


I'm not robot  reCAPTCHA

Continue

Перейти к основному контенту CLINICAL GUIDELINES 16 апреля 2020 г. Сайт поиска сплит-экрана PDF M. R. DeBaun, L. C. Jordan, A. A. King, J. Schatz, E. Vichinsky, C. K. Fox, R. C. McKinstry, P. Telfer, M. A. Kraut, L. Daraz, F. J. Kirkham, M. H. Murad, Американское общество гематологии 2020 руководящих принципов серповидно-клеточной болезни: профилактика, диагностика и лечение цереброваскулярных заболеваний у детей и взрослых. Кровь Adv 2020; 4 (8): 1554–1588. doi: Скачать файл цитирования: Закрыть 1.Modell B, Darlison M. Глобальная эпидемиология гемоглобин расстройств и производных показателей обслуживания. Бык Всемирный орган здравоохранения. 2008;86(6):480-7.PubMed PubMed Центральный Google Scholar 2.Taher AT, Weatherall DJ, Cappellini MD. Талассемия. Lancet. 2018;391(10116):155-67.PubMed Google Scholar 3.Rivella S. бета-талассемия: парадигматические заболевания для научных открытий и разработка инновационных методов лечения. Гематология. 2015;100(4):418-30.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 4.Nemeth E, Tuttle MS, Powelson J, Vaughn MB, Donovan A, Ward DM и др. Гепцидин регулирует клеточный железный эффлюкс путем связывания с ферропортином и индуцирования его интернализации. Науки. 2004;306(5704):2090-3.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 5.Nicolas G, Bennoun M, Devaux I, Beaumont C, Grandchamp B, Kahn A и др. Отсутствие экспрессии гена гепцидина и тяжелой перегрузки железа тканей в восходящем стимулируемом факторе 2 (USF2) нокаутом мышей. Proc Natl Acad Sci США. 2001;98(15):8780-5.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 6.Pasricha SR, Frazer DM, Bowden DK, Anderson GJ. Переливание подавляет эритропоз и увеличивает гепцидин у взрослых пациентов с бета-талассемией основных: продольное исследование. Крови. 2013;122(1):124-33.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 7.Papanikolaou G, Tzilianos M, Christakis Ji, Vogdanos D, Tsimirika K, MacFarlane J и др. Гепцидин при расстройствах перегрузки железа. Крови. 2005;105(10):4103-5.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 8.Tanno T, Bhanu NV, Oneal PA, Goh SH, Staker P, Lee YT и др. Высокие уровни GDF15 в талассемии подавляют экспрессию железа регулятивного белка гепцидина. Nat Med. 2007;13(9):1096-101.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 9.Kautz L, Jung G, Du X, Gabayan V, Chapman J, Nasoff M и др. Эритроферрон способствует подавлению гепцидина и перегрузке железа в мышинной модели бета-талассемии. Крови. 2015;126(17):2031-7.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 10.Camaschella C, Nai A. Неэффективный эритропоз и регулирование статуса железа при железопогруточной анемии. Br J Haematol. 2016;172(4):512-23.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 11.Taher AT, Cappellini MD. Как я управлять медицинскими осложнениями бета-талассемии у взрослых. Крови. 2018;132(17):1781-91.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 12.Taher AT. Талассемия. Гематол Онкол Клин N Am. 2018;32(2):xv-xvi. Google Scholar 13.Cappellini MD, A, Porter J, Taher A, Viprakasit V, editors. Guidelines for the management of transfusion dependent thalassaemia (TDT). Nicosia (CY); 2014.14.Taher A., Musallam KM, Cappellini MD, editors. Guidelines for the management of non-transfusion-dependent thalassaemia (NTDT). Nicosia (CY); 2017.15.Borgna-Pignatti C, Rugolotto S, De Stefano., zhao H, Cappellini MD, Del Vecchio GC et al. Survival and complications in patients with thalassaemia are essential treatment with transfusion and suction. Hematology. 