proLékaře.cz | 1.11.2026

17. LÉČBA AL AMYLOIDÓZY – ZÁVĚREČNÁ DOPORUČENÍ

17.1 Léčebná odpověď

Cílem léčby je dosáhnout kompletní hematologické léčebné odpovědi (CR), což je předpokladem pro zastavení poškozování orgánů depozity volných lehkých řetězců a nastartování reparačních mechanismů, které vedou k orgánové léčebné odpovědi (stupeň doporučení B, úroveň důkazu IIa).

17.2 Standardní chemoterapie

Kombinace alkylačního cytostatika s kortikoidem vykazuje dobrou léčebnou účinnost u pacientů s méně pokročilou AL amyloidózou, nevhodných k ASCT či jiné léčbě a stala se proto již dříve léčebným standardem. Dnes jde o léčebný standard zvláště u pacientů, kteří nemohou tolerovat intenzivnější léčbu (stupeň doporučení B, úroveň důkazu IIa).

17.3 Autologní transplantace krvetvorných buněk

Pro vybrané nemocné s AL amyloidózou mladší 65 let, s nevelkým poškozením organismu amyloidem a s dobrou srdeční funkcí je za optimální léčbu považována vysokodávkovaná chemoterapie s autologní transplantací krvetvorných buněk. Je nutný individuální přístup zohledňující věk, celkový klinický stav pacienta, míru poškození orgánů při AL amyloidóze a přidružené další nemoci. Dávka melfalanu obvykle kolísá v rozmezí 100-200 mg/m^2 (stupeň doporučení B, úroveň důkazu IIa).

17.4 Bortezomib

Bortezomib má z dostupných léků pravděpodobně nejvyšší účinnost a v rámci nemyeloablativních postupů dosahuje nejvyššího počtu léčebných odpovědí při současné dobré toleranci léčby (stupeň doporučení B, úroveň důkazu IIa). Dlouhodobé výsledky, vliv na celkové přežití však prozatím (v roce 2013) nejsou známé.

Nejvyšší počet léčebných odpovědí přináší léčba kombinací bortezomibu s cyklofosfamidem nebo melfalanem a s dexametazonem (stupeň doporučení B, úroveň důkazu IIa).

Kombinace bortezomibu s alkylačním cytostatikem a dexametazonem přináší podstatně vyšší počet léčebných odpovědí a kompletních remisí, pokud je použita v rámci léčby první linie než při jejím použití v rámci léčby relapsů (stupeň doporučení B, úroveň důkazu IIa).

17.5 Thalidomid

Thalidomid v kombinaci s dalšími léky je účinným lékem u AL amyloidózy. Jeho použití je provázeno významnou toxicitou. Počet CR a léčebných odpovědí je nižší a čas do dosažení léčebné odpovědi je delší než při léčbě bortezomibem. Thalidomid tak může být léčebnou alternativou pro nemocné refrakterní nebo nevhodné k jiné léčbě (stupeň doporučení B, úroveň důkazu IIa).

17.6 Lenalidomid

Lenalidomid v kombinaci s dalšími léky vykazuje účinnost v léčbě AL amyloidózy, má ovšem také významnou toxicitu. Počet CR a léčebných odpovědí je nižší a čas do dosažení léčebné odpovědi je delší než při léčbě bortezomibem. Lenalidomid tak může být účinnou léčebnou alternativou především pro refrakterní nemocné či pacienty s polyneuropatií (stupeň doporučení B, úroveň důkazu IIa).

17.7 Úhrada nových léků ze zdravotního pojištění v indikaci AL amyloidózy

V roce 2013 v ČR nemá žádný z uvedených nových léků (bortezomib, thalidomid, lenalidomid) schválenou indikaci léčby AL amyloidózy a není tak standardně hrazen zdravotními pojišťovnami. Je proto vždy nutné žádat o jejich schválení cestou příslušných revizních lékařů.

LITERATURA

1. Adam Z, Ščudla V, Krejčí M, et al. Léčba AL amyloidózy v roce 2012, přínos nových léků (bortezomibu, thalidomidu a lenalidomidu). Přehled publikovaných klinických studií. Vnitřní Lék 2013; 59: 37-58.
2. Cibeira MT, Sanchorawala V, Seldin DC, et al. Outcome of AL amyloidosis after high-dose melphalan and autologous stem cell transplantation: long-term results in a series of 421 patients. Blood 2011; 118: 4346–4352.
3. Cohen AD, Zhou P, Chou J, et al. Risk-adapted autologous stem cell transplantation with adjuvant dexamethasone +/- thalidomide for systemic light-chain amyloidosis: results of a phase II trial. Br J Haematol. 2007; 139: 224-233.
4. Comenzo RL, Vosburgh E, Falk RH, et al. Dose-intensive melphalan with blood stem-cell support for the treatment of AL (amyloid light-chain) amyloidosis: survival and responses in 25 patients. Blood 1998; 91: 3662-3670.
5. Comenzo RL, Gertz MA. Autologous stem cell transplantation for primary systemic amyloidosis. Blood. 2002; 99: 4276-4282.
6. Comenzo RL, Hegenbart U, Sanchorawala W, et al. High rates of overall and complete haematologic response in a prospective phase 1/2 study of weeky and twice weekly bortezomib in relapsed AL amyloidosis. Amyloid 2010; 17: 83-84.

