc a lysosomální onemocnění – současné možnosti diagnostiky a léčby. *Remedia*, 2016, 26, s. 268–276.
4 **Ion**: Splenomegalie vždy něco znamená – třeba Gaucherovu nemoc, *Medical Tribune*, 2016, 12, s. C1–C2.
5 **Malinová V.**: Morbus Gaucher: Vzácná onemocnění. *Solen*, 2013, s. 6–21.
6 **Dandana, A. – Ben Khelifa, S. – Chahed, H., et al.**: Gaucher disease: clinical, biological and therapeutic aspects. *Pathobiology*, 2016, 83, s. 13–23.
7 **Thomas, A. S. – Mehta, A. – Hughes, D. A., et al.**: Gaucher disease: haematological presentations and complications. *Br J Haematol*, 2014, 165, s. 427–440.

Lonoctocog alfa v managementu léčby hemofilie A

MUDr. Tomáš Šimurda, Ph.D. | prof. MUDr. Ján Staško, Ph.D. | prof. MUDr. Peter Kubisz, DrSc.
Národné centrum hemostázy a trombózy, Klinika hematológie a transfuziológie JLF UK a UN Martin

1 **Franchini, M. – Mannucci, P. M.**: The history of hemophilia. *Semin Thromb Hemost*, 2014, 40, s. 571–576.
2 Srivastava, A. – Brewer, A. K. – Mauser-Bunschoten, E. P., et al.: Treatment Guidelines Working Group on Behalf of The World Federation Of Hemophilia: Guidelines for the management of hemophilia. *Haemophilia*, 2013, 19, s. 1–47.
3 **Raso, S. – Hermans, C.**: Lonoctocog alfa (rVIII-SingleChain) for the treatment of haemophilia A. *Expert Opin Biol Ther*, 2018, 18, s. 87–94.
4 **Lambert, T. – Benson, G. – Dolan, G., et al.**: Practical aspects of extended half-life products for the treatment of haemophilia. *Ther Adv Hematol*, 2018, 9, s. 295–308.
5 **Mahlangu, J. – Kuliczkowski, K. – Karim, F. A., et al.**: Efficacy and safety of rVIII-SingleChain: results of a phase 1/3 multicenter clinical trial in severe hemophilia A. *Blood*, 2016, 128, s. 630–637.
6 **Zhang, Y. – Roberts, J. – Tortorici, M., et al.**: Population pharmacokinetics of recombinant coagulation factor VIII-SingleChain in patients with severe hemophilia A. *J Thromb Haemost*, 2017, 15, s. 1106–1114.
7 **Goldmann, G. – Olivieri, M. – Oldenburg, J., et al.**: Real-world clinical experience of switching to rVIII-SingleChain in adults/adolescents and paediatric patients with haemophilia A [Poster]. *Br J Learn Dis*, 2019, 12th Annual Congress The European Association for Haemophilia and Allied Disorders, 5.–8. 2. 2019, Praha, Česká republika.
8 **Mahlangu, J. – Faraizah, A. K. – Khayat, C. D., et al.**: Safety and efficacy of rVIII-SingleChain in surgical prophylaxis: Results from 43 surgeries [Poster]. *Br J Learn Dis*, 12th Annual Congress The European Association for Haemophilia and Allied Disorders, 5.–8. 2. 2019, Praha, Česká republika.
9 **Stasyshyn, O. – Khayat, C. D. – Iosava, G., et al.**: Safety, efficacy and pharmacokinetics of rVIII-SingleChain in children with severe hemophilia A: results of a multicenter clinical trial. *J Thromb Haemost*, 2017, 15, s. 636–644.
10 **Mahlangu, J. – Faraizah, A. K. – Stasyshyn, O., et al.**: Long-term safety and efficacy of rVIII-SingleChain in patients with severe haemophilia A: Interim results from a phase 3b extension study [Poster]. *Br J Learn Dis*, 12th Annual Congress The European Association for Haemophilia and Allied Disorders, 5.–8. 2. 2019, Praha, Česká republika.