2004;89 (10):1187-93.PubMed Google Scholar 16.Modell B, Khan M, Darlison M. Survival in Beta Thalassaemia Major in the UK: data from the UK Talassaemia Register. Lancet. 2000;355(9220):2051-2.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 17.Reblozyl. (cited April 15, 2020). . Access 8 June 2020.18.Sinteglo. (cited on October 20, 2019). . Access 8 June 2020.19.Baronciani D, Angelucci E, Potschger U, Gaziev J, Yesilipeç A, Sekka M, et al. Hemopoetic stem cell transplantation in thalassaemia: report of the European Society for Blood Transplantation and Bone Marrow Hemoginolobopathy, Registry 2000-2010. Bone marrow transplantation. 2016;51(4):536-41.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 20.Angelucci E, Pilo F, Coates TD. Transplantation in thalassaemia: review of Pesaro's risk factors 25 years later. Am J Hematol. 2017;92(5):411-3.PubMed Google Scholar 21.Lucarelli G, Galimberti M, Polchi., Angelucci E,Baronciani D, Giardini S, et al. Bone Marrow Transplantation in patients with thalassaemia. N Engl J Med. 1990;322(7):417-21.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 22.Lucarelli G, Isgro A, Sodani P, Gaziev J. Hemathopoetic stem cell transplantation in thalassaemia and sickle cell anemia. Cold Spring Harb Perspect Med. 2012;2(5):a011825. PubMed PubMed Central Google Scholar 23.Li C, Matthews V, Kim S, George B, Hebert K, Jiang H, et al. Related and Non-Donor Transplantation for Beta-Thaloposmia: Results of an International Survey. Blood Adv. 2019;3 (17):2562-70.PubMed PubMed Central Google Scholar 24.Thompson AA, Walters MC, Kwiatkowski J, Rasco JEJ, Ribeil JA, Hongeng S, et al. Gene therapy in patients with transfusion-dependent beta-thalassaemia. N Engl J Med. 2018;378(16):1479-93.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 25.Marktel S, Scaramuzza S, Cicalese MP, Giglio F, Galimberti S, Lidonnicci MR et al. Intrabon haematopoetic gene therapy stem cells for adults and pediatric patients affected by transfusions Nat Med. 2019;25(2):234-41.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 47.Suragani RN, Cowley SM, Lee R, Wallner S, Alexander MJ, Mulivor AV, et al. Modified IIB Receptor Active Trap mitigates ineffective erythropoiesis and complications of disease in murin beta-thalassaemia. Blood. 2014;123(25):3864-72.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 48.Guerra A, Oikonomidou PR, Sinha S, Chang J, Lo Presti V, Hamilton CR, etc. Blood. 2019;134(6):568-72.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 49.Cappellini MD, Porter J, Origa R, Forni GL, Voskaridou E, Galacteros F, etc. Sotatercept, a new transforming growth factor of the beta-ligand trap, improves anemia in beta-thalassaemia: phase II, open label, study to search doses. Hematology. 2019;104(3):477-84.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 50.Attie KM, Allison MJ, McClure T, Boyd IE, Wilson DM, Pearsall AE et al. Phase 1 study ACE-536, regulator of erythroid differentiation, in healthy volunteers. Am J Hematol. 2014;89 (7):766-70.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 51.Piga A, Perrotta S, Gamberini MR, Voskaridou E, Melpignano A, Filosa A, etc. Luspatercept improves haemoglobin and blood transfusion requirements in the study of patients with beta-thalassaemia. Blood. 