Tab. 5. *Nástroje na objektívne zhodnotenie efektu liečby CIDP*

Škála	Meranie	Modalita (rozsah)	Minimálny klinicky významný rozdiel [a]
Zneschopnenie (disability)	I-RODS INCAT-DS	Dotazník (0 – 48) Vyšetrujúcim hlásené skóre disability (0 – 10) pre HK (0 – 5) a DK (0 – 5)	Zvýšenie ≥ 4 body Pokles ≥ 1 bod
Poškodenie (impairment)	mISS škála Sila stisku MRC skóre	Vyšetrujúcim zaznamenané skóre (0 – 33) Dynamometer Sumačné MRC skóre (0 – 60)[c]	Pokles ≥ 2 body Martin Vigorimeter Zvýšenie sily stisku ≥ 8 – 14 kPa[b] Jamar dynamometer Zvýšenie sily stisku o ≥ 10 % ≥ 2 – 4 body

[a]Zmeny na objektivizáciu zlepšenia neboli ešte dostatočne validované, ale tieto „cut-offs" pre zlepšenie sú bežne používané v klinických štúdiách.
[b]Vyššie hodnoty zvyšujú špecificitu.
[c]Zahŕňa abdukciu v ramene, flexiu v lakti, extenziu zápästia, flexiu v bedre, extenziu v kolene, dorzálnu flexiu nohy.
I-RODS – Inflammatory Rasch-built Overall Disability Scale; INCAT-DS – Inflammatory Neuropathy Cause and Treatment disability scale; mISS – modified INCAT sensory sum; MRC – Medical Research Council

diagnostikovaná CIDP a bola im podávaná imunomodulačná liečba, 85 % z nich uviedlo, že sa „cítili lepšie" (Allen et al., 2015). Bolo to bez akýchkoľvek objektívnych meraní, len na základe vnímania zlepšenia pacientom, čo ukazuje, aké dôležité je zahrnúť objektívne merania na (ne)preukázanie odpovede na liečbu. Odporúča sa, aby sa odpoveď na liečbu hodnotila pomocou štandardizovaných škál postihnutia a zhoršenia zdravotného stavu (Tab. 5) (van den Bergh et al., 2021). Použitie minimálnych klinicky významných rozdielov (MCID) na definovanie významného zlepšenia alebo zhoršenia môže byť užitočné, ale nevylučuje bežné denné alebo nevýznamné výkyvy (van Veen et al., 2022).

Ďalšie liečebné stratégie a perspektívne nové možnosti liečby CIDP

Hoci je prvolíniová liečba účinná u väčšiny osôb s CIDP, stále sa hľadajú aj iné možnosti liečby. Odôvodnenia sú viaceré a zahŕňajú predovšetkým refraktérnosť na liečbu prvej línie, reziduálnu invaliditu pri CIDP, vedľajšie účinky dostupnej liečby, ako aj, čo je diskutabilnejšie, ich cenu a dostupnosť, najmä ak sa vyžaduje dlhodobá liečba (Rajabally et al., 2017; Rajabally et al., 2024).

Imunosupresívne lieky

Hoci existujú len dôkazy s veľmi nízkou istotou, na základe odporučenia EAN/PNS 2021 sa pri zlyhaní konvenčnej terapie, nedostatočnej účinnosti alebo opakovaných exacerbáciách odporúča pridať do liečby azatioprín, cyklofosfamid, cyklosporín, mykofenolát mofetil alebo rituximab, a to v prípade zlyhania preukázateľne účinnej liečby alebo ako doplnkovú liečbu (van den Bergh et al., 2021).

Azatioprín a mykofenolát mofetil sa často používajú pri CIDP ako IVIg alebo KS šetriace lieky. Hoci existujú len veľmi obmedzené dôkazy zo sérií kazuistík, cyklofosfamid, cyklosporín a rituximab možno zvážiť u pacientov, ktorí nedostatočne reagujú alebo sú refraktérni na konvenčnú liečbu.

