

Evidence tabel Tweede lijn IST

Studie	Type onderzoek	patiënten-aantal en kenmerken	interventie	Relevante uitkomsten	Opmerkingen Kwaliteitsbeoordeling
Scheinberg Br Haematol 2006	1 centrum Retrospectief, 2000-2005 Verenigde staten	22 SAA; refractair na paard-ATG en ciclosporine Mediane leeftijd: 31 (8-66) 21 SAA; relapse na paard-ATG en ciclosporine Mediane leeftijd: 42 (8-75 jaar)	3,5 mg/kg/dag Thymoglobuline iv gedurende 5 dagen in combinatie met ciclosporine	refractaire patiënten: ORR 6 maanden = 27% patiënten na relapse: ORR 6 maanden = 66%	Niveau B
Scheinberg Blood 2012	1 centrum Gerandomiseerd, 2003-2010 Verenigde staten	54 SAA; refractair na paard-ATG en ciclosporine Mediane leeftijd: 40	27 patiënten: 3,5 mg/kg/dag Thymoglobuline iv gedurende 5 dagen in combinatie met ciclosporine 27 patiënten: Alemtuzumab 10mg/dag iv gedurende 10 dagen	Thymoglobulin ORR 6 maanden = 33% Alemtuzumab ORR 6 maanden = 37% NB: alemtuzumab na relapse ORR = 55%	Niveau B
Desmond Blood 2014	1 centrum Prospectief 2009-2013 Verenigde Staten	43 SAA; refractair 6 maanden na minimaal 1 ATG-based behandeling Mediane leeftijd: 44 (17-77)	Startdosis eltrombopag 50 mg/dag, per twee weken ophogen met 25 mg indien trombocyten niet >20 zijn gestegen tot maximaal 150 mg/dag	ORR na 4 maanden: 40% waarbij verbetering in minimaal 1 celtype 21% transfusieonafhankelijk	Clonale evolutie in 8/43 patiënten Niveau B
Chuhjo Am Hematol	5 centra Prospectief, 2000-2004 Japan	13 refractair na ATG en in combinatie met ciclosporine of na ciclosporine monotherapie 3 relapse na eerdere ATG/ciclosporine behandeling	Danazol: 300 mg/dag gedurende 12 weken	ORR na 4 maanden: Transfusie-onafhankelijk: 3/16 Minder transfusies: 2/16	Voornameijk patiënten met niet-ernstige aplastische anemie Niveau C
Brodsky Blood 2010	1 centrum Prospectief 1996-2004 Verenigde staten	23 SAA; waarvan 21 refractair na ATG in combinatie met ciclosporine en 2 refractair na ciclosporine monotherapie Mediane leeftijd 34 (6-63 jaar)	Cyclofosfamide: 50 mg/kg iv gedurende 4 dagen	48% heeft een respons na een mediane duur van 11 maanden 44% ontwikkelt ernstige schimmelinfectie	Veel toxiciteit Niveau B

SAA = severe aplastic anemia, ORR = Overall response rate