003_THSUPPL_1213.indd 45 12/13/13 2:03:00 PM

proLékaře.cz | 1.11.2026

7. Comenzo RL, Reece D, Palladini G, et al. Consensus guidelins for the conduct and reporting of clinical trials in systemic light-chain amyloidosis. Leukemia 2012; 26: 2317-2325.
8. Dhopdapkar M, Jagannath S, Vesole D, et al. Treatment of AL-amyloidosis with dexamethasone plus alpha interferon. Leukemia and Lymphoma 1997; 27: 351-356.
9. Dietrich S, Schonland S, Benner A, et al. Treatment with intravenous melphalan and dexamethasone is not able to overcome the poor prognosis of patients with newly diagnosed systemic light chain amyloidosis and severe cardiac involvement. Blood 2010; 116: 522-528.
10. Dispenzieri A, Lacy M, Rajkumar S, et al. Poor tolerance to high doses of thalidomide in patients with primary systemic amyloidosis. Amyloid 2003; 10: 257-261.
11. Dispenzieri A, Gertz M, Kyle A, et al. Serum cardiac troponins and N-terminal Pro-Brain Natriuretic Peptide: A staging system for primary AL-amyloidosis. J Clin Oncol 2004; 22: 3751-3757. (2004a).
12. Dispenzieri A, Kyle RA Lacy MQ, et al. Superior survival in primary systemic amyloidosis patients udergoing peripheral stem cell transplantation: a case control study Blood 2004; 103: 3960-3963. (2004b).
13. Dispenzieri A, Lacy M, Zeldenrust S, et al. The activity of lenalidomide with or without dexamethasone in patiens with primary systemic amyloidosis. Blood 2007; 109: 465-470.
14. Gatt ME, Palladini G. Light chain amyloidosis 2012: a new era. Brit J Haematol 2013; 160: 582-598.
15. Gertz MA, Lacy MQ, Dispenzieri A. Myeloablative chemotherapy with stem cell rescue for the treatment of primary systemic amyloidosis: a status report. Bone Marrow Transplant 2000; 25: 465-470.
16. Gertz M, Lacy M, Dispenzieri A, et al. Risk-adjusted manipulation of melphalan dose before stem cell transplantation in patients with amyloidosis is associated with a lower response rate. Bone Marrow Transplantation 2004; 34: 1025-1031.
17. Gertz MA, Comenzo R, Falk RH, et al. Definition of organ involvement and treatment response in immunoglobulin light chain amyloidosis. A consensus opinion from the 10th international symposium on amyloid and amyloidosis. Amer J Hematol 2005; 79: 319-328.
18. Gertz MA. I dont know how to treat amyloidosis. Blood 2010; 116: 507-508. (2010a).
19. Gertz MA, Merlini G. Definition of organ involvement and response to treatment in AL amyloidosis: an updated consensus opinion. Amyloid 2010, 17 (Suppl 1): 48–49 (2010b).
20. Gillmore J, Cocks K, Gibbs S, et al. Cyclophosphamide, thalidomide and dexamethasone (CTD) versus melphalan plus dexamethasone (MD) for newly-diagnosed systemic AL amyloidosis – results from the UK amyloidosis treatment trial. Blood (ASH Annual Meeting Abstracts) 2009; 114: 1120.
21. Goodman HJ, Gillmore JD, Lachmann HJ, et al. Outcome of autologous stem cell transplantation for AL amyloidosis in the UK. Br J Haematol 2006; 134: 417–425.
22. International Myeloma Working Group: Criteria for the classification of monoclonal gammopathies, multiple myeloma and releated disorders: a report of the International Myeloma Working Group. Brit J Haematol 2003; 121: 749-757.
