

Tytuł: Atypowy zespół hemolityczno-mocznicowy / Atypical hemolytic-uremic syndrome (aHUS)

Słowa kluczowe: ATYPOWY ZESPÓŁ HEMOLITYCZNO-MOCZNICOWY DOPEŁNIACZ EKULIZUMAB

Keywords: ATYPICAL HEMOLYTIC-UREMIC SYNDROME ECULIZUMAB KOMPLEMENT

Autorzy:

Ryszard Grenda - Klinika Nefrologii, Transplantacji Nerek i Nadciśnienia Tętniczego, Instytut „Pomnik – Centrum Zdrowia Dziecka”, Warszawa

Streszczenie:

Atypowy zespół hemolityczno-mocznicowy (ang. atypical hemolytic-uremic syndrome, aHUS) to choroba rzadka z rodziny mikroangiopatii zakrzepowych. Jego podstawowym mechanizmem jest genetycznie uwarunkowane lub powstałe wskutek autoimmunizacji zaburzenie regulacji układu dopełniacza. Obraz kliniczny jest konsekwencją ostrego niedokrwienia narządów takich jak nerki, ośrodkowy układ nerwowy, trzustka i wątroba oraz hemolizy i małopłytkowości. Leczenie objawowe polega na przetaczaniu/terapeutycznej wymianie osocza i (w ciężkiej niewydolności nerek) dializoterapii, a leczenie przyczynowe – na podawaniu monoklonalnego przeciwciała blokującego układ dopełniacza (ekulizumabu), które hamuje postęp choroby, nie lecząc oczywiście wrodzonego defektu.

Abstract:

Atypical hemolytic-uremic syndrome (aHUS) is a rare disease, a member of thrombotic microangiopathies family. Genetic or autoimmune defect of complement system regulation is underlying mechanism. Clinical pattern is a consequence of acute ischemia of target organs, including kidneys, central nervous system, pancreas and liver, accompanied by acute hemolysis and thrombocytopenia. General management includes fresh frozen plasma transfusions (or therapeutic exchange) and dialysis in renal failure. Targeted treatment is based on repeated administration of monoclonal antibody, blocking complement system (eculizumab), which breaks the underlying mechanism, however does not cure the primary defect.