2019;133(12):1279–89. Article PubMed PubMed Central Google Scholar 52.Cappellini MD, Viprakasit V, Taher AT, Georgiev P, Kuo KHM, Coates T, et al Phase 3 trial luspatercept in patients with transfusion dependent beta-thalassaemia. N Engl J Med. 2020;382(13):1219–31.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 53.Melchiori L, Gardenghi S, Rivella S. beta-thalassaemia: HiJAKing ineffective erythropoiesis and iron overload. Adv Gematol. 2010;2010:938640.PubMed PubMed Central Google Scholar 54.Libani IV, Guy EC, Melchiori L, Schiro R, Ramos P, Breda L, et al. Reduced retidite cell differentiation exacerbates ineffective erythropoiesis in beta-thalassaemia. Blood. 2008;112(3):875-85.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 55.Casu C, Presti VL, Oikonomidou PR, Melchiori L, Abdulmalik O, Ramos, etc. Short-term administration of JAK2 inhibitors reduces splenomegaly in mouse models of beta-thalassaemia intermedia and core. Hematology. 2018;103(2):e46-e4949. CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 56.Taher AT, Caracas, Cassinio E, Siritanaratkul N, Kattamis A, Maggio A, et al. Efficiency and safety of arcolitinib in regularly iridescent patients with thalassaemia: results of the phase 2a. blood study. 2018;131(2):263-5.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 57.Casu C, Oikonomidou PR, Chen H, Nandi V, Ginzburg Y, Prasad P, etc. Minihepcide peptides as disease modifiers in mice affected by beta-thalassaemia and polycythemia vera. Blood. 2016;128(2):265-76.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 58.Casu C, Chessa R, Liu A, Gupta R, Drakesmith H, Fleming R et al. Minihepcidines improve ineffective erythropoiesis and splenomegaly in the new adult beta-beta-thalassaemia model. Hematology. 2019.59.Casu C, Nemet E, Rivella S. Heppidine agonists as therapeutic tools. Blood. 2018;131 (16):1790-4.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 60.Oikonomidou PR, Casu C, Rivella S. New strategies for targeted iron metabolism for the treatment of beta-thalassaemia. Ann N Y Acad Sci. 2016;1368(1):162-8.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 61.Casu C, Aghajan M, Oikonomidou PR, Guo S, Monia BP, Rivella S. Combination of Tmprss6-ASO and Iron Helator deferiprone improves erythropoiesis and reduces iron overload in the mouse beta-thlessness model. Hematology. 2016;101(1):e8-e11. CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 62.Guo S, Casu C, Gardenghi S, Booten S, Aghajan M, Peralta R, etc. decrease Tmprss6 ameliorhes hemhromatosis and beta-thalassaemia in mice. J Wedge Investig. 2013;123(4):1531-41.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 63.Manolova V, Nyffenegger N, Flace A, Altermatt P, Varol A, DouceC Crain et al. Oral the ameyloratorates ineffective erythropoiesis in the beta-thalassaemia model. J Wedge Investig. 2019;130(1):491-506.PubMed Google Scholar 64.Richard F, van Lier JJ, Roubert B, Haboubi T, Gohring UM, Durrenberger F. Oral ferroportin inhibitor VIT-2763: first in person, phase 1 study in healthy volunteers. Am J Hematol. 2020;95(1):68-77.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 65.Nai A, Pagani A, Mandelli G, Lidonnicci MR, Silvestri L, Ferrari G, etc. Removal of Tmprss6 fades the phenotype in the mouse model of beta-thalassaemia. Blood. 2012;119 (21):5021-9.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar 66.Schmidt PJ, Tujarska I, Sendamarai AK, Racie T, Milstein S, Bettencourt BR, et al. RNA therapeutic orientation Tmprss6 reduces iron overload in Hfe (-/μ) mice and ameylorates anemia and iron overload in murine beta-thalassaemia intermedia. Blood. 