23. Jaccard A, Moreau P, Leblond V, et al. High-dose melphalan versus melphalan plus dexamethasone for AL amyloidosis. N Engl J Med 2007; 357: 83-93.
24. Kastritis E, Anagnostopoulos A, Roussou M, et al. Treatment of light chain (AL) amyloidosis with the combination of bortezomib and dexamethasone. Haematologica 2007; 92: 1351-1358.
25. Kastritis E, Wechalekar E, Dimopoulos M, et al. Bortezomib with or without dexamethasone in primary systemic (light chain) amyloidosis. Journal of Clin Oncol 2010; 28: 1031-1037.
26. Kastritis E, Dimopoulos MA. Prognosis and risk assessment in AL amyloidosis--state of the art. Amyloid 2011; 18 Suppl 1: 84-86.
27. Kastritis E, Terpos E, Roussou M, et al. A phase I/II study of lenalidomide with low-dose oral cyclophosphamide and low-dose dexamethasone (RdC) in AL amyloidosis. Blood 2012; 119: 5384-5390.
28. Kristen AV, Giannitsis E, Lehrke S, et al. Assessment of disease severity and outcome in patients with systemic light-chain amyloidosis by the high-sensitivity troponin T assay. Blood 2010; 116: 2455-2461.
29. Kumar S, Dispenzieri A, Lacy MQ, et al. Revised prognostic staging system for light chain amyloidosis incorporating cardiac biomarkers and serum free light chain measurements. J Clin Oncol 2012; 30: 989-995. (2012a).
30. Kumar SK, Hayman SR, Buadi FK, et al. Lenalidomide, cyclophosphamide and dexamethasone (CRd) for light chain amyloidosis: long term results from a phase 2 trial. Blood 2012; 112: 4860-4867. (2012b).
31. Kyle RA, Gertz MA, Greipp PR, et al. A trial of three regimens for primary amyloidosis: Colchicine alone, melphalan and prednisone, and melphalan, prednisone, and colchicine. N Engl J Med 1997; 336: 1202-1207.
32. Kyle RA. Rajkumar SV. Criteria for diagnosis, staging, risk stratification and response assessment of multiple myeloma. Leukemia 2009; 23: 3-9.
33. Landau H, Hassoun H, Rosenzweig MA, et al. Bortezomib and dexamethasone consolidation following risk-adapted melphalan and stem cell transplantation for patients with newly diagnosed light-chain amyloidosis. Leukemia 2012 (In press; Epub ahead of print).
34. Madan S, Kumar SK, Dispenzieri A, et al. High-dose melphalan and peripheral blood stem cell transplantation for light-chain amyloidosis with cardiac involvement. Blood 2012; 119: 1117–1122.
35. Maramattom LV, Mazie FW, Singh V, et al. Bortezomib based therapy for newly diagnosed patients with advanced multisystem ligth chain amyloidosis (AL). Blood (ASH Annual Meeting Abstracts) 2011; 118: 1880.
36. Mekinian A, Lions C, Leleu X, et al. Amyloidosis Study Group. Prognosis assessment of cardiac involvement in systemic AL amyloidosis by magnetic resonance imaging. Am J Med 2010; 123: 864-868.
37. Merlini G, Stone MJ. Dangerous small B-cell clones. Blood 2006; 108: 2520-2530.
38. Merlini G, Palladini G. Amyloidosis: is a cure possible?. Ann Oncol 2008; 19 Suppl. 4: 63-66.
39. Mikhael JR, Schuster SR, Jimenez-Zepeda VH, et al.