Úspěšná léčba daratumumabem u silně předléčené pacientky s refrakterním a relabovaným mnohočetným myelomem

MUDr. Martin Štork | MUDr. Ivanna Boichuk Interní hematologická a onkologická klinika, FN Brno
MUDr. Alexandra Litavcová Klinika radiologie a nukleární medicíny, FN Brno
prof. MUDr. Zdeněk Adam, CSc. Interní hematologická a onkologická klinika, FN Brno

1 **Rajkumar, S. V. – Kumar, S.**: Multiple myeloma: diagnosis and treatment. *Mayo Clin Proc*, 2016, 91, s. 101–119.
2 **Rajkumar, S. V. – Harousseau, J. L. – Durie, B., et al.**; International Myeloma Workshop Consensus Panel 1: Consensus recommendations for the uniform reporting of clinical trials: report of the International Myeloma Workshop Consensus Panel 1. *Blood*, 2011, 117, s. 4691–4695.
3 **Nooka, A. K. – Kastritis, E. – Dimopoulos, M. A., et al.**: Treatment options for relapsed and refractory multiple myeloma. *Blood*, 2015, 125, s. 3085–3099.
4 **van de Donk, N. W. – Janmaat, M. L. – Mutis, T., et al.**: Monoclonal antibodies targeting CD38 in hematological malignancies and beyond. *Immunol Rev*, 2016, 270, s. 95–112.
5 **Lonial, S. – Weiss, B. M. – Usmani, S. Z., et al.**: Daratumumab monotherapy in patients with treatment-refractory multiple myeloma (SIRIUS): an open-label, randomised, phase 2 trial. *Lancet*, 2016, s. 1151–1160
6 **Lokhorst, H. M. – Plesner, T. – Laubach, J. P., et al.**: Targeting CD38 with daratumumab monotherapy in multiple myeloma. *N Engl J Med*, 2015, 373, s. 1207–1219.
7 **Palumbo, A. – Chanan-Khan, A. – Weisel, K., et al.**: Daratumumab, bortezomib, and dexamethasone for multiple myeloma. *N Engl J Med*, 2016, 375, s. 754–766.
8 **Dimopoulos, M. A. – Oriol, A. – Nahi, H., et al.**: Daratumumab, lenalidomide, and dexamethasone for multiple myeloma. *N Engl J Med*, 2016, 375, s. 1319–1331.
9 **Mateos, M. V. – Dimopoulos, M. A. – Cavo, M., et al.**: Daratumumab plus bortezomib, melphalan, and prednisone for untreated myeloma. *N Engl J Med*, 2018, 378, s. 518–528
10 **Facon, T. – Kumar, S. K. – Plesner, T., et al.**: Phase 3 randomized study of daratumumab plus lenalidomide and dexamethasone (D-Rd) versus lenalidomide and dexamethasone (Rd) in patients with newly diagnosed multiple myeloma (NDMM) ineligible for transplant (MAIA). Dostupné z: https://ash.confex.com/ash/2018/webprogram/Paper120737.html, vyhledáno 15. 3. 2019.
11 **Lee, H. C. – Shah, J. J. – Orlowski, R. Z.**: Novel approaches to treatment of "double-refractory" multiple myeloma. *Am Soc Clin Oncol Educ Book*, 2013, 2013, s. 302–306.
12 **San Miguel, J. – Weisel, K. – Moreau, P., et al.**: Pomalidomide plus low-dose dexamethasone versus high-dose dexamethasone alone for patients with relapsed and refractory multiple myeloma (MM-003): a randomised, open-label, phase 3 trial. *Lancet Oncol*, 2013, 14, s. 1055–1066.
13 **Hájek, R. – Masszi, T. – Petrucci, M. T., et al.**: A randomized phase III study of carfilzomib vs low-dose corticosteroids with optional cyclophosphamide in relapsed and refractory multiple myeloma (FOCUS). *Leukemia*, 2017, 31, s. 107–114.