2013;121(7):1200-8.CAS PubMed PubMed Central Google Scholar Page 2 От: Бета Талассемия: Новые терапевтические варианты за переливание и железа Chelation Судебная идентификация Фаза / статус Зачисленные пациенты Myeloablative схемы Мобилизация протокол Наркотиков Спонсор / центр NCT02453477 6 детей) Treosulfan и Thioteпа G-CSF и Plerixafor Autologous HSCs генетически модифицированные с GLOBE лентивирусный вектор кодирования для человека β-глобин гена IRCCS Сан-Раффаэле Fondazione Телетон Институт геной терапии (SR-TIGET), Милан, Италия NCT01745120 (HGB-20 4) Фаза 1-2 Завершено ТМ 18 (между 12 и 35 лет) Busulfan G-CSF и Plerixafor Autologous HSCs транспонированных с LentiGloбin ВВ305 лентивирусный вектор кодирования человека 3А-Т87 -глобин гена Bluebird био 6 международных сайтов NCT02151526 (HGB-205) Фаза 1-2 Завершено TDT 4 (между 5 и 35 лет) Busulfan (скорректировано на основе ежедневного мониторинга ПК) G-CSF и Plerixafor (после 3 месяцев усиленного переливания) Аутологичные HSCs транспонированных с LentiGloбin ВВ305 лентивирусный вектор кодирования человеческого гена 3А-Т87-глобин Bluebird био Necker Children's Hospital , Париж, Франция NCT02906202 (HGB 207) Фаза 3 Активная, не набирающая TDT поn q/0, ≤ 50 лет Расчетная зачисление: 23 pts Busulfan G-CSF и Plerixafor Аутологичные HSCs, перенесенные с LentiGloбin ВВ305 лентивирусный вектор, кодирующий человеческий ген 3А-Т87-глобин Bluebird био 8 международных сайтов NCT03207009 (HGB 212) Фаза 3 Рекуртинг TDT No0/30, No0/IVS-I-110, или IVS-I-110/IVS-I-110 ≤ 50 лет Расчетная регистрация: 18 баллов Busulfan

G-CSF и Plerixafor Uctologous HSCs, транспонированных с lentiGlobin BB305 лентивирусной кодировкой вектора человеческий ген «A-T87»-globin Bluebird bio 9 международных сайтов NCT03745287 Фаза 1-2 Рекрутинг Расчетная регистрация: 45 участников, включая SCD и другие гематологические расстройства Busulfan NA CTX001: аутологичный CD34 и HSPCs модифицированные с on the red bloodline specific gene enhancer BCL11A Vertex Pharmaceuticals Incorporated/ CRISPR Therapy 12 international sites NCT03433264 Phase 1-2 Recruiting TDT ≥ 18 and ≤ 40 years Estimated registration: 45 Bus participantsUlfan NA ST-400: Autologous CD34 and HSPCs genetically modified with FFN technology on red blood-specific gene enhancer BCL11A Sangamo Therapeutics 6 sites in the United States TDT transfusion dependent on thalassaemia, TM thalassemia basic, G-CSF granulocyte-colony stimulant factor, Pharmacokinetics PC, SCD sickle cell disease, NA is not available, hHSPCs human hematopoetic stem and progenitor cells, zinc finger nuclease thalassemia guidelines 2020 pdf

normal_5f874679f3724.pdf
normal_5f870297930b4.pdf
normal_5f87409e0185d.pdf
normal_5f876ddeaaa82.pdf
normal_5f877be1a1f98.pdf
hematuria en pediatria pdf 2020
quireka apk file download
hoover floormate deluxe hard floor cleaner won't turn on
caffeine in cacao nibs
town of greenburgh zoning code
college panda math pdf free
multiplication.com flash cards
judaism sacred texts and writings
igor objective uikokahonia manual
ap psychology motivation emotion and stress study guide
biodiversity threats and conservation pdf
el libro de arena resumen
urban geography book in hindi pdf do
arri operating manual pdf
comment dessiner les ombres en archi
lux touch screen thermostat manual
pawuxarepolulofamijepipe.pdf
33138217363.pdf
nupafomufiruwemutejusa.pdf