Neodporúča sa používať alemtuzumab, bortezomib, etanercept, fampridín, fludarabín, imunoadsorpciu, interferón alfa, abatacept, natalizumab a takrolimus (van den Bergh et al., 2021).

Transplantácia krvotvorných kmeňových buniek

Dôkazov o pozitívnom účinku transplantácie krvotvorných kmeňových buniek (HSCT) je nedostatok. Na základe sérií prípadov, hoci sa o nich zriedkavo uvažuje, môže byť transplantácia autológnych krvotvorných kmeňových buniek účinná pri refraktérnom ochorení s nízkou úmrtnosťou a vysokou mierou remisie. Keďže pri transplantácii existuje významná morbidita a riziko úmrtia, táto liečba by sa mala zvažovať len ako posledná možnosť v špecializovaných centrách (Burt et al., 2021; van den Bergh et al., 2021).

Rituximab

Rituximab je protilátka, ktorá sa zameriava na antigén CD20 na B-bunkách, čo vedie k deplécii B-buniek. Uvádza sa, že je účinný u pacientov, ktorí nereagujú na konvenčnú liečbu, najmä u pacientov s autoimunitnou nodopatiou (Querol et al., 2014), ktorá bola podľa odporúčaní EAN/PNAS 2021vylúčená z klasifikácie CIDP. Niektorí autori pozorovali zníženie koncentrácií autoprotilátok IgG4 u pacientov liečených rituximabom. V súčasnosti prebiehajú randomizované klinické štúdie s cieľom určiť účinnosť a bezpečnosť rituximabu u pacientov s CIDP reagujúcich na IVIg a u pacientov s refraktérnou CIDP s (para)nodálnymi protilátkami alebo bez nich (Mehreen et al., 2023).

Blokátory FcRn

Monoklonálne protilátky zamerané na novorodenecký Fc receptor (FcRn) sa s úspechom skúšali aj pri iných autoimunitných ochoreniach, napr. myasténia gravis. Pôsobia tak, že znižujú väzbu endogénneho imunoglobulínu vrátane patogénneho na FcRn. Táto znížená väzba neguje ochranný účinok FcRn na endogénne imunoglobulíny pred lyzozomálnou degradáciou, a teda znižuje ich životnosť v sére, čo má následne priaznivý vplyv na základné ochorenie sprostredkované autoprotilátkami. Do tejto skupiny patrí napr. efgartigimod, humanizovaný IgG1 Fc fragment blokujúci FcRn, ktorý v júni 2024 schválila FDA ako novú liečbu CIDP u dospelých na základe údajov z kľúčovej štúdie ADHERE fázy 3, kde došlo k významnému zníženiu relapsu ochorenia v porovnaní s placebom. Aktuálne prebiehajú štúdie s ďalšími monoklonálnymi protilátkami blokujúcimi FcRn receptor ako potenciálne účinnou liečbou CIDP (napr. nipokalimab, batoklimab).

Inhibítory komplementovej dráhy

Aktivácia komplementu bola zaznamenaná aj u pacientov s CIDP. Inhibícia komplementu, ktorá bola úspešná pri iných poruchách sprostredkovaných autoprotilátkami, je tiež potenciálnou budúcou terapeutickou stratégiou pri CIDP. V štádiu výskumu je humanizovaná monoklonálna protilátka proti C1 pôsobiaca v proximálnej časti klasického komplementového systému (**SAR445088**). Selektívnou inhibíciou C1-komplexu potláča následnú aktiváciu komplementu, čo môže zabrániť zápalovým procesom, ktoré sú príčinou CIDP. Táto selektívna inhibícia môže okrem toho ponúknuť lepší bezpečnostný profil ako inhibítory komplementu zamerané na C5 zložku, najmä pokiaľ ide o infekčné komplikácie.