14 **Dimopoulos, M. A. – Moreau, P. – Palumbo, A., et al.**: Carfilzomib and dexamethasone versus bortezomib and dexamethasone for patients with relapsed or refractory multiple myeloma (ENDEAVOR): a randomised, phase 3, open-label, multicentre study. *Lancet Oncol*, 2016, 17, s. 27–38.
15 **Stewart, A. K. – Rajkumar, S. V. – Dimopoulos, M. A., et al.**: Carfilzomib, lenalidomide, and dexamethasone for relapsed multiple myeloma. *N Engl J Med*, 2015, 372, s. 142–152.
16 **Shah, J. J. – Stadtmauer, E. A. – Abonour, R., et al.**: Carfilzomib, pomalidomide, and dexamethasone for relapsed or refractory myeloma. *Blood*, 2015, 126, s. 2284–2290.
17 **Knopf, K. B. – Duh, M. S. – Lafeuille, M. H., et al.**: Meta-analysis of the efficacy and safety of bortezomib re-treatment in patients with multiple myeloma. *Clin Lymphoma Myeloma Leuk*, 2014, 14, s. 380–388.
18 **Stork, M. – Sevcikova, S. – Adam, Z., et al.**: Retreatment with lenalidomide is an effective option in heavily pretreated refractory multiple myeloma patients. *Neoplasma*, 2018, 65, s. 585–591.
19 **Park, S. – Lee, S. J. – Jung, C. W., et al.**: DCEP for relapsed or refractory multiple myeloma after therapy with novel agents. *Ann Hematol*, 2014, 93, s. 99–105.
20 **Cook, G. – Williams, C. – Brown, J. M., et al.**; National Cancer Research Institute Haemato-oncology Clinical Studies Group: High-dose chemotherapy plus autologous stem-cell transplantation as consolidation therapy in patients with relapsed multiple myeloma after previous autologous stem-cell transplantation (NCRI Myeloma X Relapse [Intensive trial]): a randomised, open-label, phase 3 trial. *Lancet Oncol*, 2014, 15, s. 874–885.
21 **Michaelis, L. C. – Saad, A., et al.**: Salvage second hematopoietic cell transplantation in myeloma. *Biol Blood Marrow Transplant*, 2013, 19, s. 760–766.
22 **Sonneveld, P. – Avet-Loiseau, H. – Lonial, S., et al.**: Treatment of multiple myeloma with high-risk cytogenetics: a consensus of the International Myeloma Working Group. *Blood*, 2016, 127, s. 2955–2962.
23 **Caillon, H. – Attal, M. – Avet-Loiseau, H., et al.**: Free light chain escape in multiple myeloma: an exceptional phenomenon. *Blood*, 2016, 128, s. 4428.
24 **Usmani, S. Z. – Weiss, B. M. – Plesner, T., et al.**: Clinical efficacy of daratumumab monotherapy in patients with heavily pretreated relapsed or refractory multiple myeloma. *Blood*, 2016, 128, s. 37–44.
25 **van der Veer, M. S. – de Weers, M. – van Kessel, B., et al.**: Towards effective immunotherapy of myeloma: enhanced elimination of myeloma cells by combination of lenalidomide with the human CD38 monoclonal antibody daratumumab. *Haematologica*, 2011, 96, s. 284–290.
26 **Weisel, K. C. – San Miguel, J. – Cook, G., et al.**: Efficacy of daratumumab in combination with lenalidomide plus dexamethasone (DRd) or bortezomib plus dexamethasone (DVd) in relapsed or refractory multiple myeloma (RRMM) based on cytogenetic risk status [abstract]. *J Clin Oncol*, 2017, 35, suppl. 15, s. 8006.
27 **Walker, B. A. – Wardell, C. P. – Melchor, L., et al.**: Intraclonal heterogeneity is a critical early event in the development of myeloma and precedens the development of clinical symptoms. *Leukemia*, 2014, 28, s. 384–390.