003_THSUPPL_1213.indd 46 12/12/13 2:05:20 PM

proLékaře.cz | 1.11.2026

Cyclophosphamide-bortezomib-dexamethasone (CyBorD) produces rapid and complete hematologic response in patients with AL amyloidosis. Blood 2012; 119: 4391-4394.
40. Mollee PN, Wechalekar AD, Pereira DL, et al. Autologous stem cell transplantation in primary systemic amyloidosis: the impact of selection criteria on outcome. Bone Marrow Transplant 2004; 33: 271-277.
41. Moreau P, Leblond V, Bourquelot P, et al. Prognostic factors for survival and response after high-dose therapy and autologous stem cell transplantation in systemic AL amyloidosis: a report on 21 patients. Br J Haematol. 1998;101: 766-769.
42. Moreau P, Jaccard A, Benboubker L, et al. Lenalidomide in combination with melphalan and dexamethasone in patiens with newly-diagnosed AL amyloidosis: a multicenter phase 1/2 dose escalation study. Blood 2010; 116: 4777-4782.
43. Palladini G, Perfetti V, Obici L, et al. Association of melphalan and high-dose dexamethasone is effective and well tolerated in patients with AL (primary) amyloidosis who are ineligible for stem cell transplantation. Blood 2004; 103: 2936-2938.
44. Palladini G, Perfetti V, Perlini S, et al. The combination of thalidomide and intermediate-dose dexamethasone is an effective but toxic treatment for patients with primary amyloidosis (AL). Blood 2005; 105: 2949-2951.
45. Palladini G, Russo P, Nuvolone M, et al. Treatment with oral melphalan plus dexamethasone produces long-term remissions in AL amyloidosis. Blood 2007; 110: 787-788.
46. Palladini G, Russo P, Lavatelli F, et al. Treatment of patients with advanced cardiac AL amyloidosis with oral melphalan, dexamethasone and thalidomide. Annals of Hematology 2009; 88: 347-350.
47. Palladini G, Folli A, Milani P, et al. Oral melphalan and dexamethasone for AL amyloidosis: efficaccy, prognostic factors and response criteria. Amyloid 2010; 17: 81-82.
48. Palladini G, Russo P, Foli A, et al. Salvage therapy with lenalidomide and dexamethasone in patients with advanced AL amyloidosis refractory to melphalan, bortezomib, and thalidomide. Ann Hematol 2012; 91: 89-92.
49. Palladini G, Russo P, Milani P, et al. A phase II trial of cyclophosphamide, lenalidomide and dexamethasone in previously treated patiens with AL amyloidosis. Haematologica 2013; 98: 433-436.
50. Patel J, Sloan JM, Shelton AC, et al. Melphalan, lenalidomide and dexamethasone combination therapy in patiens with AL amyloidosis. Blood (ASH Annual Meeting Abstracts) 2011; 118: 2924.
51. Reece DE, Hegenbart U, Sanchorawala V, et al. Efficacy and safety of once-weekly and twice-weekly bortezomib in patients with relapsed systemic AL amyloidosis: results of a phase 1/2 study. Blood 2011; 118: 865-873.
52. Ryšavá R, Straub J, Vacková B, et al.Results of autologous stem cell transplantation for AL amyloidosis in one Czech center. Amyloid 2011; 18: 139-141.
53. Ryšavá R. Systémové amyloidózy a jejich léčba. Maxdorf Jessenius, Praha 2013, s. 124.
54. Sanchorawala V, Skinner M, Quillen K, et al. Long-term outcome of patients with AL amyloidosis treated with high-dose melphalan and stem cell transplantation. Blood 2007; 110: 3561-3563. (2007a).
55. Sanchorawala V, Wright D, Rosenzweig M, et al. Lenalidomide and dexamethasone in the treatment of AL amyloidosis: resutls of a phase 2 trial. Blood 2007; 109: 492-496. (2007b).
56. Schonland SO, Bochtler T, Perz J, et al. Results of two consecutive phase II trials of patients with systemic AL amyloidosis treated with high-dose melphalan after induction and mobilization chemotherapy [12th international symposium on amyloidosis abstracts]. Amyloid 2010; 17: 80–81. (2010a).
57. Schonland SO, Bochtler T, Ho AD, et al. Efficacy and toxicity of dose-reduced bortezomib/dexamethasone chemotherapy in patients with high risk cardiac light chain amyloidosis. Blood (ASH Annual Metting Abstracts) 2010; 116: 1960. (2010b).
58. Seldin D, Choufani E, Dember L, et al. Tolerability and efficacy of thalidomide for the treatment of patients with light chain-associated (AL) amyloidosis. Clinical Lymphoma 2003; 3: 241-246.
59. Skinner M, Anderson J, Simms R, et al. Treatment of 100 patients with primary amyloidosis: a randomized trial of melphalan, prednisone and colchicine versus colchicine only. American Journal of Medicine 1996; 100: 290-298.
60. Skinner M, Sanchorawala V, Seldin D, et al. High-dise melphalan and autologous stem-cell transplantation in patients with AL amyloidosid: an 8-year study. Annals of Internal Medicine 2004; 140: 85-93.
61. Van Gameren I, van Rijswijk MH, Bijzet J, et al. Histological regression of amyloid in AL amyloidosis is exclusively seen after normalization of serum free light chain. Haematologica 2009; 94: 1094-1100.
62. Venner CP, Lane T, Foard D, et al. Cyclophosphamide, bortezomib, and dexamethasone therapy in AL amyloidosis is associated with high clonal response rates and prolonged progression-free survival. Blood 2012; 119: 4387-4390.
63. Vesole DH, Perez WS, Akasheh M, et al. High-dose therapy and autologous hematopoietic stem cell transplantation for patients with primary systemic amyloidosis: A Center for International Blood and Marrow Transplant Research Study. Mayo Clin Proc 2006; 81: 880-888.
64. Wechalekar AD, Goodman HJ, Lachmann HJ, et al. Safety and efficacy of risk-adapted cyclophosphamide, thalidomide, and dexamethasone in systemic AL amyloidosis. Blood 2007; 109: 457-464.
65. Wechalekar AD, Schonland SO, Kastritis E, et al. A European collaborative study of treatment outcomes in 346 patients with cardiac stage III AL amyloidosis. Blood 2013; Mar 11, Epub ahead of print.

003_THSUPPL_1213.indd 47 12/12/13 2:05:20 PM